
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	8
1. Questionnaire – Partie A	9
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	9
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	9
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	10
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	10
1.3. Le médicament évalué	11
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	12
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	12
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	12
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	13
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	13
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	13
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	13
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	14
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	14
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	15
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	16
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	16
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	18
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	19
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	20
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	21

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

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.



Il est obligatoire de remplir la rubrique suivante pour que votre questionnaire soit pris en compte. CE VOLET DU QUESTIONNAIRE NE SERA PAS PUBLIE

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association VAINCRE LE MELANOME ET AUTRES CANCERS DE LA PEAU

Site internet :

www.vaincrelemelanome.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

8 chemin de Maltaverne

45230 SAINTE GENEVIEVE DES BOIS

Nature de la structure :

- ☐ Association agréée au niveau national
- ☐ Association agréée au niveau régional
- ☒ Association non agréée
- ☐ Autre (préciser) : loi 1901 à but non lucratif.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau :

Association loi 1901 rattachée à la Fédération Française de la Peau.

Nous souhaitons demander l'agrément dans les prochains mois.

Décrivez la composition du conseil d'administration et du bureau (titres et noms des personnes) des associations agréées :

Composition des associations non agréées et nature des groupes d'utilisateurs :

Béatrice CHAMPENOIS Présidente et fondatrice de l'ASSOCIATION

Maité BRACHOT Trésorière

Christiane BERTIN Secrétaire

Martine CHAMPENOIS Responsable Antenne Normandie

Pascale BENAKSAS Responsable relation Médecin/Patient, Projets de Prévention, accompagnement

Patients sur la France, interviews, responsable des réseaux sociaux

Les USAGERS sont des patients ou des proches de patients, familles, aidants

Nombre d'adhérents de l'association ou de participants au groupe :

Adhérents Entre 60/70 cela fluctue chaque année.

Participants :

1800 abonnés via Facebook

771 Abonnés via notre chaîne Youtube 190000 vues

Site internet 60000 connections/an

Nombre de bénévoles :

40

Nous retrouvons des bénévoles actifs lors de missions et ou opérations ponctuelles comme le mois de la sensibilisation Nationale instaurée par l'ASSOCIATION « Mai Violet » et durant la période de dépistage en Juin par le corps médical. Ensuite différentes actions ponctuelles ce qui représente selon les années, 40/60 personnes.

Nombre de salariés :

0

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

Prévention et sensibilisation via notre site internet.

Actualités scientifiques autour du Mélanome et du Carcinome.

Opération de Prévention en région, pour le grand public, utilisateurs en milieu hospitalier, médecins, et infirmiers.

Opération de Prévention avec les Pôles Santé des Mairies de France.

Interviews patients afin de sensibiliser au risque des cancers de la peau

Interviews dermatologues, onco-dermatologues, onco-psychologues, mis en ligne decs de ces interviews sur notre chaine Youtube

Récolte de Dons pour la Recherche. Nous soutenons 1 à 2 centre expert par an sur le Territoire et expliquons les pistes sur lesquelles travaillent les chercheurs.

Accompagnement et soutien des patients durant leur parcours de soins.

Personne contact pour les contributions (les données de cette rubrique ne seront pas publiées) :

– Prénom NOM :

Pascale BENAKSAS

– Fonction :

Responsable Projets de Prévention, communication, Relation Médecin/patients, accompagnements patients, et responsable des réseaux sociaux.

(juillet 2023 fonction de Co-Présidence)

– Adresse électronique :

benaksasp@hotmail.fr

– Téléphone :

0675090879



Données personnelles collectées

Les données personnelles recueillies ci-dessus font l'objet d'un traitement de données par la HAS. Elles sont à destination des collaborateurs de la HAS. Elles servent uniquement à la gestion des contributions des associations aux travaux de la HAS.

Sauf opposition de votre part, vos coordonnées seront conservées pour pouvoir éventuellement vous solliciter pour d'autres travaux de la HAS. Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par mail à l'adresse suivante dpo@has-sante.fr

Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

☒ Oui

☒ Non Nous travaillons en toute transparence. Nos bilans sont validés chaque année et présentés.



Vous devez remplir cette rubrique même si vous avez coché 'non' à la question ci-dessus. Votre décision sera respectée.

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine de votre financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), sur les trois dernières années.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : _33080_____
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : _44743_____
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) :66167_____
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) :30000_____

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2023	LABORATOIRES	22.000 €	73 %
	DON POUR RECHERCHE	6000€ au 18/04/23	20 %
	DON POUR PREVENTION	500€	1.6 %
	COTISATION	1500€	5 %
2022	LABORATOIRES	38000€	57 %
	DON POUR RECHERCHE	24047€	36 %
	DON POUR PREVENTION	2500€	3 %
	COTISATION	1620€	2 %
2021	LABORATOIRES	22000€	49%
	DON POUR RECHERCHE	21213€	47 %
	DON POUR PREVENTION	0€	0
	COTISATION	1530€	3 %
2020	LABORATOIRES	17900€	54 %
	DON POUR RECHERCHE	13320€	40 %

	DON POUR PREVENTION COTISATION	0€ €1860	5 %
--	-----------------------------------	-------------	-----

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

OPDIVO

Dénomination commune internationale (DCI) :

NIVOLUMAB

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

Accès précoce en monothérapie dans le cadre d'un traitement adjuvant pour adultes et enfants de 12 ans, et plus atteint de mélanome Stade IIB/IIC ayant eu une résection complète

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 psychologique

(sidération lors du diagnostic, car méconnaissance du risque « mélanome » de la population générale). Ne comprend pas de n'avoir pas eu, vu ou lu des informations de prévention sur ce cancer.

Etat de colère du patient qui se rappelle ses mauvais comportements de protection face au soleil. Gène (sur le plan vie sociale quand il pense qu'il va devoir expliquer que ce qui lui arrive c'est à cause du soleil). Trouve grotesque d'avoir un cancer à cause du soleil

Stress, peur, à l'écoute de l'explication par l'onco-dermatologue de cette pathologie. Incompréhension. Prise de conscience que la maladie peut être fatale.

Équilibre fragile, lors des récives c'est l'effondrement.

Fatigue intellectuelle,

incompréhension. les patients se posent mille questions. Insomnies. À l'annonce du diagnostic.

Et ensuite c'est l' Agacement, qui prime, du fait de la non considération des proches, tant , sur le plan privé que pro. sur la maladie. « C'est un petit cancer » !!! la peau ça peut pas être grave.

C'est déroutant pour le patient. Qui s'épuise à expliquer ce qu'il a appris lors de la mise en place de son parcours de soins, face à un auditoire fermé.

Grandes difficultés Au niveau professionnel, dans les relations entre collaborateurs, et services.

Mise en doute de la gravité de la situation du patient. Car pas de perte de cheveux ! Mal considéré, on leurs rétorque souvent, ce n'est pas un cancer du sein, ou du poumon, c'est juste la peau.

Pression verbale, laissant sous entendre que le patient en rajoute !!! fait du cinéma. C'est un combat d'idées reçues de tout instant.

Sur la vie Sociale.

Replis sur soi. Refus des invitations (en extérieur) car la peur des rayons du soleil, durent environ 2/ 3 années.

Focus sur son entourage, les enfants que l'on observe à la loupe de manière intensive.

Atteinte du patient, devant le constat affligeant, de la non prise en c

Sur la vie Sexuelle

blocage car la peau devient l'ennemi. Le toucher devient difficile.

L'impact est différent, de la phase aiguë, au long cours. (de l'annonce à l'évolution de la maladie, la rémission, la récurrence.)

Quand ce qui arrive au patient ne modifie pas les comportements de protection solaire des conjoints, enfants, parents etc...C'est très lourd psychologiquement.

C'est un cancer, honteux, tout ça pour ça !!!!

Beaucoup de critiques non constructives, perturbent l'équilibre psychologique du patient.

Tout le monde y va de sa remarque.

Alors que dans les autres cancers, il y a un soutien et accompagnement spontanés ?

La Douleur, vient post biopsie selon la localisation du mélanome et ensuite durant l'évolution de la maladie et le siège des métastases si le mélanome est avancé.

Mais au début, la douleur n'est pas ressentie.

4L'Impact financier arrive assez vite, si arrêt de travail, répétitifs, si classement en ALD , parfois impact important si besoin de vêtements anti-uv, crème solaire etc selon les revenus des patients.

Les assurances -prêts immo surprennent les patients dans la non prise en charge d'un patient ayant un mélanome alors qu'une patiente atteinte d'un cancer du sein, sera prise en charge. Le mélanome pouvant être fatal si pris en charge tardivement, les assureurs pensent survie diminuée.

Souvent certains patients prennent conscience de la gravité de leur pathologie après un refus de prêt. Quand l'assureur mal adroit dit, si vous aviez eu un cancer du sein, du colon, je pouvais vous assurer mais pas là !!!!

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

XOui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Concernant les questionnaires sur la qualité de vie, QLQ-C30 FACT-M EQ-5D-5M Qualitop (projet Européen) D'autres questionnaires plus fins, plus spécifiques sont en cours d'élaboration.

Mais j'ai eu l'occasion de proposer à des patients de l'Association de répondre en ligne et ou avec des onco-psy et onco dermatologues en présentiel et/ou en visio conférence, à des questionnaires sur la qualité de vie. Groupe de travail, Européens Américains et Français.

Dans le cadre d'essai clinique ou lors des premiers instants d'un traitement sur le marché, l'on observe beaucoup de questionnaires sur l'impact de la maladie puis l'impact des traitements sur le patient. Mais au bout d'un moment, on observe que ces traitements sont mieux compris, utilisés, suivis, appréhender.

Ce qui permet au patient dans son parcours de recevoir les informations pratiques afin d'optimiser le bon usage de son traitement. Et des conseils concernant les moyens d'atténuer certains effets de la maladie.

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*

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.

- *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 ?

Sur ces stades là, l'impact que l'on va retrouver est surtout psychologique. L'annonce de tous cancers est difficile pour l'entourage, mais je note que pour le mélanome c'est un bouleversement très important, car la grande majorité de la population, a une méconnaissance de cette maladie.

Chaque semaine j'entends des patients, aidants, me dire qu'est ce que c'est que ce cancer ?

Comment est-ce possible de se retrouver dans cette situation ? Je n'aurai jamais imaginé que la peau ça puisse être à risque ? On a un cancer à cause du soleil ???

C'est flagrant, le choc de la découverte de cette pathologie les gens ont le sentiment de ne rien connaître sur cette maladie.

Ils sont en colère et me disent qu'ils auraient aimé être bousculé dans les salles d'attentes par des messages de prévention.

Car le constat, est que l'on dit à la population, « surveillez vos grains de beauté » Ou mettez de la crème solaire toutes les 2 heures, mais on ne va pas jusqu'au bout de la communication.

On devrait expliquer, pourquoi on vous dit ça ? Qu'est ce que l'on craint derrière ?

De ce fait les gens pensent, que cela fait partie, des remarques classiques, comme, ne mange pas trop, ne bois pas trop....

Une culpabilité naît, avec des conjoint(e)s qui me disent, « si j'avais su, lui qui fait beaucoup de bateau, j'aurai du insister pour qu'il se protège etc....

Il y a aussi, un sentiment de gêne, quand ils en parlent aux autres, « le côté un peu ridicule d'avoir un cancer à cause d'une protection inexistante et ou défectueuse.

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.

KEYTRUDA (PREMBROLIZUMAB)

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Etre disponible ! Et élargir pour les médecins, l'arsenal thérapeutique des patients ,et pouvoir offrir comme cela a été démontré dans l'étude Keynote une amélioration de la survie, sans récives.

Cela fait 2 mois, que les centres peuvent l'utiliser, les patients en parlent déjà.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les inconvénients des traitements, sont la complexité de traiter ce cancer, c'est le cancer le plus impliqué avec notre système immunitaire. Ce qui fait, que les traitements peuvent être très efficaces au début, et puis on peut observer l'atteinte d'un plateau, des mécanismes d'échappement, car les cellules s'adaptent, la recherche sur les résistances c'est ce qui occupe 30 % des chercheurs en ce moment dans toutes les équipes au niveau international. Les équipes échangent beaucoup afin d'avancer.

cer et comprendre. Les cellules changent de comportement pour se protéger d'une nouvelle traitement. Aussi l'idée de traiter au stade précoce est pertinent, afin de casser le risque de récives.

On souhaiterait que les traitements soignent plus de patients, et plus longtemps.

Mais, qui dit cancer le plus impliqué avec notre système immunitaire, va impliquer automatiquement des réponses différentes selon les individus.

Dans l'association, je fais un tour de France des centres experts, pour être au plus prêt de l'actualité et partager de l'espoir aux patients.

Et j'ai pu observer très nettement l'évolution de l'accompagnement des patients, lors de la mise en place d'un traitement dans son protocole de soins.

Lors de la mise sur le marché de cette classe thérapeutique, des effets secondaires, la gestion des toxicités étaient lourdes, il fallait se familiariser avec cette nouvelle classe thérapeutique.

Aujourd'hui, il existe beaucoup de solutions, pour suivre le patient et gérer au plus près un éventuel début de d'effet indésirable et ou toxicité.

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

Dans cette indication, au stade précoce, il n'y a que le Pembrolizumab.

Demain avec la possibilité de pouvoir proposer aux patients n'importe quel traitement pouvant apporter une survie augmentée sans récive, c'est un service médical important dès lors que l'on parle de GAIN de survie.

Aussi, les traitements qui démontrent au travers de leurs études des résultats probants et importants sur ces critères doivent pouvoir être proposé au patient.

C'est un cancer tellement terrifiant dans son agressivité, avec cette importante capacité à métastaser, qu'il faut pouvoir proposer plus de réponses. car il y a toujours des patients qui ne répondent pas ou peu aux traitements proposés aussi quand de nouveaux résultats apparaissent les patients veulent essayer et nous contactent espérant pourvoir en profiter.

Nous sommes sollicités par les patients, qui nous demandent si nous sommes au courant des différents essais cliniques, dans lesquels ils pourraient participer, ils ne veulent pas attendre pour eux c'est une perte de chance.

J'ai été touché par ce cancer, il est vrai que l'on recherche le traitement qui apporte le plus de résultats. Aussi, dans cette indication on peut mettre en avant que le traitement ne couvre pas actuellement tous les besoins, et demain avec de nouvelles options thérapeutiques, c'est plus de résultats.

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.

L'indication est en parfaite adéquation avec les critères d'inclusion de l'étude.

Elle inclut des enfants au dessus de 12ans, même si cette tranche d'âge est peu touché, le service de recherche de l'institut Gustave Roussy me parlait de 4 % en 2019 .il y a peu de datas sur cette population.

Dans l'étude, concernant le NIVOLUMAB les différents centres en France n'ont pas inclus d'enfant, j'ai appelé quelques centres c'est ce qui m'a été remonté.



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.

Amélioration significative sur les résultats, sur le critère principal.

Jamais observé dans les études avec les immunothérapies.

Sur le critère le plus important qu'est la survie globale sans récurrence le hazard ratio est de 0.42 le plus bas pour une immunothérapie. Dans la moyenne des résultats des différentes études en immunothérapie toutes indications confondues, le hazard ratio se situe autour des 0.6.

Le traitement disponible qu'est le pembrolizumab dans cette indication, affichait dans son étude un score de 0.65

Dès lors que l'on parle de survie augmentée, la différence entre terme d'efficacité sur les 2 résultats des deux études, est importante.

Sur le plan tolérance et ou toxicité, les résultats semblent similaires à ce qui a déjà été démontré.

Pas d'amélioration notoire, l'amélioration est véritablement dans l'efficacité.

Les services disent trouver plus aisé, le choix du protocole d'utilisation, tous les 2 ou 4 semaines pour Nivolumab versus 3 ou 6 semaines pour Pembrolizumab.

C'est plus rapide et visuel à compter pour les prises de rdvs.

Dernier point, sur les différences observées. On nous a parlé les pharmaciens et médecins n'ont pas évoqué un coût moindre.

Ce qui sur le plan médico-éco serait pertinent de plus. Mais nous n'avons pas approfondi ce sujet.

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 ?

Dans cette indication, le principal inconvénient est le non accès encore pour les patients et médecins aux vues des résultats.

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 ?

Les améliorations attendues sont sur les critères d'évaluations de l'étude. Soit une augmentation significative des résultats en terme d'augmentation de la survie globale, survie sans récurrence Supérieure ou égale au produit actuel. Et l'attente est au RDV

A partir du moment où la survie est augmentée, le risque de récurrences diminué c'est la qualité de vie qui est optimisée de fait, psychologiquement. Par une levée de stress pour le patient, face au tableau des possibles évolutions de sa maladie lors de la mise à plat des possibles options.

Sécurité d'utilisation toujours mieux encadrée.

Au regard des résultats présentés lors du congrès SMR (society melanoma research) 2023

La diminution du risque est très importante, jamais observée avec une immunothérapie.

Hazard ratio de 0.42 soit pour le nivolumab une réduction de 58 % du risque

Les résultats se recoupent quand on observe l'intervalle de confiance dans l'étude.

Hazard ratio de 0.65 soit pour le pembrolizumab une réduction de 38 % du risque

Les résultats de sous groupes ont moins de poids bien sûr.

Mais cohérence des résultats dans chaque sous groupes pour le Nivolumab

et pas démontré dans le sous groupe 2C pour le Pembrolizumab.

Mais à analyser avec prudence car il s'agit des analyses secondaires

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 ?

La crainte quand une demande d'accès précoce est demandée, avec résultats importants par rapport aux traitements actuels dans cette indication. C'est que,

Si la demande est acceptée, il ne faut pas qu'ensuite, la mise en place soit lourde sur le plan administratif. Pour le service hospitalier.

Le temps est compté dans les services bien évidemment, et si l'accès à cette nouvelle prise en charge est freiné, par la complexité d'un processus fastidieux pour les centres hospitaliers, les méde-

cins seront gênés par la mise en place de dossier permettant au patient de recevoir le traitement dans cette nouvelle indication. Cela serait une perte de chance.

Les patients l'apprendront, et nous aurons une vague d'incompréhension qui remontera jusqu'à nous, association VAINCRE LE MELANOME ET AUTRES CANCERS DE LA PEAU.

Ces derniers nous demanderons d'agir.

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 ?

Cette maladie est grave en différents points :

C'est le cancer le plus impliqué avec notre système immunitaire, et malgré la prise en charge de + en + personnalisée, la réponse n'est pas linéaire, ni suffisante, les onco-dermatologues souhaiteraient guérir plus de monde avec une survie augmentée. .

C'est la maladie qui challenge le plus les équipes de recherche, car elle est complexe, avec ses différents mécanismes d'échappement, d'adaptation, d'envahissement et de migrations. Je visite tous les centres de recherche en France, et ces derniers affirment que c'est sur ce cancer que la recherche est la plus active.

Elle est grave, car elle engage le pronostic vital potentiellement.

Elle peut avoir un fort taux de récives, car dans ce cancer, on observe et traite les cellules tumorales, mais on est face à l'inconnu de ses micro-cellules tumorales invisibles que l'on ne voit à aucun moment lors des différents bilans et examens. Il faut attendre qu'elles évoluent pour les voir !

Cette maladie est grave et violente car elle a un mode de diffusion multiple, qui peut aller des vaisseaux sanguins aux cellules lymphatiques et cellules du système immunitaire. Elle est grave aussi, car elle a une capacité de nuisance importante dans sa capacité à métastaser,

Elle a aussi une capacité de nuisance psychologique très importante.

Pour toute annonce de cancer, le ressenti est difficile, mais dans ce cancer, il y a une importante sidération, car méconnaissance de la maladie du grand public, méconnaissance du risque, et incompréhension de la gravité possible sur un organe comme la peau.

Il n'y a pas de douleur au début, donc le patient passe d'un état normal où il consulte pour un petit grain de beauté ou tâche qui s'est modifié, à un lourd diagnostic.

Cette maladie est grave, car seule, la précocité du diagnostic permet d'avoir un bon pronostic. C'est une course contre la montre entre l'observation chez le patient et la prise en charge réelle. Or le critère de gravité c'est l'épaisseur de la lésion. Et face à la spécialité de dermatologie en baisse, cela devient un véritable problème de santé publique.

Un grand pas a été fait, quant à la mise sur le marché d'un arsenal thérapeutique il y a une dizaine d'années. Mais tous les centres experts de recherche clinique, moléculaire, fondamentale, concordent à dire que le progrès dans la prise en charge de cette pathologie, viendra de la prise en charge précoce. Afin, de pouvoir enrayer ces micro-cellules tumorales invisibles dès le début. Il est urgent et nécessaire de déclencher au plus tôt, les actions du système de défenses immunitaires. Le booster, supprimer la confusion ou inactivité du système immunitaire

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

Il ne s'agit pas de traitements non appropriés, mais plutôt de traitements pas accessible à ce stade précoce de par l'AMM.

L'indication n'étant pas proposée aux patients, c'est une perte de chance possible que de ne pouvoir agir tout de suite sur les cellules visibles et invisibles.

Au regard des examens on pourrait se dire qu'après résection complète, les stades IIB IIC n'ont pas besoin de traitement !

Mais les essais cliniques montrent que l'on peut retarder la récive après intervention, que l'on peut augmenter la durée de survie, diminuer le risque de récive.

Je fais au sein de l'association, de l'accompagnement patients, sur toute la France, ce qui me donne une bonne photographie de ce qui se passe. Je peux vous garantir, que je retrouve des patients qui soufflaient un peu, après leur prise en charge, la résection, tout allait bien, et je les retrouve en catastrophe, parce que ça redémarre ! et là ils sont complètement décontenancés.

Sur la stratégie des traitements adjuvants, quand nous leurs expliquons, la balance bénéfice/risque, pour des patients qui n'ont plus rien, sont 'ils prêts à prendre une immunothérapie, ils répondent un

grand OUI. Car le stress généré par l'annonce de ce cancer si agressif, les a mis à terre, et à partir de là, ils veulent toutes les chances, de régler ce problème, une fois pour toute.

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).*

Sur un cancer comme le mélanome qui est le cancer le plus impliqué avec notre système immunitaire, pourvoir au stade les plus précoces, taper sur les cellules tumorales visibles et invisibles, c'est se donner des chances de diminuer, voire retarder ou enrayer la récurrence et augmenter la survie..

C'est une chance de freiner la migration, de pouvoir dès le début taper fort, est important, car dans ce cancer, les chercheurs notent une première réponse efficace quand le patient répond bien, puis un phénomène plateau, dû aux mécanismes d'échappement, car entre temps les cellules tumorales, macro/micro se sont adaptées au traitement. Elles résistent. Aussi, en tapant plus fort de suite, avant que le ganglion ne soit envahi, on peut optimiser la réponse et prise en charge. Cette stratégie, peut nous laisser imaginer casser la chaîne des réactions en cascade dans le temps. Le système immunitaire de chaque individu est différent, se donner les chances de la booster aux premiers stades c'est se donner des chances, de ne pas vivre la récurrence, l'escalade des examens et bilans, le stress engendré, qui nuit à la qualité de vie.

Nous avons de plus en France un problème de couverture médicale insuffisante dans cette spécialité qu'est la dermatologie. Les experts parlent d'une spécialité au bord du précipice, une problématique de désert médical, un très grand nombre de départs à la retraite attendus à court terme, une spécialité qui attire de moins en moins, sur le plan clinique, mais qui attire sur le plan esthétique aux vues des demandes importantes de la population, un nombre d'internes insuffisant qui n'arrivera pas à contrebalancer le manque de dermatologue à venir tout ceci, amène à un constat, qu'est la complexité de prendre en charge précocement le patient. Seul gage pourtant d'un meilleur pronostic.

Alors des stratégies se mettent en place, formation des médecins généralistes, utilisations de la télé-expertise en plein essor, télé-médecine, car une prise en charge non optimale, sera une perte de chance pour le patient. Alors tout de suite, une fois identifié, le cadre de la prescription, pouvoir être

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

plus efficace de suite et dans le temps, c'est optimiser le parcours patient, c'est un impact aussi sur les aspects de médico-éco, car si pas de récurrences, ou peu ou retardées, c'est une qualité de vie augmentée, moins de consultations en onco-psy, moins de consultations et examens dans les services hospitaliers qui peut nuire à la vie du patient, dans sa vie et organisation Privée et Pro. Réduire les récurrences, c'est aussi la possibilité d'améliorer son score au niveau des assurances, prêts bancaires etc...

l'innovation est arrivée il y a plus de 10 ans avec la découverte de cette classe thérapeutique, un grand pas dans la prise en charge en oncologie. Mais l'innovation aujourd'hui ce sont les résultats jamais observés quant à la réduction du risque. Jamais des scores inférieurs à 0.6 en hazard ratio n'avaient été mis en évidence. Aujourd'hui on va pouvoir proposer aux patients, une réduction du risque de 58 %. C'est très important.

C'est un changement substantiel d'efficacité, les résultats sont concrets. C'est une amélioration du service médical très importante pour le patient.

Le traitement ouvre la possibilité de traité demain de jeunes patients, même s'ils sont peu nombreux et heureusement.

Ceci dit, à prendre avec du recul, car il n'y a pas de datas précis en France, mais si je prends en compte la tendance évoquée par les oncologues, c'est l'observation de plus d'enfants qu'avant en consultation, chez qui ont découverts un stade très débutant, mais cela interpelle, car ce n'était pas le cas avant.

Ce qui amène à penser, qu'il faut revoir la communication sur la prévention et sensibilisation à ce risque.

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 ».

tique – 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 ?

Au sein de l'association, j'ai l'occasion de proposer régulièrement, pour la France, l'Europe et ou autres pays, des questionnaires aux patients qui nous suivent. Ces derniers apprécient pouvoir participer à de tels ateliers de réflexions.

Je me rends compte, qu'il est plus facile pour eux, de cocher des éléments listés en amont, avec juste pour chaque item, la possibilité s'il le souhaite d'enrichir sa réponse par un commentaire.

Que de répondre sur une page blanche.

Je crois beaucoup à l'accompagnement dans la prise en charge. Et si celui-ci est bien expliqué que ce soit sur l'aspect stratégie, avec une vision, sur les différentes options, de traitements, en expliquant ce que l'on cherche à faire et à obtenir, le patient devient participatif, acteur de sa pathologie. Concernant les produits lourds comme en cancérologie,, c'est acquis pour eux, ils savent qu'il y a de fortes chances pour qu'ils aient quelques Effets secondaires. Mais on maîtrise mieux, ce que l'on connaît mieux. Tout est dans la communication.

L'avantage aujourd'hui dans l'utilisation de l'immunothérapie comme l'exemple dans ce dossier, c'est que les médecins ont avancé, ils maîtrisent mieux ces traitements. Ils sont attentifs aux éléments déclencheurs d'Effets indésirables. L'idée étant d'anticiper au mieux.

C'est le cas, d'une stratégie qui m'a été donnée de suivre et observer sur Lyon, aux HCL en service d'onco-dermatologie, c'est le dispositif ImmuCare. L'idée gérer au mieux le risque de toxicité lié aux immunothérapies. Ce dispositif permet de réduire le risque de consultation en urgence, mieux appréhender les signes cliniques, qui même s'ils sont moins fréquents en monothérapie, permettent d'anticiper considérablement la prise en charge du patient.

Ce système a été mis en place par des experts, qui ont listé un certain nombre de questions à poser aux patients. Dès la sortie de l'Hôpital, le patient via une tablette recevra un message de son médecin qui le suivait dans le service, et le patient aura à répondre et cocher aux questions listées par les médecins. Ces derniers reprennent les différents éléments stipulés dans la fiche du produit.

Tout ce qui pourrait arriver est listé. Toux, fatigue, diarrhée, essoufflement perte d'appétit, neuropathies, vomissements ...

Le patient doit remplir toutes les cases. Et si plusieurs sont cochées, un rdv dans le service est de suite mis en place avec les différentes spécialités et examens adaptés.

Cette stratégie permet de répondre au plus près, d'un éventuel effet secondaire qui démarrerait ; et proposer une prise en charge ultra précoce.

A ce jour, le service pense avoir augmenté sa connaissance sur les toxicités induites par le traitement.

Gestion améliorée des effets indésirables s'ils surviennent.

Mise en place de programmes de recherches pour étudier les mécanismes de survenue des EI, et les anticiper.

Mise à disposition des patients et leurs médecins traitants d'outils pour repérer et traiter précocement les toxicités induites par le traitement qui peuvent impacter sur leur qualité de vie.

A ce jour, c'est sur cette région, un réseau pluridisciplinaire d'experts en immunothérapie et toxicité associés.

Une plateforme de demande d'avis médicaux en ligne. Optimisation de l'hospitalisation à domicile

Un numéro de téléphone dédié aux professionnels de santé sur cet item.

Avec ce dispositif, les médecins arrivent à pallier au plus juste aux problèmes quotidiens des patients. Une base de données importantes sur les données cliniques et biologiques de patients traités par immunothérapie s'enrichit chaque jour, et peut déjà mieux identifier les mécanismes à l'origine des toxicités ;

On peut imaginer ce type de démarche démultipliée.

Sur le plan psychologique, c'est une « béquille » importante pour le patient. Il est rassuré, il s'en a une équipe autour de lui prête à agir si besoin.

Tout ceci dans un esprit d'efficacité, pour une optimisation de prise en charge.

Chez les enfants, des questions également peuvent être construites avec un côté plus ludique ou imagé selon l'âge.

Sur la qualité de vie, des questionnaires en vie réelle peuvent être proposés. Il faut utiliser différents supports, car certains patients seront plus à l'aise avec tel ou tel outil en ligne ou papier.

L'accompagnement de ces nouvelles thérapies a beaucoup évolué en quelques années.

Des questionnaires comme QLQ-C30 FACT-M EQ-5D-5M Qualitop et d'autres en cours

J'ai appelé le laboratoire afin de voir ce qu'il pensait eux aussi mettre en place dans cette indication pour le patient.

Il existe déjà une pochette avec toutes les informations pour la mise en place de l'immunothérapie.

Conseils, livrets, questionnaires, des cartes appelées « Alerte patient » des brochures sur la pathologie, des carnets de liaisons. Des blocs avec feuillets détachables représentant le corps humains, avec les possibles atteintes de la maladie quant à son évolution et les possibles effets indésirables et toxicités. Avec devant chaque zone, l'explication de ce qui pourrait alerter.

Ils existaient des versions pour l'immunothérapie en règle générale, puis le mélanome, le mélanome métastatique, ils vont mettre en place le 4ème volet des stades 2II/2C

Acteurs importants également, dans le parcours de soins du patient, c'est le médecin traitant, ces derniers ne peuvent recevoir la visite et explications des laboratoires, sur ces traitements et leurs BON USAGE. Car le réglementaire ne permet pas de rencontrer des médecins qui ne sont pas les initiateurs de la prescription.

Et pourtant, le médecin est parfois ennuyé, face à un risque d'effets secondaires induits par une oc-prescription, aussi de l'éducation thérapeutique quant aux précautions d'emploi me semble pertinente.

J'ai eu l'occasion de voir une application mis en ligne par une onco-dermatologue pour des médecins généralistes. Objectif de l'appli, c'est de proposer aux médecins une plateforme d'information pratique et d'échanges autour des traitements, Bum et Précautions d'emploi.

Améliorer la prise en charge, informer et former, proposer accès à des e-RCP ; Etc.

Des traitements lourds sont mis en place chez leurs patients et c'est désagréable pour eux de ne point être à l'aise avec ces traitements.

L'appli se nomme OncoDerm les pharmaciens aussi peuvent s'y inscrire ainsi que les para-médicaux

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. ?)

Pour collecter au mieux, cela doit passer par le support sur lequel il est le plus à l'aise.

Tout démarre d'une éducation thérapeutique. Et d'une communication et s'assurant, que le patient est bien compris, ou l'intérêt, ou les options proposées, ou ce que l'on cherche à comprendre, définir ou anticiper.

Dès que le patient, à compris, que tout cette mise en place, dans son parcours de soins, est faite, pour qu'il n'est pas, ou peu d'effets indésirables, ou que l'on puisse traiter au plus tôt un effet de toxicité, qu'on puisse lui apprendre à gérer différents EI potentiels etc ... Il y aura adhésion.

Car rationnel et pragmatique. (vous êtes sensible aux vomissements, vous pouvez tenter de séquencer vos repas etc... une équipe hospitalière à Beauvais propose cet enseignement aux patients, idem pour la fatigue, etc etc. Et pour ce qui est plus lourd, le patient arrivera au fil du temps, à anticiper et ressentir le début d'un effet indésirable. Il faut que le patient soit acteur de sa pathologie, pour mieux la vivre et l'anticiper.

Cela peut-être des questionnaires sur téléphone, tablette. Papiers ou livrets patients pour d'autres. Il faut trouver le support, qui correspond le mieux au patient.

Si ce dernier est âgé, et ou avec un handicap, alors cela peut être un proche.

L'idée du démarrage de l'apprentissage en milieu hospitalier est optimale. Le patient se sent entouré, accompagné dans son parcours. Cela peut être fait avec l'aide des patients partenaires, experts, centres ERI, et ensuite le patient se lance tout seul chez lui.

Si soucis, possibilité d'avoir une écoute pour le guider.

Je note aujourd'hui l'impact psychologique positif d'accompagnement de ce type. Même si le patient est conscient qu'un traitement dans le cancer a un effet sur l'organisme, il se sent rassuré. En confiance.

Des questionnaires sur la Qualité de vie permettent de mieux accompagner le patient et d'avoir une photographie intéressante et juste.

Comme Qualitop (projet Européen)

les différents traitements sont accompagnés de dossier complet avec toutes les infos nécessaires pour optimiser le bon usage.

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données



La soumission d'un « protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données » (PUT-RD) est une obligation légale pour le laboratoire pharmaceutique qui soumet une demande d'accès précoce. Ces données d'utilisation vont renforcer les connaissances sur le médicament en pratique clinique habituelle.

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.



Le PUT-RD n'est pas publié sur notre site. La HAS peut décider de le transmettre tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale.

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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

☐ Oui

☒ Non mais j'ai échangé avec beaucoup de centres experts, qui étaient investigateurs, afin d'avoir leurs retours, ainsi que les remontées des patients

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

Je vais en faire la demande. Nous pensons, que notre association dans ce domaine, pourrait aider peut-être les patients dans cette démarche ?

Proposer des liens vers des questionnaires, faire des publications afin d'expliquer l'importance de ces outils de surveillance.

Nous pourrions être une aide sentinelle.

Nous avons des échanges avec des patients de toute la France, ce qui nous donne une bonne photographie des attitudes, besoin, manquements, disparités, et si à minima, l'association pouvait prétendre à apporter les accès à l'information, les liens le suivi etc, cela serait optimisé.

C'est une idée. Pouvons nous avoir un rôle dans la prise de conscience et éducation des EI et ou Toxicité possible et actions à mettre en place pour les patients ;

des blocs papiers détachables existent où le corps humain est représenté. Les points possible d'apparition de toxicité ou effet indésirable sont notés. Inconsciemment cela s'inscrit dans l'esprit du patient et lui permet d'être vigilant.

C'est pertinent également pour les aidants. Tout ce qui pourra être du domaine du pratico-pratique, pour le suivi et contrôle d'un effet secondaire potentiel ou d'une toxicité sera opportun .

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 selon mes disponibilités

☐ Non

Pour quelles raisons ?

Parce que cette pathologie, m'impressionne. Par sa gravité, son caractère si agressif dans sa capacité à métastaser. Je l'ai vécue personnellement, il y a 20 ans et ai vécu le stress important de mon dermatologue libéral, puis des services experts comme l'IGR, mais qui dans ce domaine était sous le joug, de la pauvreté de prise en charge de ce cancer.

Car il n'y avait rien. C'était frustrant pour les oncologues. On ressentait le stress aussi chez eux. Une survie très courte dès lors que le mélanome était pris tardivement, la seule prise en charge était le suivi serré. Et là dans le service vous voyez au fil des mois, des années, les gens disparaître !

Puis lors de mon second mélanome, nodulaire cette fois, il y a 7 ans, j'ai vécu les choses différemment.. Evolution dans l'approche et prise en charge.

Je suis Bretonne (1^{ère} région touchée par le mélanome du fait de nos activités nautiques intenses et du ciel souvent voilé qui nous amenait à ne pas nous protéger)

Aussi ai-je décidé de m'investir dans la prévention et sensibilisation autour des cancers de la peau.

Car chaque jour je suis ahurie du manque d'information de la population générale. Chaque jour des patients me contactent complètement déboussolés face au lourd diagnostic qu'on leur fait. Ils me disent ne pas avoir entendu parler de ce risque. Ils ont entendu des messages disant de se protéger du soleil, mais ce ne sont pas des messages jusqu'au boutistes de ce fait il n'est pas expliqué ce que l'on craint, pourquoi on demande de se protéger, quels sont les risques, ;

Il faut se rendre à l'évidence que les messages de communication sur ce cancer sont un échec. La population générale n'a pas pris la mesure du risque.

Alors oui, il y a moins de cancer de la peau que de cancer du sein, pourtant les chiffres sont parlants. Le Mélanome évolue de 14% quand le cancer du sein évolue de 3%.

Le Mélanome est devenu la 1^{ère} cause de cancer du jeune adulte

Des experts mettent en avant que du fait du réchauffement climatique, la population générale, sera exposée de manière plus intensive et plus longue aux UVs et ils évoquent le fait qu'il se pourrait, si la population ne réagit pas, arriver, à ce qu'en 2040, les cancers de la Peau soit la 1^{ère} cause de cancer de la population générale.

J'accompagne des patients jusqu'à la fin, et j'ai eu sur 2022, une série de jeunes patients et jeunes adultes qui sont décédés, ça fait réfléchir et réagir.

Face à ce cancer visible avant qu'il ne soit trop grave on peut agir, en faisant de la communication. Si certains dans la population passent au travers de la prévention et son traitement pour un mélanome, si on leur propose, une stratégie adjuvante sur des stades précoces, alors on soignera plus efficacement, avec bien entendu, un accompagnement optimal.

Les patients de plus, vivent très mal, les différences d'AMM et ou Remboursement de traitement, entre les différents pays d'Europe, et autres pays ?

C'est une incompréhension importante, un sentiment d'injustice. Nous les accompagnons moralement, les aidons c'est difficile.

En tous cas, sachez que les patients sont partants, pour être participatifs, et faire avancer les choses.

Alors quand je vois, qu'il est possible qu'un traitement pris précocement puisse régler ce qui pose un problème à savoir ces micros-cellules tumorales, mutations et adaptations de ces cellules, alors peut-on espérer traiter et guérir plus de patients et plus longtemps en augmentant la survie.

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.

Les plus grandes difficultés du vécu patient sont :

La sidération à l'annonce de la maladie. (la méconnaissance du risque est impressionnante)

La non considération de ce cancer, auprès de patients atteints d'autres cancers ! et ou la famille entourage, pro et privé, ce qui crée un impact psychologique important. (c'est un petit cancer, c'est la peau !!!! C'est pas comme moi avec mon cancer du sein) tu n'as pas perdu tes cheveux donc tu n'as pas un cancer grave !

Au niveau pro, l'impact psychologique est important, beaucoup de pression, harcèlement, observés ? Par méconnaissance, de ce fait, les collaborateurs, managers etc ; pensent (c'est du cinéma, l'employé en rajoute, la peau !!!! elle ou il n'ont même pas perdu leurs cheveux ..)

Le stress, de voir que la prise en charge médicale peut être complexe. Tout le monde n'a pas accès aux services experts. La peur, face à la connaissance du manque de dermatologue.

Une colère très importante à gérer, (la cause étant l'exposition aux UV, le regret de n'avoir pas été mieux informé des risques, la culpabilité d'en arriver là, tout ça pour être bronzé !!

De ce fait la fatigue intellectuelle est importante du fait de la prise de conscience. Cet effet secondaire est souvent rapporté, 40 % environ, mais elle n'est pas liée au traitement, mais au diagnostic

Le ressenti est différent par rapport aux autres cancers.

Quand les femmes sont en âge de procréer, elles prennent conscience sont dans une situation qu'elles n'avaient pas imaginé, à cause du soleil :

Sur le plan psychologique, l'impact en miroir, de la non modification des comportements solaires vis à vis de l'entourage.

Concernant les traitements

C'est un progrès énorme qui a été observé lors de la mise sur le marché de ces nouveaux traitements ;

Mais il y a beaucoup à faire encore, beaucoup à observer et faire évoluer.

Les centres de recherches que je rencontre, pour observer leurs préoccupations, nous disent, que les chercheurs conviennent de dire, que c'est la maladie qui les challenge le plus.

Ce cancer est d'une complexité importante, parce qu'il est le plus impliqué avec le système immunitaire, par son mode de diffusion dans l'organisme, par sa faculté à s'adapter au traitement et trouver les parades.

Ces traitements répondent à un besoin important dans l'arsenal thérapeutique qui était bien maigre il y a quelques temps, mais des patients ne répondent pas ou peu, et ce pourquoi il faut encore chercher pour les prendre en charge.

Cela passera pour certains patients, à utiliser des traitements avec différents modes d'action .

Il y a des mutations observées, comme la mutation NRAS où il n'y a rien encore.

C'est de très mauvais pronostic.

J'ai accompagné l'année dernière une jeune femme de 40 ans . En pleine forme ; excellente santé, et puis l'annonce d'un mélanome. Ce dernier est mutée. Elle nous contacte, elle est effondrée, car ne connaît pas cette maladie. Elle a 2 enfants dont un petit dernier. Elle souhaite entrer dans un essai clinique. Je contacte différents centres, la France, n'a pas de centre sur ce critère.

Elle souhaite entrer dans le service d'un onco dermatologue Suisse qui lui a l'essai clinique.

Il s'organise avec son mari, pour le 1^{er} RDV, c'est de mauvais pronostic cette mutation, si on s'en tient aux % des différents travaux à dispositions au niveau international.

Le stress et peur, grimpent, son oncologue Français, lui dit de profiter de sa vie, de ses enfants, mari, entourage. Que l'on ne peut à ce jour apporter une aide thérapeutique, à part le soulagement psychologique, et douleurs si besoin.

Elle est atterrée, elle n'aura même pas le temps d'aller en Suisse, elle s'éteindra quelques jours après Noël.

Elle était impressionnée, d'observer que dans ce cancer si agressif on passe d'un état de santé très bon, à l'impensable en quelques mois.

Alors c'est un grand pas les nouveaux traitements, les nouvelles indications, il faut traiter, et avoir une prise en charge le plus précocement possible pour un meilleur gage de pronostic.

Mais insuffisant, les oncologues, aimeraient sauver plus de monde et augmenter la survie.

Ce sont des produits lourds mais maintenant bien gérés par les centres habitués et familiarisés à mettre en place ces traitements d'immunothérapie.

BUM est rassurant aujourd'hui.

De nombreux systèmes, outils de surveillance, accompagnements, mettent le patient en éveil et confiance.

Que ce soit sous format papier, en ligne, au téléphone....

Il y a un accompagnement optimal des centres, des infirmières qui appellent quelques jours avant le traitement, puis 1 semaine après.

Des livrets, des brochures, tout est utilisé.

Avec deux voies de contrôles.

La surveillance en fonction de la fréquence possible du type d'EI (peau, thyroïde, colites)

La surveillance en fonction de la gravité possible (myocardite, hépatites, atteintes neurologiques).

Toutes personnes dans le parcours de soins du patient est attentives à cela.

Les oncologues font attention pour les femmes à la contraception et fertilité chez les femmes en âge de procréer.

L'impact sur les activités quotidiennes est très variable d'un individu à un autre, globalement peu d'effet si on se base sur les données publiées évaluant la qualité de vie de manière globale Anti-PD1 versus placebo.

La recherche sur les résistances occupe 30 % des chercheurs en ce moment.

Ce cancer est un modèle particulier pour la recherche.

Leurs réflexions portent sur le fait, de pour traiter tôt, pour empêcher les cellules de s'adapter rapidement et empêcher ou limiter la progression tumorale.

Des micro-cellules sont invisibles au scan, traiter tôt c'est se donner plus de chance de ne pas créer d'échappement.

L'année 2022 a été lourde en accompagnement de patients, qui aujourd'hui sont décédés.

Beaucoup de jeunes adultes !

De parents de la Quarantaine qui laissent des enfants, tous frappés par la violence et rapidité de ce cancer.

Aussi, en tant qu'association de patients, et patiente moi-même, je ferai tout pour mettre en œuvre, des modèles d'informations grand public, sur cette pathologie.

Tout pour faciliter l'accès, aux soins, aux thérapies, qui apportent un bénéfice.

A cause d'une forte exposition aux UVs, peu ou non correctement protégée, le patient apprend que cette maladie qu'il ignorait, peut être fatale, aussi, en écoutant ces derniers nous pouvons vous assurer qu'ils sont prêts à tout pour tester, un traitement qui peut leur apporter un bénéfice.

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.

Comme tout nouveau traitement, toutes nouvelles classes thérapeutiques, ce qui est difficile ce sont les débuts.

L'ajustement, la compréhension du fonctionnement du traitement, l'écoute du patient afin de déceler ce qui était décrit dans les essais cliniques.

Mais plus de 10 ans plus tard, avec le recul en vie réelle, nous avons sur le territoire, des médecins familiarisés, avec ces nouveaux traitements.

Ils ont innové d'ingéniosité en créant tous, des outils, pour mieux appréhender le risque, déceler un début de toxicité, les services et leurs équipes, sont de ce fait très bien rodés et gèrent au mieux ces traitements.

Ils ont trouvé des trucs et astuces pour palier ou atténuer des effets secondaires ;

Dans le parcours du patient, de nouvelles aides l'accompagnent pour optimiser sa prise en charge.

Aide psychologique, l'APA, qui apporte beaucoup de biens aux patients, des suivis en ligne avec son centre pour les amateurs du net.

Ces nouveaux traitements peuvent être spectaculaires, je n'avais jamais vu cela auparavant.

Quand le patient répond, cela peut être impressionnant en peu de temps la disparition des métastases.

Mais ici nous ne sommes pas dans cette indication. Puisque nous sommes en stade IIB IIC.

Mais si l'on peut, donner un maximum de chance au patient, pour qu'il ne se retrouve pas plus tard dans la situation que j'accompagne de rechute et récidive, traiter précocement apporte d'importants résultats sur l'augmentation de la survie sans récidive.

Etant un peu l'écho des remontées patients, nous pouvons vous dire, qu'ils disent OUI, à ces avancées. Nous sommes sollicités sans arrêt, pour des demandes de placement en essai clinique, les patients sont à la recherche de ce qui peut leur apporter un bénéfice.

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 téléphoniques, 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 ?

1/ analyse des remontées patients sur nos différents supports digitaux, mails via notre site, messagerie privée de notre page Facebook, mails direct sur mon adresse perso.

Échanges/patients. Par téléphone, lors de manifestations de prévention et sensibilisation sur cette pathologie.

2/ Échanges avec quelques centres experts ayant eu l'étude, le design de l'étude (bras 2/1) dans les critères d'inclusion, tolérance, remarques particulières. infirmières, pharmaciens

3 / Recul sur les remontées des centres de recherches

4/ Récapitulatif de la Présentation de l'étude en congrès (Society Melanoma Research)

5/ Retombées presse

6 /Laboratoire afin de connaître les outils qu'ils prévoyaient de mettre à disposition des médecins et associations pour optimiser le suivi, la compréhension etc.

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

Dans d'autres contextes, comme nous l'avons fait auparavant les témoignages sont plus aisés, car le patient nous parle de son expérience.

Ici je ne pouvais créer un biais dans la remontée du fait que dans l'étude il s'agit d'un double aveugle ou double insu. Ni le médecin, ni le patient ne sait ce qu'il a reçu. Aussi , mon objectif en interrogeant les médecins, c'étaient d'observer que ce qui était observés dans cette indication de traitement au stade IIB IIC soit à minima au moins cohérent et conforme avec les études publiées précédemment dans les autres indications.

C'est le cas.

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

Les personnes qui ont contribué à cette contribution, sont celles évoquées plus haut. C'est grâce à leurs remontées respectives, que j'ai pu répondre à votre demande.

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

Je suis la seule personne à avoir fait ce travail, grâce aux échanges riches et constructifs des différents acteurs cités plus haut.

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

Entre la recherche d'information, le classement de ces dernières, et l'écriture je dirais 4/5 jours.

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

Pas spécialement, il est vrai que si le produit avait été déjà sur le marché, j'aurais pu récupérer des témoignages de patients.

Peut être ce sera la seconde phase ?

J'aurai peut-être besoin d'aide sur vos attentes également.

C'est la 1ère fois que je remplis un dossier comme celui là.

Je n'ai pas été très synthétique sans doute.

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](#).

