
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

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

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	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	14
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	17
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	18
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	18
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	28

Introduction

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

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

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

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

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

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



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

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

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

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

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

Note importante

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

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

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

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) :

Vaincre le
mélanome
et autres cancers de la peau

Site internet :

www.vaincrelemelanome.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

8 Chemin de Maltaverne 45230 Sainte Geneviève des Bois

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

LIBTAYO

Dénomination commune internationale (DCI) :

Cemiplimab

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

Libtayo est indiqué pour le traitement des patients atteints d'un carcinome épidermoïde cutané (CEC) métastatique ou localement avancé qui ne sont pas candidats à une chirurgie curative ni à une radiothérapie curative, et qui ne sont pas éligibles à une chimiothérapie (situation d'échec ou de contre-indication à la chimiothérapie

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☒ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



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

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

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

- Fatigue intellectuelle ou physique*
- Activités de la vie quotidienne*
- Mobilité/déplacement*
- Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- Vie professionnelle – Capacité de travail*
- Vie affective*
- Vie sexuelle*
- Vie sociale*
- Impacts psychologiques*
- Douleur*
- Aspects financiers*
- Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

Le CEC de stade avancé, inopérable ou métastatique est une maladie invalidante, stigmatisante car elle touche principalement le visage et la sphère ORL.

Cette maladie entraîne chez le patient des douleurs, des démangeaisons, des déformations notamment suite à de multiples chirurgies antérieures.

Elle a un impact social important lié à l'isolement dans lequel se trouve le malade en raison des effets décrits précédemment.

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 ?

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

☒ 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 ?

Dans les formes localement avancées du CEC, la vie quotidienne et sociale du patient est très

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

impactée par cette maladie invalidante, défigurante, déformante, rendant les visages monstrueux. Les personnes atteintes sont principalement des personnes âgées qui se trouvent de ce fait très isolées et se sentent exclues de la société. Les lésions du CEC sont de plus très douloureuses. Dans les formes métastatiques le pronostic vital des patients est clairement engagé (cf témoignages patients en pièce jointe)

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.

Au stade de la maladie auquel est indiqué le Cemiplimab il n'y a pas d'autre alternative thérapeutique. Les patients sont traités au préalable par chirurgies, radiothérapies et chimiothérapie (sels de platine) qui n'ont pas permis de stopper l'évolution de la maladie. La toxicité des sels de platine qui sont indiqués dans le CEC est parfaitement documentée. Il est noté un manque d'efficacité à long terme avec des complications cardiaques, rénales et des infections.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Il n'y a que des inconvénients avec les traitements actuellement disponibles, dont l'efficacité est limitée dans la durée (Survie Globale de 5 mois en moyenne) et qui s'accompagnent de nombreux effets indésirables préjudiciables à ces patients âgés, déjà fragilisés par la maladie

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Cf supra

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

Nous avons eu accès au courrier que le Groupe de Cancérologie Cutané (GCC) de la Société Française de Dermatologie vous a adressé le 23 avril 2023. De l'avis même de ces Experts, jusqu'à l'autorisation Européenne du cemiplimab dans le CEC avancé / métastatique, le pronostic était très sombre. Chez des patients traités (hors AMM) avec des anti-EGFR ou de la chimiothérapie, le taux de réponse n'est que de 26% et la durée moyenne de réponse de 5 mois. Comme déjà souligné plus haut, la chimiothérapie est souvent mal tolérée dans cette population âgée et les échappements sont rapides. Quant à l'efficacité des anti-EGFR elle est limitée avec des résistances secondaires quasi constantes et une tolérance moyenne.

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.

Il n'est pas possible de répondre dans le cadre de la question 1.3.1 donc nous répondons ici aux 2 questions :

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 ?

Le libellé de l'indication nous semble être restrictif pour les patients, car compte-tenu des résultats d'efficacité et de tolérance du cemiplimab, il devrait être proposé d'emblée aux patients sans avoir à leur faire subir les affres d'une chimiothérapie dont le rapport bénéfice /risque est plus que questionnable éthiquement, lorsque l'on dispose d'une alternative comme le cemiplimab...

Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :

Le cemiplimab est le seul anti-PD1 autorisé en Europe depuis le 1er Juillet 2019 dans cette indication avec un taux de réponse objective élevé de l'ordre de 50%. En outre les données de long-terme

divulguées lors du congrès de l'ESMO de septembre 2022 confirment ces très bons résultats après un suivi médian de 16 mois qui démontre :

- Un taux de réponse objective compris entre 45 et 51%
- Une durée de réponse médiane de 41,3 mois
- Une survie sans progression de 22,1 mois
- ... et une **Survie Globale toujours non atteinte !**
- Aucun nouveau signal de tolérance.

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 ?

- Le cemiplimab ne présente que des avantages par rapport aux traitements actuels, et d'après une étude rétrospective mentionnée dans le courrier du GCC qui a comparé le cemiplimab aux traitements historiques ces avantages ont été confirmés : Survie Globale de **21 mois vs 10** mois pour les traitements historiques
- De plus le traitement par cemiplimab se fait par perfusion en HDJ ce qui facilite l'observance. Le produit a une bonne tolérance et permet aux patients traités de retrouver une bonne qualité de vie, comme souligné **par les témoignages de patients traités par cemiplimab que nous joignons en annexe à cette évaluation.**
- Le patient n'a pas d'effets secondaires invalidant et retrouve une meilleure image lui permettant un retour à une vie sociale acceptable.
- Le traitement amène une réponse partielle et souvent complète.
- **Notre Association déplore que de nombreux patients n'ont pas eu la chance de bénéficier de ce traitement suite à la fin de sa prise en charge financière et ils attendent avec impatience la réévaluation de ce médicament qui lui permettra enfin d'être inscrit sur la liste en-sus entraînant de facto sa prise en charge par l'Assurance Maladie**

1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



Exemples d'attentes (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

Quelles sont les principales améliorations attendues par rapport aux traitements actuels ?

Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte.

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 ?

Cliquez ou appuyez ici pour entrer du texte.

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est invalidante et/ou grave ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

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

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

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

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

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



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

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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Quelles sont les conditions à réunir pour que les patients collectent au mieux les informations demandées (recueil au domicile, avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, recueil par les proches, recueil avec l'aide d'un patient expert, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



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

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



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

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique,

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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. La transmission du document se fait en général sous 72h.

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

☐ Oui

☐ Non

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'utilisateurs lors de l'examen de la demande.

Vous pouvez ici manifester votre intérêt pour une telle audition (en plus de cette contribution écrite).

ATTENTION : Les auditions devant la commission de la transparence sont ordinairement accordées dans le cadre des autorisations d'accès précoce ; elles sont exceptionnelles dans le cadre du remboursement.

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuellement disponibles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que ...
- Les besoins thérapeutiques non couverts les plus importants sont ...

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

En synthèse, notre évaluation vise à convaincre votre Commission de la situation dramatique que vivent actuellement les patients atteints d'un CEC avancé/métastatique inopérable :

- Ces patients qui ne sont plus opérables sont dans une souffrance physique et morale intense : non seulement ces patients souffrent dans leur chair de par les déformations et douleurs associées à ce type de lésions, et de plus ils sont victimes d'un impact psychologique important et d'un isolement social qui ne peut qu'accélérer un pronostic vital engagé.
- Depuis l'introduction de cemiplimab dans les recommandations Européennes, avec un taux de réponse de 50% et un maintien prolongé de la réponse, il convient de considérer la prise en charge par anti-EGFR / Chimiothérapie comme **une perte de chance pour les patients**, puisque ces traitements historiques sont moins efficaces et plus toxiques.
- Il serait temps de rétablir une inégalité qui frappe ces patients en France ; en effet, en dépit d'une AMM européenne et un remboursement dans la plupart des pays voisins de la France, le cemiplimab reste à ce jour inaccessible aux patients français du fait de l'absence de sa prise en charge sur la liste en-sus.

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.

ANNEXE Témoignages Patients)

Voici mon témoignage sur le bienfait du traitement par immunothérapie CEMIPILIMAB.
Début 2017, grosseur tempe gauche et après prélèvement détection d'un carcinome épidermoïde infiltrant et première intervention chirurgicale.
Début 2019, récurrence d'une lésion carcinomateuse au même endroit. Détection d'un nodule sous-cutané et une exérèse élargie et complète a été pratiquée et non refermée.
En janvier 2020, une radiothérapie a été pratiquée pendant 32 séances mais en juin, après une biopsie, il a été constaté une récurrence.
En juillet 2020, j'ai reçu une 1ère cure de chimiothérapie (SFU, Carboplatine et Erbitux). Malgré 3 cycles reçus, il est constaté une progression de l'ensemble des lésions et apparition d'une atteinte pleuropulmonaire.
La plaie à la tempe très élargie et l'oeil fermé par la tumeur ont été une épreuve, les soins journaliers étant d'une douleur insoutenable avec un état général dégradé malgré la morphine et autres antidouleurs.
Devant cet échec, une première cure d'immunothérapie par CEMIPILIMAB a été programmée puis toutes les 3 semaines.
A partir de la 3ème cure de traitement, il a été constaté une nette amélioration avec régression tumorale et disparition des nodules tumoraux et la réouverture de l'oeil.
Après 7 mois de traitement, au fur et à mesure des séances et à la satisfaction du médecin de l'ICM et des infirmiers qui pratiquaient les soins journaliers, l'oeil s'est trouvé complètement dégagé et la plaie se résorbait.
Bien sûr tout cela a provoqué un problème à l'oeil et une paralysie faciale.
Mais aujourd'hui, je vis normalement et j'ai la ferme conviction que, sans ce traitement, je ne serai plus là pour témoigner.
J'espère que ce traitement sera repris en considération vu les bienfaits qu'il peut apporter.
Christian. C

- je suis en traitement toutes les 3 semaines à l'hôpital Estwing de Clermont Ferrand. Le médecin qui s'occupe de mon cas est Mme Mansard au service de dermatologie du CHU Estwing. Elle m'a donné votre adresse.
- j'ai un traitement pour un carcinome épidermoïde depuis septembre 2018. j'en suis à la 25^e séance.
- Après échec de la chirurgie et de la radiothérapie j'ai une perfusion de cemiplimab. C'est le seul traitement qui a stabilisé l'évolution du carcinome.
- Le traitement n'est pas pris en charge, n'ayant pas l'agrément de l'AMM.
- je suis prêt à apporter mon témoignage pour soutenir votre action pour l'efficacité du cemiplimab.

Marc G.

Je suis âgé de 89 ans et je reçois un traitement par immunothérapie à l'hôpital Sainte Catherine d'Avignon.

Fin 2018 j'ai été atteint d'un carcinome qui a d'abord été traité chirurgicalement mais cela s'est transformé en cancer dans la sphère ORL. Une chirurgie plus invasive a été nécessaire en juillet 2019.

En septembre 2019 après quelques séances de radiothérapie qui n'ont pas donné satisfaction, l'oncologue m'a proposé d'entrer dans un protocole pour bénéficier d'un traitement par immunothérapie à base de Libtayo. J'ai eu la chance de faire partie des patients qui ont obtenu une autorisation temporaire pour bénéficier de ce traitement. J'en suis très satisfait : je n'ai pas ressenti d'effets secondaires, les séances de perfusion espacées de 3 semaines sont tout à fait supportables et beaucoup moins contraignantes que la radiothérapie et surtout les différents scanners de contrôle ont montré la disparition des lésions suspectes.

Ces 30 séances ont permis de juguler l'évolution du cancer tout en me ménageant un confort de vie très appréciable. Je ne peux que soutenir la démarche de l'association « vaincre le mélanome » pour demander l'autorisation de la mise sur le marché de ce traitement afin que tous les patients puissent en bénéficier.

Paul P.

Par ce mail, je suis solidaire de votre démarche concernant le déremboursement du Cemiplimab par lequel je suis traité pour un carcinome épidermoïde après exérèse chirurgicale.

J'ai fait ce matin ma onzième cure, que je supporte très bien et qui contrôle parfaitement ma maladie. Je ne comprends pas la décision de dérembourser ce médicament bien toléré et efficace.

Je suis disposé à remplir un dossier afin de témoigner sur l'efficacité de ce traitement pour aider votre cause..

Bruno L.

Je vous envoie cette lettre pour vous remercier de l'effort
de votre association contre l'arrêt de certains traitements
contre les carcinomes, Melanomes, à l'Hôpital de La Rochelle
Voici l'appellation que le docteur a donné à mon mal
"Carcinome épidermoïde Volumineux et inopérable de la Temple Droite"
J'ai eu 10 séances d'immunothérapie qui se sont très bien
déroulées. Ces séances ont commencé le 21 Janvier 2020
Après chaque séance je n'ai pas eu d'effet indésirable
(perte de poids, fièvre, courbature ou autre). Dès la 1^{ère} injection
j'ai eu une réaction très favorable qui a commencé
à réduire le carcinome et ainsi de suite pour les autres
injections. Au bout de la 6^{ème} séance le carcinome
était totalement disparu. Je vous envoie le compte rendu
des résultats du scanner du 23.06.2020 après 5 mois de
traitement et du 9.02.2021 ainsi qu'une partie du scanner
passé à Rochefort le 6.12.2019

Pour moi le traitement que j'ai eu a donné de très bon
résultats. Le seul effet qui m'a un peu handicapé est
une petite fatigue générale mais aujourd'hui j'ai retrouvé
toutes mes capacités. Pendant le traitement qui a duré 8 mois
j'ai continué mes activités (Tonte de la pelouse, jardinage et autres)

Michel T.

Suite à l'appel tél. de Mme Béatrice Champagnon
je viens par la présente apporter mon soutien total
à votre association.

En ce qui me concerne, j'ai bénéficié avec
un succès très rapide du Compléminab.

Il s'agissait d'un Carcinome épidermoïde
très virulent (encore jamais observé: H. Richat,
La Rochelle mais aussi Nantes, Poitiers, Bordeaux.)
selon mon oncologue le Dr Célorier. Ce dernier
avait, à demande du laboratoire, communiqué
les photos qui beaucoup plus marquantes.

Mon cancer détecté début mai 2019 a évolué
très rapidement: 5 tumeurs en 48H puis 30 en 30j et
3 entre la 5 et 6^{ème} séance de radiothérapie (ces
dernières au dessus de l'oreille droite toutes les autres
s/ le crâne.) Sorti pour 30 séances, j'en ai subi 19
(je dis subi car elles n'ont fait qu'aggraver le mal).

Alors que les perfusions à raison 1 toutes les 3 semaines
ont mis le cancer en rémission dès la 4^{ème} (de finit. à
Oct). Elles ont quand même duré jusqu'à Août 2020.

Roger C.

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 ?

Témoignage de patients cf courrier

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

idem

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

Bureau de VLM

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 ?

1h30

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

