

Questionnaire de recueil du point de vue des patients et usagers pour l'évaluation d'un médicament

Commission de la transparence - Commission de l'évaluation économique et de santé publique

Évaluation de : LUNSUMIO (Mosunetuzumab) / Nouveau médicament dans le traitement d'un lymphome folliculaire en 3^{ème} lignes.

Merci de lire le Guide pour les associations de patients et d'usagers avant de remplir le questionnaire. Une fois le questionnaire complété, nous vous conseillons de supprimer les encadrés d'aide (zones grisées) pour gagner de la place et améliorer la lisibilité.

Nom et adresse de l'association : **ELLyE - Ensemble Leucémie Lymphomes Espoir**
1 avenue Claude Vellefaux
75475 Paris cedex 10

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour remplir le questionnaire et notamment la nature des informations mobilisées (par exemple enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, ligne téléphonique, nombre de participants, ... avec les périodes concernées).

Pour répondre à ce questionnaire, nous avons utilisé deux sources d'informations principales :

- *Forum de discussion ELLyE.*
- *ELLyE a spécifiquement réalisé un questionnaire pour cette contribution spécifiquement pour les patients atteints de lymphome Folliculaire et traités avec le Lunsumio.*
- *Les résultats de l'enquête 2022 de la lymphoma coalition sur l'expérience des patients souffrant de lymphome ou LLC. Seul les réponses des patients atteints de lymphome folliculaire et vivant en France seront étudiées.*

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?

Guy Bouguet (Président de ELLyE) et Aline Renoult (Chargé de mission pour les produits de santé et recherche chez ELLyE)

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures et quelle est leur nature ?

Aucune.

2. Impact de la maladie / état de santé

2.1 Comment la maladie (ou l'état de santé) pour laquelle le médicament est évalué affecte-t-elle la qualité de vie des patients (court terme, long terme) ? Quels aspects posent le plus de difficultés ?

Le lymphome folliculaire représente 25% des lymphomes non-hodgkinien, ce qui en fait l'un des lymphomes les plus courants. C'est un lymphome indolent à évolution lente. Certains patients sont donc orientés en premier lieu vers une surveillance active. Ce cancer est encore incurable et les patients alternent entre phases de rémission et phases de rechute.

Lorsqu'un premier traitement est administré la phase de rémission est souvent longue de 10-15 ans. Cependant certains patients rechutent dans les 2ans, la prise en charge est alors plus complexe. La chronicité de ce lymphome engendre une accumulation de ligne de traitement et de résistances qui en découlent.

Nous avons élaboré un questionnaire spécifique pour le lymphome folliculaire. 5 patients atteints de lymphome folliculaire ont répondu à notre questionnaire (dont un sous traitement Lunsumio) et nous avons également pu recueillir des témoignages sur le lymphome folliculaire et le Lunsumio au sein du forum d'ELLyE(3). Nous avons également eu accès aux données de la lymphoma coalition sur leur enquête 2022.

Les patients, ayant répondu à notre questionnaire ou ayant témoigné sur notre forum, mentionnent comme symptômes principaux du lymphome folliculaire : la fatigue, l'augmentation des ganglions, l'essoufflement, les démangeaisons et les sueurs nocturnes. L'une des patientes mentionne qu'il est compliqué de diagnostiquer ce lymphome car les symptômes sont souvent associés à la ménopause par le médecin traitant, ce qui peut retarder le diagnostic.

197 patients atteints de lymphomes folliculaires ont renseigné l'enquête de la lymphoma coalition. 50% des patients mentionnent que les symptômes du lymphome ont des conséquences négatives sur leurs activités au quotidien. Environ 35% déclarent qu'ils ont des répercussions négatives sur la vie social et 30% voient des répercussion négatives sur les proches. La plupart des patients diagnostiqués sont à la retraite. Néanmoins, 32% des patients disent que les symptômes ont eu des répercussions sur leur travail ce qui a nécessité une adaptation des habitudes de travail et même parfois des arrêts complets.

Les symptômes mentionnés dans l'enquête sont les mêmes que ceux mentionnés par nos patients dans le questionnaire ou le forum : fatigue 62%, enflement ganglion 53%, Fièvre/sueur 31%, démangeaison 25%, douleurs 22%.

2.2 Comment la maladie (ou l'état de santé) affecte-t-elle l'entourage (famille, proches, aidants...) ?

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

Aucun aidant ou proche n'a répondu à notre enquête, cependant l'une des patients nous a mentionné que le lymphome l'a rendu « plus irritable et plus dépressive », ce qui est très compliqué à vivre pour les proches. Une autre patiente déclare également « une grande anxiété du conjoint ».

Dans l'enquête de la lymphoma coalition 30% des patients déclarent qu'il y a des répercussions sur les proches.

3. Expérience avec les thérapeutiques actuelles autres que celles évaluées

3.1 Selon vous, quelles sont actuellement les thérapeutiques les plus adaptées ? Leurs avantages et inconvénients ?

Si l'indication du médicament concerne une phase particulière de la maladie, les enjeux décrits devront en tenir compte.

Une chimiothérapie seule, une immunothérapie seule ou une thérapie ciblée peuvent être proposées. Dans certains cas, notamment lorsque la rechute s'est produite dans les deux à trois ans qui suivent la fin du premier traitement, une autogreffe de cellules souches peut être envisagée. C'est toutefois un traitement lourd, qui ne peut être proposé qu'aux patients jeunes (sachant que l'âge médian au moment du diagnostic de lymphome folliculaire est de 65 ans), ayant peu de comorbidités, dont l'état de santé général est bien conservé et qui répondent bien à la chimiothérapie.

Le traitement proposé à partir de la troisième ligne dépend des lignes antérieures reçues. Les principales options thérapeutiques sont les traitements déjà disponibles à la première rechute : rituximab + bendamustine, rituximab + GEMOX (gemcitabine + oxaliplatine), rituximab + lénalidomide, thérapie ciblée. Les patients adultes en rechute ou réfractaire après deux lignes de traitement ou plus peuvent également bénéficier du traitement par cellules CAR-T Kymriah.

3.2 Quelles sont les principales attentes des patients vis-à-vis d'une nouvelle thérapeutique ?

Les patients ayant répondu au questionnaire ou témoigné sur le forum, attendent d'un nouveau traitement, comme le Lunsumio, une guérison et moins d'effet secondaires. Le maintien de la rémission la plus longue possible est également un espoir pour les 3 patients ayant eu une rémission complète à la suite du traitement par Lunsumio.

Les patients ayant répondu à l'enquête de la lymphoma coalition attendent (dans l'ordre de préférence) : une guérison, une rémission, une amélioration/augmentation de la survie, amélioration de la qualité de vie et moins d'effets indésirables.

4. Expériences avec le médicament évalué

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

4.1 D'après votre expérience du médicament et celle des autres malades, quelles sont les conséquences positives ou négatives de son utilisation ?

Les patients ayant apportés leur témoignage sur le forum d'ELLyE, ou le questionnaire (4) ont mentionnés beaucoup effets indésirables de faibles gravités comme des courbatures les jours suivants l'administration du traitement, des douleurs intestinales et des crampes surtout la nuit.

Certains effets indésirables semblent être plus importants et poser plus de soucis dans la vie quotidienne même si aucun arrêt de traitement n'a été fait. Deux patients mentionnent des vomissements les jours suivant l'administration à plusieurs reprises. Pour trois patients, il y a eu également beaucoup de phase de diarrhée parfois sur plusieurs mois.

Malgré ces effets indésirables, ils sont satisfaits du traitement qui semble bien fonctionner avec une rémission complète métabolique pour 3 d'entre eux et une rémission partielle en cours de traitement pour le 3^{ème} patient.

4.2 Si vous n'avez pas d'expérience de ce médicament, et que vous avez connaissance de la littérature, de résultats d'essais, ou de communications, quelles sont selon vous les attentes ou les limites ?

5. Information supplémentaire

Communiquer toute information supplémentaire pouvant aider les membres de la commission dans leur évaluation.

6. Synthèse de votre contribution

Les traitements du lymphome folliculaire aujourd'hui disponibles permettent de contrôler la maladie et d'induire une rémission partielle ou complète plus ou moins longue, mais ils ne permettent pas de guérison définitive. Si la plupart des patients sont toujours en rémission 10 à 15 ans après le diagnostic, la réponse peut être beaucoup plus courte (rechute précoce dans les 2 ans) et certaines tumeurs sont résistantes aux traitements standards par immunochimiothérapie. **Les rechutes sont fréquentes et la tumeur acquiert une résistance croissante aux agents thérapeutiques.** Les lymphomes folliculaires réfractaires ou en rechute après trois lignes de traitement systémiques sont donc beaucoup plus difficiles à soigner.

La principale attente des patients souffrant d'un lymphome folliculaire, a fortiori en rechute ou réfractaire, est la guérison, ou au moins une rémission complète la plus longue possible. S'il est encore trop tôt pour savoir si le Lunsumio permet une véritable guérison, la rémission métabolique complète de 3 patients sur 4 est très encourageante. Ces patients ayant développés une résistance aux traitements standards, les options de traitement sont aujourd'hui limitées.

Les principaux inconvénients sont les effets indésirables comme la diarrhée, les vomissements et les courbatures répétés à chaque injection. Cependant, aucun arrêt de traitement n'a été décidé par les patients ou par les médecins investigateurs. Ces effets indésirables sont acceptés par les

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

patients qui voient une réponse rapide du traitement et qui se sentent reconnaissant d'avoir eu accès à ce traitement.

L'effet indésirable possible, le plus grave est le syndrome de relargage de cytokine. Aucun de nos patients n'a eu connaissance d'avoir eu cet effet indésirable, sûrement grâce à l'augmentation progressive de la dose qui a été mentionné par plusieurs patients. Cependant, ce risque nécessite une surveillance accrue à l'hôpital durant les premiers cycles.

Lunsumio répond au besoin et attentes des patients qui n'ont plus beaucoup d'option de traitement. Ce médicament apporte une nouvelle ligne de traitement avec une réponse métabolique qui peut être rapidement complète. Les résultats des bispécifiques sont rapides ce qui permet d'adapter rapidement la prise en charge si aucun résultat n'est visible.

Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou de nous appeler au 01 55 93 71 18.