
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament 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	13
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	14
1.3. Le médicament évalué	16
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	16
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	17
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	17
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	18
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	19
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	19
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	19
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	20
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	20
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	23
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	23
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	25
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	26
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	27
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	28
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	29

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.

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

Informations administratives

Identité de l'association ou du groupe : **A.R.Tu.R.**

Nom complet (suivi du sigle si applicable) : Association pour la Recherche sur les Tumeurs du Rein

Site internet : www.artur-rein.org

Adresse postale (le cas échéant) : 9 rue Nicolas Charvet 75015 PARIS

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Keytruda Pembrolizumab

Dénomination commune internationale (DCI) :

KEYTRUDA (pembrolizumab)

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

Keytruda est indiqué en monothérapie dans le traitement adjuvant des patients adultes atteints d'un carcinome à cellules rénales à risque accru de récurrence post-néphrectomie, ou après une néphrectomie et une résection des lésions métastatiques

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 ?

La néphrectomie partielle ou élargie est le traitement de référence du cancer du rein localisé. Cependant, près de 30 à 40% des patients opérés vont présenter une récurrence locale ou métastatique de leur cancer du rein après chirurgie. Cette récurrence nécessite l'instauration de traitements systémiques qui est associée à une réduction de la survie des patients

De plus la prise de traitements systémiques (Immunothérapie et/ou Anti angiogénique) a un impact important sur la qualité de vie altérée par la manifestation d'effets indésirables plus ou moins sérieux.

Les principaux effets indésirables sont les suivants :

- Fatigue
- Syndrome mains-pieds
- Diarrhées

- Perte d'appétit
- Inflammation des muqueuses
- Pression artérielle
- Thyroïde
- Maladie auto immune

De plus des effets sur la vie sociale et psychologique sont importants

- Réduction des activités (sociale / professionnelle/ familiale)
- Peur de la récurrence
- Décalage par rapport aux autres
- Pas de projection d'avenir
- Impact financier
 - Lié à la maladie mais aussi aux traitements
- Vision négative de l'avenir
- Libido
-

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☐ Non

☒ Oui, lesquels ?

Les questionnaires FKSI-DRS, l'EORTC QLQ-C30 et l'EQ-5D-5L sont utilisés dans l'étude.

En général les questionnaires de qualité de vie sont des états normalisés pas forcément adaptés à ce type de traitement. A notre connaissance il n'existe pas de questionnaires prenant en compte le côté psychologique et les conséquences des effets indésirables physiques de façon exhaustive. Nous avons des questionnaires sur l'anxiété et/ou dépression mais cela est-il bien ciblé ?

Mais cependant, nous pouvons récolter des informations nous permettant de tirer des conclusions de l'impact du traitement sur la qualité de vie des patients

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*

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.

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

L'impact de la maladie dans le cercle des proches et des aidants est très différent en fonction de l'implication de l'entourage. Par contre il est dans tous les cas plus ou moins prononcé sur les aspects suivants :

Impact sur la vie sociale et psychologique :

- Réduction des activités (sociale / professionnelle/ familiale)
- Peur de la récurrence
- Décalage par rapport aux autres
 - Impact sur la relation avec les enfants dans la famille
- Pas de projection d'avenir
- Impact financier
- Lié à la maladie mais aussi aux traitements
- Vision négative de l'avenir
- Libido

En règle générale on retrouve à peu près les mêmes effets que pour le patient.

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.

Actuellement aucun médicament en dehors d'essais cliniques existe en tant que traitement systémique administré en traitement adjuvant dans le cadre d'un cancer du rein après néphrectomie et cela en dehors d'essai clinique

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Non Significatif

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Non Significatif

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

Le besoin de traitement adjuvant dans le cadre de cette maladie n'est pas actuellement couvert par l'offre de médicament et cela surtout dans le cadre des cancers du rein avec un fort pourcentage de récurrence

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.

Dans le cadre d'un traitement adjuvant pour des patients de grade élevé **avec des risques de récurrence importants**, le libellé de l'indication semble justifié (Cf les études).

Pour les patients non inclus dans le libellé, c'est-à-dire les patients avec un grade faible et donc avec des risques moindres de récurrence, à ce jour et par rapport aux informations disponibles, la question ne se pose pas par rapport au bénéfice/risque. En effet le traitement ne semble pas en adéquation.



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 est à noter que l'introduction d'un traitement adjuvant dans la prise en compte d'un cancer du rein est une approche nouvelle dans le parcours de soin. Nous ne sommes plus dans un traitement curatif.

La prise de ce type de traitement risque de provoquer des effets secondaires, Par contre, il faut le contre balancer par l'aspect psychologique de la prise d'un traitement adjuvant et aussi par l'aspect bénéfice.

Les patients évoquent plutôt une tranquillité d'esprit par la prise de ce type de traitement en se donnant un moyen supplémentaire de lutter contre la maladie en minimisant le risque de récurrence bien que la maladie soit stabilisée après une intervention chirurgicale.

Il est vrai que les patients que nous avons interrogés avaient plutôt des profils de patients à « haut risque » et « risque élevé » de récurrence. En effet les patients à faible risque n'étaient pas concernés par la prise d'un traitement adjuvant.

La balance bénéfice/risque d'un traitement adjuvant procurant des effets indésirables mais aussi apporte un « bien être psychologique » et une voie de plus pour lutter contre les récurrences.

Sachant qu'en final la décision de prendre ce type de traitement adjuvant relève du choix du patient.

La réponse à la question :

« Pourquoi prendre un traitement alors que je n'ai pas de maladie (sous-entendu qu'une intervention a eu lieu afin d'enlever la tumeur) ? ».

Les patients nous indiquent que car malgré des risques d'effet secondaire, l'adhésion des patients est relativement forte.

Le positionnement des patients est complètement différent que lors d'un traitement curatif mais il y a tout de même une forte attente de la part des patients pour ce type de traitement.

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 ?

Les principaux inconvénients constatés sont l'apparition d'effets secondaires. Bien qu'avec le recul ils soient mieux maîtrisés, mais persistent encore

Le % d'effets indésirables est plus important dans le cadre de l'étude dans le groupe Pembro que dans celui du Placebo

Les résultats de l'étude KEYNOTE-564 ont montré une incidence d'EI de grades ≥ 3 (32,2% vs. 17,7%), d'EIG (20,7% vs. 11,5%) et d'EI ayant conduit à l'arrêt du traitement (21,1% vs. 2,2%) plus élevée dans le groupe pembrolizumab par rapport au groupe placebo.

Le bénéfice nous paraît bien plus important que les inconvénients et cela se confirme dans les échanges que nous avons eus avec des patients ou des aidants. De plus la maîtrise des effets secondaires est de plus en plus performante par le recul de ce type de molécules.

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 ?

L'attente d'une association de patient et d'avoir un médicament qui permet de faire reculer les récidives et donc les métastases.

En effet actuellement la recherche avance, mais l'explication de l'apparition de métastase n'est pas encore maîtrisée, pourquoi par exemple il y a des patients sans métastase pendant plus de 10 ans et tout d'un coup apparition de celle-ci.

Donc si un médicament permet de réduire ce risque, le gain à notre sens est à plusieurs niveaux

- Tranquillité des patients
- Gain financier pour le système de santé car uniquement un traitement de suivi et non plus un traitement curatif
- ...

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 ?

Pas de craintes actuellement mais nécessaire de bien cibler les critères d'éligibilité des patients par rapport à un traitement adjuvant

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 ?

Nous sommes sur une indication de Cancer du rein après une opération néphrectomie totale ou partielle à mauvais pronostic.

Le mauvais pronostic sous-entend des risques de métastases importants dans les années à venir.

Cela est-il invalidant ou grave ? oui car le patient en cas de récurrence va devoir entrer dans un parcours de soin complexe.

Si la métastase est isolée / unique / et bien placée, un traitement chirurgical (chirurgie, radiothérapie / radiofréquence) va permettre sa destruction

Sinon, cela oblige à prendre des traitements systémiques et nous savons par les études, que l'ensemble des traitements systémiques ne permettent pas d'aller vers une guérison, mais plutôt vers une régression et une stagnation permettant d'éviter l'extension de la maladie, mais en contrepartie, une prise de médicaments qui provoquent des effets secondaires plus ou moins importants qui ont un impact sur la qualité de vie

Donc la cible de ce médicament en traitement adjuvant doit permettre une régression du risque de métastases et donc éviter une extension invalidante ou grave

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

Actuellement il n'y a pas de traitement approprié pour éviter le risque d'apparition de métastases et donc d'évolution de la maladie. Toutes les études précédentes n'ont apporté de résultat significatif.

Donc pour la cible de patient à haut risque de récurrence, ce traitement nous semble complètement approprié

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).*

Ce traitement est innovant dans le cadre de la prise en charge du Cancer de rein à haut risque de récurrence, car actuellement la position est attentiste et non pas proactive.

Ce traitement permet une approche proactive afin de lutter contre cette extension et cette approche nous semble innovante dans le cadre d'un parcours de soin d'un patient à haut risque de récurrence.

- Impact sur l'évolution
- Impact sur le bien être psychologique du patient et de l'aidant

Il faut effectivement le pondérer par l'introduction d'effets indésirables mais limités et mieux maîtrisés par les professionnels de santé

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

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



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

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

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

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

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



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

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

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

Des mesures au jour le jour sur les effets secondaires physiques et des mesures de qualité de vie psychologiques (relation avec les autres, Position dans le cadre du travail, ...)

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. ?)

Ce recueil doit pouvoir se faire à travers des questionnaires adaptés et à travers des échanges de vue avec les professionnels de santé lors des visites de contrôle, cela peut aussi se faire au fil de l'eau à travers des échanges téléphonique ou à distance pendant le traitement.

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. 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 ?

En règle générale sur la partie du document qui peut être amendé pas de remarques particulières

Par contre dans la trame standard, il me semble qu'il serait intéressant d'adapter le document par rapport à la population cible, par exemple :

Enlever toutes les références à l'enfant car cela n'est pas la prescription

Idem pour la prescription du médicament

Cela à mon avis permettrait une meilleure lecture de la part des patients.

³ Également appelées « variables d'intérêt »

3. Questionnaire – Partie C : Demande d’audition



La Commission de la transparence peut décider d’auditionner une ou des associations ou groupes d’usagers 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 ?

Si cela permet de clarifier la position d’une association de patients sur le cancer du rein pour argumenter le bénéfice d’un traitement adjuvant sur des patients à haut risque de récurrence, je pense que la voix de notre association peut apporter des éléments complémentaires à l’analyse de la commission.

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 points importants qui ressortent de notre contribution sont :

- La mise en place d'un traitement adjuvant qui permet de repousser les récurrences est très importante car cela répond de façon positive :
 - A l'aspect psychologique de maîtriser le risque
 - A éviter des traitements à mettre en place en cas de rechute

C'est pourquoi il nous semble essentiel en tant qu'association de patients d'avoir ce traitement en adjuvant pour nos patients à risque de récurrence

Cela permet d'élargir l'arsenal thérapeutique, surtout sur une attaque de la maladie qui jusqu'à maintenant n'existait pas.

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.

Important de cibler ce type de traitement uniquement pour des patients à haut risque de récurrence

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 ?

Les contacts ont été initiés directement avec des patients ayant participé à un protocole adjuvant. La mise en relation avec ces patients (dans le respect du secret médical) a été réalisée via les médecins qui ont participé aux protocoles et nous ont mis en relation, nous permettant ainsi de

Recueillir leurs retours d'expérience.

De plus un appel aux interrogations et besoins a été initié à travers la liste des adhérents de l'association

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

Elaboration d'un questionnaire sur la base des paragraphes des réponses à apporter permettant ainsi de classer les différentes attentes des patients par rapport à ce traitement adjuvant

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

2 bénévoles de l'association

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

Pas d'aide extérieure, à part ceux cités dans la contribution

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

Sur le temps global 25 jours en durée la charge est beaucoup plus réduite

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

Pas spécialement

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'usagers 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

