
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) :

VAINCRA LE MELANOME ET AUTRES CANCERS DE LA PEAU.

Site internet :

.www.vaincrelemelanome.fr

Adresse postale (le cas échéant) :

8chemin de Maltaverne

45230 Sainte Geneviève des Bois.

Nature de la structure :

☐ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☒ Association non

LOI 1901.

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

Fédération Française de la Peau.

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

OPDIVO

YERVOY.

Dénomination commune internationale (DCI) :

Nivolumab./Ipilimumab

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

Opdivo + Yervoy dans le traitement des patients atteints d'un mélanome avancé (non résécable) ou métastatique) dans la sous population des patients dont la tumeur est BRAF muté

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 Sur la page dédiée sur le site HAS il est noté Remboursement - Réévaluation

☐ 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 5

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. Et tombe des nues, en écoutant les possibles gravité et évolution.

Face à la récurrence et au mélanome Braf muté....

Les patients s'instruisent de plus en plus sur les traitements pouvant apporter un bénéfice.

Les essais cliniques où ils pourraient être randomisés.

Il existe des applications qui permettent aux patients de prendre note des différents essais autour d'eux et dans lesquels ils pourraient entrer si besoin.

Et quand ils notent que la France n'a pas la même lecture des résultats sur les essais cliniques, les patients se sentent abandonnés. Certains disent vouloir partir dans les pays où le traitement est pris en charge. Ils ressentent la perte de chance de pouvoir en profiter.

Les accompagnants sont désespérés. Incompréhension de l'inégalité des offres de prise en charge.

Concernant le non remboursement de la bi-thérapie,

l'Impact psychologique est Très lourd, pour le patient, pour la famille. Incompréhension du positionnement de la France par rapport à ses voisins Européens pour ne parler que des plus près.

C'est une situation incompréhensible qui amène à des questions éthiques !!!,

d'inégalité d'accès alors que la France à leurs yeux était considérée comme un pays en 1ère ligne pour la santé ???

Certains patients désespérés proposent de payer de leur poche !

Recevons chaque jour, beaucoup d'appels, d'échanges lourds à gérer pour nous association, soit avec le patient directement, soit avec les conjoint(e)s parents etc..

Cette situation, est très chronophage, car elle implique un important accompagnement.

Et le pire étant, ceux qui étaient en phase plateau, à qui on a rajouté la seconde immunothérapie, dans un essai clinique, dans un centre universitaire. Et qui ont eu le plaisir et la sérénité d'observer une très nette amélioration, et à qui on annonce qu'ils ne peuvent maintenant conserver la bi-thérapie, et que l'on va replacer sous mono-thérapie. C'est très violent ; car ils se disent qu'ils repartent en arrière, que la France, ne leurs autorise pas, ce bénéfice supplémentaire, alors que s'ils avaient été dans un autre pays, cela n'aurait pas poser de problème d'accès au meilleur traitement

Stress, peur,4

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 récidives c'est l'effondrement. Et ne pas pouvoir avoir accès à la bi-thérapie, est un point crucial dans le niveau de stress.

Fatigue intellectuelle 3

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 leur 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 3

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 compte de la gravité.

Sur la vie Sexuelle 3

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

Beaucoup de réflexions qui ne font pas avancer, (comme « depuis le temps que je te disais de te couvrir, d'arrêter de bronzer non stop, de faire des uv, tu ne mets jamais de crème, ou pas assez.etc)

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, répétés, 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 maladroit 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

☒ Oui, lesquels ?

Qualitop QLQC30 EORTC IMMUCARE.

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 ?

Stress, peur 5

Car méconnaissance de la maladie et ses risques. Mais rapidement les proches et aidants, se positionnent pour optimiser leur rôle.

Surprise quant à la capacité de ce cancer qu'est le mélanome à métastaser.

Aussi, quand on leurs découvre plusieurs métastases ils sont abasourdis et à la fois quand ils sont sous bi-thérapie, ils le sont tout autant pour certains ayant de bonnes réponses, d'observer en quelques mois la disparition complète de métastases ? C'est l'ascenseur émotionnel.

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.

Impact psychologique 4

Tristesse, face à l'aberration du diagnostic et ces causes. Ces derniers peuvent être une aide, pour optimiser la prévention pour les autres dans un esprit 'ca n'arrive pas qu'aux autres

Mais on distingue deux types de réactions

un déclic, qui leurs donne toutes les motivations pour se protéger.

Et une inconscience pour d'autres proches, leurs faisant penser, que eux sont à l'abri et de ce fait, ils ne modifient pas leurs comportements ce qui est très difficile à accepter pour les patients?

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.

Il existe 3 combinaisons.

Mais entre le positionnement 1ère ligne ou pas c'est compliqué de répondre exactement.

On souhaiterait effectivement que les traitements pour traiter les mélanomes métastatiques soient ouverts à tous, cela ne représente pas une population importante. Nous échangeons avec d'autres pays et lorsque l'on observe que l'indication pour cette combinaison de bi-thérapie par exemple, l'indication c'est Mélanome Avancé ce qui laisse la possibilité aux médecins, de présenter et faire le choix de différentes options en RCP, car cadre moins restrictif !

Actuellement pour l'indication Braf muté remboursée en 1ère ligne du mélanome avancé, on retrouvera

les thérapies ciblées

Encorafenib + binimetinib

Dabrafenif + trametinib

Vemurafenib + cobimetinib

Vemurafenib en monothérapie.

Les anti-PD1 en monothérapie

Nivolumab

Pembrolizumab

Selon la localisation des tumeurs, et les altérations fonctionnelles, les kinés apportent beaucoup.

Réapprentissage de la marche, de la parole avec des orthophonistes ect.... a

L'utilisation du soutien psychologique n'est pas linéaire. Or tous le disent ça apporte beaucoup dans ce cancer, car le diagnostic est plus lourd à l'annonce que dans d'autres cancers.

Certains centres proposent du soutien psychologique pour le conjoint et les enfants. Mais peu l'utilise là encore.

L'APA, idem, nous souhaitons en parler plus, quand on entend le retour des patients, c'est très positif.

Certains patients, se décident à utiliser l'aide d'un psy post prise en charge, et de ce fait ne sont pas pris en charge, alors que si ils en avaient fait l'usage avant, cela aurait été remboursé.

J'ai testé avec des patients, l'aromathérapie associée à l'hypnose. J'ai trouvé cela très pertinent.

Donner l'occasion aux patients de se détendre en ancrant une odeur à une sensation de bien être qu'ils ont en mémoire, ceci afin de mieux appréhender les examens complémentaires, les allers et venues à l'hôpital, etc.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Avoir l'indication et le remboursement.

Avoir démontrée une amélioration quant à la survie globale

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Les problèmes de résistance sont les principaux inconvénients des traitements dans le mélanome métastatique Braf Muté.

Les profils de toxicités avec la fièvre qui peut parfois gêner le bon usage du médicament pouvant aller dans certains cas à l'arrêt du traitement le temps que le patient récupère.

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

Il est primordial d'avoir plusieurs types de traitements et d'approches face à ce cancer. Les réponses augmentent au fil des années, la survie sans récurrence ou survie globale également, mais il reste encore des patients qui ne répondent pas ou peu, avec une survie non augmentée.... Aussi toutes les stratégies sont intéressantes à proposer, selon le profil de patient et....L'évolution de sa maladie.

Les profils de toxicité sont différents

il est souvent rapporté un effet qui peut gêner le bon usage, c'est la fièvre. Cette fièvre difficile à gérer d'autant plus que parfois elle survient sans aucune raison.

Parfois cela peut amener à un arrêt de traitement pour que le patient récupère.

Ce qui est complexe pour le médecin.

Aussi autres stratégies thérapeutiques ont toutes leurs places.

Un argument qui peut être à la fois positif comme la prise orale, peut parfois être négatif.

Selon le patient.

Qui dit comprimés dit possibilité de défaut d'observance. Et ou complexité quant au nombre de comprimés à avaler pour certains patients.

D'autres ne sont pas génés !

Aussi avoir différentes galéniques est pertinent et permet de répondre à une plus grande offre .

Certains patients aiment le comprimé, pour le côté pratique, pas besoin de se déplacer à l'hôpital, mais d'autres trouvent que les comprimés peuvent apporter un ressenti d'efficacité plus léger, d'où observance plus légère, ce pourquoi avoir 2 types de galéniques est intéressant, selon la typologie de patients.

Qui pour certains est à la fois un avantage ou un inconvénient.

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.

Les patients Braf Muté sont les seuls pouvant profiter des bénéfices de cette stratégie. Ce qui ne représente pas un grand nombre de patients, mais un important nombre de bénéfice avec une gestion bien maîtrisée des risques.



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.

Dans les remontées que nous avons des patients, sur les thérapies ciblées, ce sont les fièvres qui semblent complexes à gérer.

Tant pour les patients, car elles surviennent sans raison, que pour les médecins, qui parfois peuvent être amenés à arrêter les traitements.

Nous avons à votre disposition, des témoignages patients dans cette indication.

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 ?

La stratégie étudiée quelle soit en monothérapie ou bi-thérapie ont des données matures maintenant. Et en bi-thérapie, le recul est pertinent pour bien aborder d'éventuels EI et ou toxicité.

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 ?

Augmentation de la survie globale

avec un bénéfice supérieur par rapport aux traitements comparateur (cf Dreamseq Secombit)

Effets indésirables et ou risque de toxicité maîtrisés ou diminués

Facilité d'usage

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 ?

Nous pouvons exprimer le fait, que nous n'avons pas de crainte..

Car les données sont matures, c'est rassurant.

Ce traitement est utilisé dans beaucoup de pays.

Les effets indésirables ou toxicités sont ou attendus ou connus, donc maîtrisés.

Beaucoup d'aides existent pour optimiser le bon usage de médicament.

Des questionnaires, des applications

par exemple, Immucare, mise en place aux HCL en onco-dermatologie.

Un nombre de questions est listé, les patients doivent répondre, c'est directement en lien avec le service, ce qui permet de prendre en charge directement le patient, selon les réponses et anticiper un éventuel démarrage d'Effet indésirable.

Notre crainte ensuite touche plus un aspect de restriction des indications, et ou de positionnement

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, 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.

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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 ?

Parce que l'association souhaite défendre l'idée, que les progrès sont internationaux.

On ne peut garder les bénéfices de traitement, dans ces lourdes pathologies, que pour certains pays, que pour certains centres experts ?

Nous annonçons et partageons les actualités sur notre site. Car c'est une importante source d'espoir.

Mais le non accès pour tous patient avec Mélanome Muté Braf, qui pourraient pourtant profiter des bénéfices décrits dans les essais cliniques, nous font réagir, ainsi que le corps médical, ainsi que les patients, car ceci est perçu comme une inégalité.

Nous avons des témoignages de patients, exprimant que le bon usage de la bi-thérapie, et surtout les résultats observés, sont des éléments forts, pour que tous demain puissent en bénéficier.

Certains patients ont eu connaissance, alors qu'ils retrouvaient eux espoir avec les bons résultats de la stratégie IPI+ NIVO d'observer, que cette option n'était pas accessible selon où se faisait la prise en charge.

De ce fait, ils prennent conscience de l'immense chance, pour eux d'y avoir eu accès.

Je vous joins ci dessous quelques témoignages.

J'ai souhaité apporter mon témoignage concernant ma maladie et mon traitement d'immunothérapie en cours, car il faut aussi savoir dire quand les choses vont bien et communiquer des faits positifs quand ils sont là !

J'ai 56 ans et père de 2 beaux enfants avec une vie déjà bien remplie tant au niveau professionnel que personnel.

En 2018, j'ai eu la chance d'avoir un rendez-vous chez un des « rares » dermatologues de ma région pour vérifier un grain de beauté dans le dos qui, après analyse, s'est avéré être un mélanome.

Le Centre Leon Berard a heureusement accepté de me prendre en charge rapidement et a ainsi pratiqué les actes chirurgicaux nécessaires avec un suivi régulier pendant plus de 3 ans.

C'est grâce à ce suivi qu'en 2022, nous avons constaté que ce mélanome était à nouveau reparti avec l'apparition de nouveaux ganglions. (stade 4)

Le temps du diagnostic qui a par la suite confirmé un mélanome BRAF muté, j'étais plutôt inquiet mais les médecins du CLB (Docteur Amini Adle et Crumbach) ont pris le temps de m'expliquer clairement l'origine, le mécanisme de propagation et répondu à mes très nombreuses questions.

J'ai été plutôt rassuré en comprenant le mécanisme de la maladie et surtout que dans mon malheur, des traitements efficaces existaient, dont la combinaison d'immunothérapies IPI + NIVO qui semblaient apporter d'excellentes réponses dans mon cas et devaient m'apporter de meilleures chances de guérison..

On m'a aussi expliqué que ce médicament n'était pas remboursé et ma première réflexion a été de savoir comment je pouvais financer moi-même ce traitement que je souhaitais obtenir.

Ce que j'ai compris par la suite, c'est que le CLB avec l'appui des médecins, ont finalement permis la délivrance de ce médicament malgré le coût qu'ils ont certainement dû supporter. Je remercie donc aujourd'hui toutes les personnes décisionnaires qui m'ont permis l'accès à cette molécule et m'ont donné toutes les chances de guérison.

En résumé, Le traitement a démarré depuis maintenant plus de 7 mois et les résultats sont à aujourd'hui très positifs puisque la tumeur a presque complètement disparue (Il reste encore 2 foyers qui devraient probablement disparaître dans le temps)

De plus, Je constate très peu d'effets secondaires (Psoriasis sur les jambes, vitiligo sur le crâne...) par rapport à la longue liste qui m'a été soumise, mais rien qui me handicape vraiment dans ma vie de tous les jours.

La prise en charge à l'Hôpital de Jour et le suivi de mes cures sont parfaitement bien organisés et traités avec beaucoup de professionnalisme, d'humanité et de respect, ce qui contribue je pense à mon excellent moral.

Même si j'ai toujours pratiqué du sport régulièrement, je me suis tout de même inscrit aux séances d'Activités Physiques Adaptées. Cela m'a permis d'avoir un accompagnement par des professionnels qui sont à l'écoute, et même avoir un bilan physique générale notamment sur mes habitudes diététiques. Des conseils qui vous rassurent dans la recherche d'un équilibre pour mieux guérir et finalement mieux vivre ensuite.

Pour conclure, mes nombreux voyages dans le monde m'ont permis de constater que nous vivons tout de même dans un pays extraordinaire, mais que nous devons encore protéger et améliorer. Ce n'est pas vraiment de la chance mais parce que d'autres avant nous ont fait des choix de société qui coûtent parfois cher, mais qui permettent aussi de donner une certaine égalité des chances face à la maladie.

J'ai pu profiter de ce traitement et je me sens aujourd'hui redevable pour les personnes qui ne pourraient y avoir accès. C'est pourquoi j'aimerais demander à l'ARS de tout tenter pour permettre le remboursement et l'accessibilité à ce médicament.

Mes remerciements très sincères à toutes les équipes du CLB (personnels soignants et administratifs) qui font un métier qui donne vraiment du sens à la vie et que je respecte de tout mon cœur....bravo à eux et aux équipes extérieures pour leurs dévouements.

Christophe C.

Témoignage N°2

Le 07/09/2022, le PET de contrôle montrait des hyperfixations dont vous pourrez lire le détail si dessous.

Le Dr AMINI me propose alors un traitement IPI + NIVO.

Les images du PET ne permettaient pas en enthousiasme débordant quant à l'avenir de l'évolution de la maladie.

J'ai accepté cette proposition après concertation, discussions avec mon entourage et suite aux entretiens avec le Dr AMINI.

Les informations données par le Dr AMINI m'ont été précieuses. Des informations claires, détaillées, précises.

Je suis d'un tempérament qui préfère savoir les choses, même difficiles, qui peuvent arriver plutôt que d'attendre qu'elles arrivent.

Je sais pouvoir compter sur mon entourage bienveillant et à l'écoute tout en respectant mes choix.

Le Dr AMINI a parfaitement bien compris et nous avons pu parler sans "langue de bois" et me permettre d'accepter sa proposition de traitement combiné.

La période de septembre à Novembre fut des plus difficile à vivre, il n'est pas aisé de penser au terme d'une existence.

Les C1 et C2 se sont parfaitement bien passées, j'attendais ces "maudits" effets secondaires qu'un tel traitement pouvait induire. Il n'en a rien été.

Parallèlement j'ai pris le parti de ne rien changé à ma vie, celle d'avant septembre 2022.

Mais rien ne s'est passé, pas de diarrhée, pas de nausées, pas de maux de tête... .

Et puis novembre 2022 est arrivé, l'angoisse du résultat du PET de contrôle de ces deux cures.

Je ne vous décrirais pas les yeux du Dr AMINI croisé dans le couloir des consultations, je ne vous décrirais pas son visage rempli de joie pour me dire que la réponse était "quasi complète", je ne vous décrirais pas ce vertige, cet ascenseur émotionnel qui passe de "dessous la terre" au "ciel serein de l'éclaircie"

Alors quand le Dr AMINI me dit que ce traitement n'est pas disponible POUR TOUS, qu'il nécessite à tout un staff médical d'argumenter, de convaincre, de transiger... je ne comprends pas.

Si je n'avais pas croisé la route de MONA serais-je encore là? si le Dr AMINI n'avait pas pu me proposer ce traitement, si elle n'avait pas pu soutenir mon dossier.....

Ce traitement me permet aujourd'hui de vous écrire ces quelques lignes, mais combien de patients peuvent le faire?

Combien de patients pourront encore en bénéficier?

Je ne peux que constater l'efficacité de ce traitement qui me permet à 59 ans de continuer à travailler, me déplacer, faire du sport et envisager avec un peu plus de sérénité l'avenir.

C'est bien ce traitement qui me permet de rester un citoyen actif, productif.

La médecine, la recherche, fait des progrès de géant, pour permettre à l'humanité de mieux vivre. L'humanité doit pouvoir bénéficier de ce travail.

Si je vis assez vieux, je couterai moins cher à vivre en bonne santé que malade et hospitalisé.

Ce bénéfice devrait être à la disposition de tous les patients dont l'état clinique le permet.

Je mesure la chance que j'ai eu de profiter de ce traitement et j'espère que beaucoup d'autres pourront en profiter aussi .

Par la présente, je vous prie d'agréer mes sincères salutations
MERCI MONA
Mr BLOYET Jean-Yves

Ci dessous un bref rappel des évènements

Pour rappel:

- 14 avril 2020 : exérèse d'un mélanome médiodorsal : 2,5 mm ulcéré, 5 mitoses.
- 4 mai 2020 : exérèse élargie et procédure du ganglion sentinelle : reliquat d'un mélanome d'1,3 mm, sentinelle axillaire gauche et droit négatif. - Analyse moléculaire : mutation BRAF V600K. Absence de mutation N-RAS.
- 9 juillet 2020 - 28 juin 2021 : 13 perfusions dans le cadre du protocole BMS CA209 76 K évaluant un anti-PD1 versus placebo dans le cadre des mélanomes stade IIB - IIC.
- 2 août 2022 : découverte d'un ganglion axillaire droit.
- 10 août 2022 : cytoponction : métastase de mélanome. - Demande de levée d'aveugle : placebo.
- 7 septembre 2022: PET-scanner: hyperfixation musculaire pleurale pulmonaire ganglionnaire axillaire et pancréatique. - Proposition d'un essai thérapeutique, avec différentes stratégies de combinaison, refusé par le patient sur le CHLS.
- 23 septembre-14 octobre 2022 : C1 et C2 IPILIMUMAB et NIVOLUMAB (PS0, poids 69 kg, créatinine 77 µmol/L).
- 16 novembre 2022 : réponse métabolique quasi complète.

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 entendu pas limitative.

Actuellement la plus grande difficulté du patient, « qui est très bien renseigné », c'est de se rendre compte de la difficulté d'accès au traitement.

Psychologiquement c'est très difficile, incompréhensible.

Le vécu de la maladie, est lourd, ils savent qu'ils peuvent potentiellement avoir des améliorations avec une bi-thérapie, mais on ne leur donne pas accès à ce choix.

C'est violent.

Les traitements actuels peuvent apporter des réponses à certains patients mais pas tous, et pas pour tout le temps parfois, car le cancer se prend en charge, individuellement.

C'est du sur-mesure, certains profils de patients répondront plus à telle ou telle stratégie.

Aussi, si la réponse est insuffisante, ou ne ne maintient pas dans le temps, c'est bien que l'arsenal thérapeutique puisse permettre à l'oncologue de proposer autres options.

Avec pour seul objectif ,d'améliorer la survie sans récidence.

Le mélanome est le cancer le plus impliqué avec notre système immunitaire, aussi, existe t'il des variations inter-individuelles.

Ce pourquoi, nous pouvons répondre qu'à la fois, cette stratégie peut répondre à des besoins non couverts, que les traitements existants sont à la fois, adéquates et inadéquates, car il existe beaucoup de variables et des problèmes de résistance.

Les services de recherches que nous consultons sur toute la France, nous disent, que le mélanome est la la pathologie qui challenge le plus les équipes de recherche au niveau mondial.

C'est l'environnement le plus actif, au niveau recherche.

Car c'est le cancer qui a une faculté d'adaptation aux traitements la plus importante. IL réagit, s'adapte et contre-carre les traitements.

Aussi, faudra t'il pour traiter ce cancer, des traitements dans l'avenir pouvant avoir une action sur tous les mécanismes de résistances et ou échappements possibles.

Nous faisons notre possible, pour optimiser la prévention, notre but, gagner la course contre le temps ,afin, que les mélanomes soient pris au stade précoce afin de miser sur un meilleur pronostic.

On souhaiterait qu'il y ait de moins en moins de patients à avoir besoin de ce type de traitement. Et cela est possible en poussant la prévention.

Nous sommes sur un volume de patients pas très important ayant besoin de ces stratégies.

Comme dans d'autres pays on aime à penser que la France peut supporter cela.

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.

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 ?

Concernant l'impact de la maladie, nous avons une bonne photographie du ressenti des patients dans les différentes régions de France, car nous faisons de l'accompagnement et échangeons avec beaucoup de patients.

Ainsi que leurs proches.

Nous proposons, aux patients, et ou adhérents ainsi qu'à leurs proches ou aidants, de participer à des tas de groupes de réflexions, échanges, qui nous sont proposés par différentes entités françaises ou internationales.

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

En appelant les centres experts, afin d'avoir les retours et observations de leurs patients

En appelant les patients afin de récupérer leurs témoignages

En utilisant nos réseaux sociaux, pour annoncer que l'association participait à cette contribution, et que j'attendais des patients, qu'ils partagent leurs expériences, et en demandant aux autres patients qui n'avaient pas reçu cette stratégie thérapeutique, de partager en masse sur leurs réseaux, afin que l'on arrive à toucher le plus de monde possible.

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

Patients, médecins oncologues, l'association pour le récapitulatif des informations à notre disposition, Ainsi que le résumé des différents congrès sur l'actualité de la prise en charge du mélanome braf muté ont contribué indirectement par les informations remontées, à la rédaction de la contribution.

Sinon, la rédaction s'est faite par un seul membre de l'Association.

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

Les aides extérieures ont été, des échanges téléphoniques avec des médecins oncologues maîtrisant bien cette stratégie dans cette indication.

Ainsi, qu'un point demandé avec le médical du laboratoire concerné, afin de valider la bonne compréhension de notre lecture des résultats.

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

3 jours pour la récupération des informations et rédaction.

Et 3 autres jours pour entrer en relation avec les patients, expliquer, et récupérer les témoignages.

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

Non.

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

