

FICHE

Accès précoce aux médicaments

Questionnaire de recueil du point de vue des associations de patients et d'usagers du système de santé

8 juillet 2021

- Ce questionnaire est réservé aux associations et aux groupes d'usagers du système de santé. Les associations peuvent être agréées ou non.
- L'objectif de ce questionnaire est de recueillir le point de vue de ces associations et groupes concernant une demande d'autorisation d'accès précoce déposée par un laboratoire pour un médicament dans une indication spécifique. L'information du dépôt de cette dernière figure dans le tableau de la page « [Contribuer à l'évaluation d'un médicament](#) » sur le site de la HAS, ainsi que le motif du dépôt, l'indication précise et la date limite pour répondre.
- Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou appeler le service Engagement des usagers au 01 55 93 70 00.
- Ce questionnaire une fois rempli doit être adressé à la HAS : accesprecoce.medicament@has-sante.fr. Il est transmis aux membres de la Commission de la Transparence dans son intégralité et sera rendu public sur le site de la HAS (la partie « Informations complémentaires et liens d'intérêts » est publiée selon votre autorisation).
- Ce questionnaire est en cours d'expérimentation – Il pourra faire l'objet de modifications après une phase test de 10 dossiers.

1. Identité de l'association ou du groupe d'usagers du système de santé

Nom complet suivi du sigle*¹ : ASSOCIATION CANCER VESSIE FRANCE LES ZUROS

Adresse du siège* : 12 rue d'Italie, 13100 Aix en Provence, France

Nature de la structure* : Association non-agrée

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

115 adhérents, 800 membres du groupe de soutien

¹ Les critères suivis d'un astérisque sont à remplir obligatoirement.

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : n/a

2. Médicament et indication en vue de l'accès précoce

Nom commercial* : PADCEV

Dénomination commune internationale (DCI)* : enfortumab vedotin

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

le traitement en monothérapie des patients adultes atteints de carcinome urothélial localement avancé ou métastatique, ayant reçu précédemment une chimiothérapie à base de sels de platine et un inhibiteur du récepteur de mort programmée-1 ou un inhibiteur du ligand du récepteur de mort programmée-1

→ **Avez-vous un commentaire général à apporter sur la population ou l'indication demandée pour cet accès précoce ? Vous semble-t-elle pertinente ?**

C'est une avancée importante pour les patients ayant un cancer avancé, il y a peu de traitements disponibles en 3^e ligne car les chimiothérapies ont peu de chance de marcher, et souvent les patients sont inéligibles à la chimiothérapie en raison de leur état déjà dégradé. Il est important de renouveler l'accès précoce pour permettre la poursuite du traitement des patients.

3. Impact de la maladie sur la personne concernée et ses proches

Il n'est pas utile de rappeler ce qu'est la maladie.

Décrivez ci-dessous les conséquences essentielles de la maladie sur la qualité de vie des personnes concernées ou de leurs proches et les traitements actuels lorsqu'ils existent.

Vous pouvez répondre partiellement aux rubriques concernées.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?**

- Argument 1 : Avec une progression de la maladie malgré chimiothérapie et immunothérapie, le patient est face à la mort certaine, et il n'y a plus trop d'options de traitement.
- Argument 2 : La progression des métastases s'accompagne de douleurs atroces difficiles à soulager
- Argument 3 : Les proches aidants sont démunis à ce stade de la maladie et supportent souvent une charge très lourde au quotidien.

→ **Quel est l'impact de cette maladie sur la qualité de vie des patients ou de leurs proches ?**

Se référer à nos précédentes contributions qui ont largement développé ce sujet

- **Fatigue intellectuelle ou physique :**
- **Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur**
- **Activités de la vie quotidienne :**
- **Mobilité/déplacement :**
- **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**
- **Vie affective :**
- **Vie sexuelle :**
- **Vie sociale :**
- **Autres aspects :**

4. Les traitements actuellement disponibles

L'autorisation pour la demande d'accès précoce prendra en compte l'existence ou non de traitements dûment autorisés et dont les objectifs et effets sont équivalents au médicament proposé en accès précoce (disponibilité ou non d'un traitement approprié).

➤ **Quels sont les traitements actuels (curatifs ou palliatifs) utilisés par les personnes concernées dans l'indication mentionnée pour ce dossier ?**

Par exemple, autres médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Il convient de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le traitement pour lequel un accès précoce est demandé (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...).

Votre réponse :

(Identique à notre précédente contribution) Les autres traitements pour cette indication sont : Soins palliatifs, radiothérapie palliative, essais cliniques. Chimiothérapies de 3^e ligne (paclitaxel, docetaxel, vinflunine).

Selon les derniers ESMO Guidelines (Volume 33 Issue 3 2022), Enfortumab Vedotin est recommandé dans la population de patients dans l'indication en question :

« *Treatment of ChT and immunotherapy-relapsed disease*
This population included third-line therapy after the sequence of platinum-based ChT and ICIs. It also included second-line therapy after first-line ChT and maintenance avelumab. EV has been tested in phase II and phase III trials in advanced disease UC after progression with ChT and ICIs. Confirmed RRs were 44% (95% CI 35% to 53%) in the phase II study.¹⁰³ The phase III trial showed superior RRs (41% versus 17%), PFS (HR 0.62, 95% CI 0.51-0.75) and OS (HR 0.70, 95% CI 0.56-0.89; 12.8 versus 9.0 months) for EV versus ChT (vinflunine or taxanes).¹⁰⁴ Grade 3 or more adverse events of special interest associated with the new class of drug were rash (15%), peripheral neuropathy (5%) and hyperglycaemia (4%). EV should be considered the standard of care in this population, which includes patients with progression of disease after first-line ChT and maintenance avelumab [I, A]. »

Dans les EAU Guidelines (Mars 2021) on retrouve cette mention sur le Vinflunine en 3^e ligne :

« *Vinflunine was approved as second-line treatment in Europe (not in the U.S.). More recently, second-line therapy with PD-1/PD-L1 checkpoint inhibitors has been established as standard second-line therapy and vinflunine is reserved for patients with contraindications to immunotherapy and may be considered as third- or later-line treatment option although no randomised data for these indications exist.* »

On peut lire aussi cette mention sur l'Enfortumab Vedotin :

« *Another promising drug is enfortumab vedotin, an antibody-drug conjugate (ADC) targeting Nectin-4, a cell adhesion molecule which is highly expressed in UC conjugated to monomethyl auristatin E (MMAE). A published phase-II single-arm study (n = 125) in patients previously treated with platinum chemotherapy and checkpoint inhibition showed a confirmed objective response rate of 44%, including 12% complete responses [558]. Responses were seen across patient subgroups including 41% in checkpoint inhibitor non-responders and 38% in patients with liver metastases. The most common treatment-related AEs included fatigue (50%), alopecia (48%), and decreased appetite (41%). Treatment-related AEs of interest included any rash (48% all grade, 11% ≥ G3) and any peripheral neuropathy (50% all grade, 3% ≥ G3). This data led to the accelerated FDA approval for enfortumab vedotin in locally advanced or metastatic UC patients who have previously received a PD-1 or PD-L1 inhibitor, and platinum-containing chemotherapy in the neoadjuvant/adjuvant.*

locally advanced or metastatic setting [559]. A phase III RCT comparing enfortumab vedotin with single-agent chemotherapy has reported preliminary results (ASCO GU 2021), reporting a significant survival benefit [558]» et le niveau de preuve est « fort ».

Further treatment after platinum- and immunotherapy	
Offer treatment in clinical trials testing novel antibody drug conjugates (enfortumab vedotin, sacituzumab govitecan); or in case of patients with <i>FGFR3</i> alterations, <i>FGFR</i> tyrosine kinase inhibitors.	Strong

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

- Argument 1 : Peu de patients dans cette indication sont éligibles à la chimiothérapie de 3^e ligne.
- Argument 2 : Les chimiothérapies de 3^e ligne sont peu efficaces pour le risque de toxicité encouru.
- Argument 3 : La radiothérapie palliative n'est pas appropriée dans beaucoup de cas.

5. Le médicament étudié en vue d'un remboursement dérogatoire dans le cadre d'une autorisation en accès précoce

Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement (par exemple, au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur), remplir la rubrique « 5.1. L'expérience avec le médicament étudié » et expliquer la méthode avec laquelle vous avez recueilli cette expérience dans la rubrique « 8. Méthodes. »

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, remplir la rubrique « 5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié ».

La Haute Autorité de santé évaluera le caractère innovant, notamment au regard des changements substantiels que cette nouvelle modalité de prise en charge apporte aux patients. Il est important d'identifier ce qui peut constituer du point de vue des personnes un changement substantiel au regard de l'impact de la maladie sur la qualité de vie.

Les catégories suivantes sont proposées à titre indicatif. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients majeurs qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- l'état de santé du patient, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave
- la qualité de vie du patient (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.

5.1 L'expérience avec le médicament étudié

Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres

Ne remplir cette partie que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

traitements utilisés actuellement

→ **Quelles sont les 3 améliorations majeures qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?**

• Amélioration majeure 1 :

Efficacité importante comparée aux traitements existants. Notamment l'étude positive EV-301** (median OS 12.9 vs 9 mois, PFS 5.6 vs 3.7 mois, ORR 40.6% vs 17.9%)

**<https://www.oncoclic.fr/actualites/c/0/i/53960679/asco-gu-2021-enfortumab-vedotin-ev-la-revolution-des-adc-dans-les-cancers-urotheliaux>

Paroles de plusieurs patients qui ont fait état d'une bonne réponse au traitement :

« Réduction du carcinome »

« Après 3 cycles, très bonne réponse avec PADCEV(disparition complète métastase foie, rectum, ganglions éclairés, et une merdouille à un poulmon) »

« Réduction de la tumeur du 70% »

« La famille a été contente du résultat clinique »

« Efficacité thérapeutique constatée par imagerie médicale »

« Que des différentes chimios essayées, PADCEV semble apporter la réponse la plus efficace et la plus durable (pour l'instant) »

• Amélioration majeure 2 :

Facilité d'administration du traitement (durée 30 min environ)

Paroles de patients à qui on a demandé de commenter l'usage du traitement:

Oui administration du traitement dans DVI et rapidité de traitement (environ moins d'une heure)

Aucun

Je ne sais pas

Ni plus ni moins pareil qu'une chimio avec la PAC, r.a.s de ce côté là, j'aurais apprécié un comprimé à prendre à la maison, car perso suis à +2h de mon lieu de chimio auquel je tenais quand même rester!

Il est facile

Aucun souci

Séance de 40 minutes très rapide en hôpital de jour

Quand on a demandé aux patients de commenter les inconvénients de ce traitement, ils ont parlé de la durée des cycles et l'incertitude de la poursuite du traitement :

Cycles de 4 semaines (3 padcev hebdo-1 semaine repos), trop long, j'aurais aimé pouvoir baisser à cycles des de 3 (2 P-1 semaine repositc) ou une tousles 15 jrs, sinon perso, perte cils(très contraignantes pour moi) et pilosité en général, pas grave ça...

Sa durée (nous ne savons combien de temps il va faire son effet) , nous avons peur qu'il arrêt de marcher après quelques mois, comment il y a écrit dans les articles scientifiques qui en parlent

« ...au niveau contraintes je dirais que ça fait étal même si les effets secondaires sont différents, un bémol pour PADCEV, cycle trop long! Sinon, j'avais posé la question à onco à savoir qu'avec une très bonne réponse après 3 cycles, j'avais suggérer de pouvoir diminuer les protocoles? les espacer? baisser d'un palier? l'onco m'avait répondu que l'on manquait de retombées avec PADCEV et qu'à ce jour on ne pouvait pas arrêter ni autres, on aurait peut être pu éviter cette toxicité cutanée?? qui est arrivée par la suite vers 6 ième cycle?.. »

• Amélioration majeure 3:

Toxicité hématologique moins importante** comparée à la chimiothérapie, ce qui est vraiment significatif dans cette population.

**<https://www.oncoclic.fr/actualites/c/0/i/53960679/asco-gu-2021-enfortumab-vedotin-ev-la-revolution-des-adc-dans-les-cancers-urotheliaux>

Paroles de patients :

« Beaucoup moins embêté au niveau sanguin qu'avec Carbo-Gemzar, eu soucis++ avec plaquettes- globules(reports et transfusion), nausées au tout début... »

« PADCEV a été aussi efficace pour moi comme Carbo gemzar l'an dernier, pas eu de soucis au niveau sanguins comme C-G, à part problème toxicité cutanée et perte de cils entraînant des gênes++ »

« Comme décrit plus haut : avec Cabo-Gemzar, eu plus de soucis au niveau plaquettes-gobules blancs, reports chimios et transfusion sanguine..., avantage avec C-G, cycles plus courts..., eu protocole immunothérapie avec Avelumab qui a été "confortable" on va dire avec très peu d'effets secondaires et cycles de 15 jrs!,

mais malheureusement pas efficace sur moi! »

« Protocole chimio MVAC : horrible et très difficilement supportable Protocole chimio Carbo-Gemzar : supportable et relativement efficace (mais moins efficace que PADCEV semblerait t-il) »

« La première chimiothérapie (MVAC) était très fort, elle ne permettait une bonne qualité de vie et n'a pas eu un bon effet clinique »

« Traitement moins fatiguant moins contraignant par contre plus long »

• Autres améliorations :

Durée d'hospitalisation réduite par rapport à la chimiothérapie (quand tout se passe bien sans complications des effets secondaires)

Paroles de patients :

« Je vis tout à fait normalement. Aucun souci sur la vie sexuelle affectif sentimental social. J'ai toujours continué à travailler depuis le début de ma maladie »

Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Ne remplir que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quels sont les 3 principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié identifiés par les patients, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

• Inconvénient principal 1 :

Effets secondaires importants (notamment cutanés) pouvant même être mortels

Fatigue générale et baisse de la libido

Après sa 2ème dose de Padcev mon Papa a eu de la fièvre des brûlures sur le corps modification du goût des aliments nervosité brûlure dans la gorge ne pouvait plus parler ni manger et avait des nausées mais ne pouvait pas vomir

2ème cure très fatiguée couchée sans manger pendant 3 jours

Perso, fatigue++ perceptible à H 48 post PADCEV durant 3-4 jours surtout pour les derniers cycles, une fatigue qui impacte sur beaucoup de secteurs, manque d'envie++, baisse libido etc..., côté appétit ça allait plutôt bien! bref c'est un tout...

Un peu de fatigue le soir

Peau sèche

Perte des cheveux au début

Effets secondaires (perte totale pilosité, fourmillements et crampes dans les extrémités type doigts et orteils, quelques éruptions cutanées)

« perte pilosité+, surtout embêté+++ avec pertes cils, moins de protection donc(kératite, conjonctivite etc), fatigue++, dérangement+ au niveau transit, et pour finir toxicité cutanée stade2 au niveau hanche-bas ventre+++ , arrêt immédiat avec PADCEV avec encore un très bon résultat au niveau tep scan(fin juin2023). Pas douloureux cette toxicité mais assez impressionnante au niveau visé cutanée, multitudes bulbes remplis d'eau, seule la cortisone(je ne prenais pas le reste) pommade cortisone a suffit à calmer ces éruptions qui duraient 3-5 jrs en tout et pour tout. A ce jour après 3 mois, encore de petites éruptions ici et là surtout au niveau partie basse du corps ou bras, une récemment sur un mollet mais de faible intensité (la taille d'une demie main). Sinon R.A.S au niveau prise de sang à ce jour et pendant protocole. »

Aucune idée pour l'instant de l'efficacité du traitement.
En effet secondaire perte de cheveux barbe léger picotement au bout des doigts
Peau sèche et fragile
Transit un peu capricieux
perte de goût aléatoire
légère fatigue

Problème de transit
perte d'appétit suite à la perte de goût et prendre bien soin de sa peau car très sèche

- Inconvénient principal 2 :

L'impact sur les proches aidants en cas d'effets secondaires sévères :

Paroles de patients et proches aidants :

Padcev a tué mon Papa 🥰

Un enfer de voir mon Papa être dans cet état là

- Inconvénient principal 3 :

- Autres inconvénients :

5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié

Vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients ayant utilisé le médicament étudié, mais souhaitez donner votre point de vue sur ce médicament.

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

- ➡ **Quelles seraient les 3 améliorations majeures qui vous permettraient de dire que le médicament étudié vous semblerait **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

- Attente majeure 1 :

Prolongation de la vie dans de bonnes conditions (sans devoir être hospitalisé tout le temps, de pouvoir mener une vie presque normale)

- Attente majeure 2 :

Toxicité/effets secondaires moindres que ceux d'une chimiothérapie

- Attente majeure 3:

- Autres attentes :

5.2.2. Vos craintes concernant le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

- **Quelles sont les principales craintes que soulignent les patients concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?**

- **Crainte principale 1 :**

Des effets secondaires spectaculaires, notamment cutanés, voire mortels, nous ont été rapportés par des patients et leurs proches aidants.

Paroles de patients et proches aidants :

« Les patients qui reçoivent Padcev doivent être deux fois plus surveiller que pour une autre chimio car cette chimio est vraiment dangereuse si on ne l'arrête pas à temps il faut vraiment surveiller les patients de très près »

- **Crainte principale 2 :**

- **Crainte principale 3 :**

- **Autres craintes :**

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

La HAS peut décider de transmettre le projet de Protocole d'utilisation thérapeutique (sous engagement de confidentialité) – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations ou groupes d'usagers du système de santé. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le

médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

→ **Quels sont les 3 types d'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 ?**

- **Type d'information 1 :** Surveillance des effets secondaires cutanés
- **Type d'information 2 :** Le ressenti général du patient
- **Type d'information 3 :**

→ **Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs²) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?**

- X Non
- ☐ Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?

Pas que je me souviene, j'avais un carnet de suivi auquel je n'ai jms tenu, j'ai tjrs eu une téléconsultation la veille avec onco pour donner feu vert(rsults prise de sang etc)...

→ **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, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)**

Une application smartphone à domicile, ou questionnaire écrite, mais aussi avec l'aide d'un soignant à l'hôpital, et surtout par téléphone, il faudrait que l'équipe téléphone au patient notamment après la première injection, pour le questionner sur les éventuels effets secondaires.

→ **Avez-vous un avis sur les mesures de gestion des risques qui vous semblent nécessaires et acceptables à prendre pour les patients qui recevront ce médicament ?**

Il semblerait qu'il y a lieu de mieux détecter et prendre en charge les effets secondaires notamment cutanés. Il faudrait avoir une approche pluridisciplinaire dès le départ, en associant par exemple des allergologues et dermatologues, avec une évaluation du patient par un dermatologue entre la 1ère et 2è injection.

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

La HAS peut décider de transmettre le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'usagers. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de

² Les PROMs : *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.

bien vouloir renseigner la rubrique suivante.

- **Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**

Nous n'en avons pas connaissance.

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple analyse du projet de protocole d'utilisation thérapeutique-recueil de données, enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, ligne téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

- **Selon quelle méthode avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles (§4) ?**

Pour les traitements actuellement disponibles : en se basant sur nos connaissances scientifiques acquis au cours de divers congrès EAU / ESMO Patient Track, mais aussi des expériences anecdotiques rencontrés dans les forums de soutien aux patients. Nous avons consulté les guidelines de ESMO et EAU, et fait un peu de recherche sur internet. Nous avons demandé une validation de notre compréhension au Pr Neuzillet concernant les autres traitements actuellement disponibles en France. Pour la partie « impact de la maladie », nous avons directement interrogé nos membres via un questionnaire google forms.

- **Selon quelle méthode avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement (§5.1) ? Le recueil a-t-il été réalisé par l'association, par le laboratoire ou par les deux ?**

Nous avons directement interrogé nos membres via un questionnaire google forms dont le lien a été diffusé sur nos réseaux sociaux, notamment Facebook. 6 personnes ont répondu (4 patients, 2 proches aidants dont pour un le proche est décédé, et l'autre le proche est en cours de traitement). Seule l'association a rédigé et consulté les réponses du google forms, le laboratoire n'a pas du tout été associé à cette démarche.

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

- ☐ Oui
- ☒ Non

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

Lori FUNK-CIREFICE, Présidente de l'association

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

Pr Yann Neuzillet au sujet des autres traitements disponibles.

9. Synthèse

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

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

Votre réponse :

Il y a un réel besoin de traitement innovant dans l'indication en question, le patient en situation « 3^e ligne » qui a très peu d'options typiquement, et sait qu'il va mourir à plus ou moins court échéance, car il a déjà épuisé ses options de traitement et la maladie est en progression. Le PADCEV a démontré des résultats très encourageants lors des essais cliniques dans ce contexte. C'est l'option de la dernière chance, et nous constatons dans notre groupe de soutien que les patients veulent avoir une chance, ils veulent essayer une option qui leur permette de gagner quelques mois de vie, voire quelques années. Cependant, les effets secondaires rapportés par nos membres font un peu peur. On a l'impression que les effets secondaires du PADCEV sont moins bien connus et moins bien gérés que les effets secondaires de la chimiothérapie. Nous préconisons une approche pluridisciplinaire avec évaluation d'un dermatologue systématique entre la 1^{ère} et 2^{ème} injection.

10. Informations complémentaires et liens d'intérêts

- Souhaitez-vous que cette rubrique soit rendue publique ?

- ☐ Oui
- ☒ X Non

10.1 Complément d'information sur votre association ou groupe d'utilisateurs³

- **Personne contact pour les contributions :**

- Nom prénom : FUNK-CIREFICE Lori
- Fonction : Présidente de Cancer Vessie France, Vice-Présidente du conseil d'administration de la coalition World Bladder Cancer Patient Coalition
- Adresse électronique : cirefice@gmail.com

³ Les données personnelles collectées dans le cadre de ce questionnaire (nom, prénom, adresse e-mail, n° de téléphone professionnel, fonction) servent uniquement à la gestion de votre contribution et ne sont transmises qu'à la HAS.

Elles seront conservées pendant 10 ans.

Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par courriel à l'adresse suivante : dpo@has-sante.fr.

- Téléphone :0613195335

→ Principales activités de votre association ou groupe d'usagers :

Rompre l'isolement des malades en leur permettant de dialoguer entre eux pour mettre des mots sur leurs maux. Permettre à ses membres de communiquer facilement. Trouver une écoute.

Informier le public par des campagnes de sensibilisation. Faire connaître la pathologie auprès du public.

Partager les progrès de la recherche.

Développer la prévention.

Lutter pour que le BCG et la Mitomycin-C restent toujours disponible, et promouvoir l'accès aux traitements innovants

Soutenir la recherche sur ce cancer.

→ Composition des associations non agréées et nature des groupes d'usagers

Composition du bureau :

Président..... Lori CIREFICE

Secrétaire générale..... Pascale DANSART

Trésorier..... Stephane VALLET

10.2 Informations sur le financement de votre structure et autres liens d'intérêts

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine d'un financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), pour l'année en cours et l'année passée.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

→ **Budget total de l'association pour l'année passée : 2022 : 9081 €**

→ **Budget total de l'association pour l'année en cours : 2023 prévisionnel : 23525 €**

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2022	Astellas	2000	22%
2022	Merck Pfizer	3000	33%
	Bristol Myers Squibb	1500	16%
	Autres (adhésions, dons, enquêtes, subvention mairie)	2581	28.4%
2023	Merck Pfizer	7025	29.8%
2023	Astellas	5000	21.25%

2023	Bristol Myers Squibb	5000	21.25%
2023	VitaDX	2500	10.6%
2023	Autres (adhésions, dons, enquêtes)	4000	17%

→ **Pensez-vous nécessaire de porter à la connaissance de la HAS d'autres liens qui pourraient constituer un potentiel conflit d'intérêts ?**

Nous avons collaboré avec Astellas sur un projet rémunéré de Podcast pour sensibiliser au cancer de la vessie, ce projet a commencé en 2021 et s'est terminé en 2022. Nous avons également établi un contrat de partenariat avec Astellas en 2023, portant sur le renouvellement du projet Podcast et divers autres interventions

Remerciements

Nous vous remercions beaucoup pour votre apport et votre temps passé. Ils sont importants. Votre contribution, notamment la synthèse ci-dessus, sera notamment mentionnée oralement lors de la séance de la commission.