
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	9
1. Questionnaire – Partie A	10
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	10
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	10
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	12
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	12
1.3. Le médicament évalué	15
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	15
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	15
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	15
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	16
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	17
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	17
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	17
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	18
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	18
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	19
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	19
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	20
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	21
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	22
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	23
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	24

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 (contact, financement) destinées à la HAS.

Identité de l'association ou du groupe

CERHOM



Site internet : <http://cerhom.fr>

Adresse postale (le cas échéant) :

143 RUE JEAN JAURES MAISON DES ASSOCIATIONS, 94800 VILLEJUIF

Nature de la structure :

- ☐ Association agréée au niveau national
 - ☐ Association agréée au niveau régional
 - ☒ Association non agréée
 - ☐ Autre (préciser) :
-

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau : Affilié au réseau GPS CANCER

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

TALZENNA

Dénomination commune internationale (DCI) :

Talazoparib

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

Traitement des patients adultes atteints d'un cancer de la prostate métastatique résistant à la castration (CPRCm), pour lesquels la chimiothérapie n'est pas cliniquement indiquée et les alternatives disponibles ne sont pas appropriées.

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

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

Préambule sur le diagnostic tardif :

Le cancer de la prostate (CP) se situe au 1er rang des cancers chez l'homme et représenterait la 3ème cause de décès chez l'homme en France. Le CP tue encore aujourd'hui pratiquement 1 homme toutes les heures (dernière information communiquée par l'INCa, base 2018 : 8 100 décès par an).

Précisons d'entrée que, contrairement aux idées parfois « reçues », le CP ne touche pas que les personnes dites âgées mais aussi des hommes dans la quarantaine ou la cinquantaine.

Comme dans d'autres cancers, les circonstances et le moment du diagnostic ont un impact décisif sur le patient, alors que les moyens du diagnostic et les recommandations le concernant ne sont pas clairement établies ; situation susceptible de renforcer le nombre de cas de diagnostics tardifs.

Le cancer de la prostate est longtemps asymptomatique, autre facteur de risque d'un diagnostic à un stade avancé. Au travers des centaines d'appels reçus chaque année par notre centre d'écoute, pouvons témoigner de nombreux cas d'hommes de moins de 60 ans chez qui le CP est découvert à la suite d'une fracture (hanche par exemple) ou de douleurs récurrentes, signifiant que le cancer a déjà atteint les os. Le pronostic vital est dès lors souvent défavorable.

Impact sur le patient :

Dans le cas d'un diagnostic au stade localisé et précoce, au mieux le patient pourra être placé en surveillance active avec un suivi régulier principalement basé sur l'évolution de son taux de psa (en général tous les 3 ou 4 mois). L'impact est alors principalement psychologique et lié à l'annonce d'un cancer. Chez beaucoup, cette annonce, même en cas de cancer « débutant » et localisé, signifie néanmoins vivre avec la maladie et redouter en permanence son évolution.

Plus le diagnostic est tardif et plus la qualité de vie du patient sera altérée, du fait des conséquences physiques et/ou psychologiques.

Ces effets peuvent être liés à la maladie elle-même et/ou aux traitements.

- o Effets psychologiques liés à l'annonce de la maladie ;
- o Effets physiques (fatigue notamment)
- o Douleurs, liées aux métastases osseuses

- o Effets de la prostatectomie radicale : incontinences urinaires généralement temporaires mais 5% des patients restent incontinents après 2 ans + troubles sexuels liés aux troubles de l'érection, affectant sévèrement la vie intime. On observe dès lors une altération fréquente de la vie sociale ;
- o Effets des traitements médicamenteux : ici encore, plus le stade est avancé et plus le patient est susceptible de subir des impacts liés à ses traitements, qu'il s'agisse des hormonothérapies

(troubles sexuels, fatigue, inconfort général) ; de chimiothérapie (nausées, vomissements, vie sociale et professionnelle systématiquement affectées) ;

o La radiothérapie présente également des contraintes souvent lourdes, que ce soit au plan physique (diarrhées, rectites, saignement ...), ou professionnels (souvent incompatible avec l'obligation de se rendre chaque jour à l'hôpital), etc.

La résistance à la castration et la présence de métastases sont deux facteurs aggravants de l'état global des patients.

CERHOM avait réalisé en 2021 une enquête auprès d'environ 80 patients atteints de CP.

Des questions individuelles spécifiques avaient été posés à 7 patients métastatiques. Sur ces patients : 7 sur 7 se plaignaient de douleurs, dont 6 de douleurs osseuses ou musculaires. 3 d'entre eux disaient souffrir tous les jours.

En termes d'autoévaluation, les patients métastatiques évaluaient :

- Leur état physique à 5,1 /10 (contre 7,3 en moyenne chez l'ensemble des 80 patients)
- Leur qualité de vie à 6,1/10 (contre 7,4 en moyenne)

Sur ces 7 patients métastatiques interrogés, 3 étaient également résistants à la castration. Âgés entre 60 et 70 ans, tous trois sous Docetaxel et hormonothérapie de nouvelle génération. Pour ces 3 patients, l'autoévaluation de leur état physique tombait à 3,6 /10 et la qualité de vie à 4 sur 10.

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 ?

EORTC

ALQ-C30

1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants

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

Le cancer de la prostate métastatique a un impact psychologique fort sur les proches, du fait du pronostic globalement défavorable.

En effet, si « environ 10 % des cancers de la prostate diagnostiqués chaque année se révèlent d'emblée métastatiques : pour ces 5 000 patients le pronostic de survie à long terme n'est pas élevé. » <https://www.gustaveroussy.fr/sites/default/files/cp-asco21-peace1-prostate-04062021.pdf>

« Lorsqu'il y a des métastases, le cancer de la prostate de stade IV présente une espérance de vie à 5 ans d'environ 50 % » Source Institut Hartmann

L'âge du patient, son degré d'autonomie et ses comorbidités affectent plus ou moins fortement les proches et/ou aidants.

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Nous identifions en traitements accessibles, pour aider à retarder l'évolution de la maladie :

- Les inhibiteurs de la signalisation androgénique : blocage de la production ou l'activité des hormones masculines. Ces inhibiteurs de l'androgène comprennent, notamment, l'Abiratéron et l'Enzalutamide.
- La chimiothérapie, pour les patients atteints de CPRCm qui ont déjà été traités avec des inhibiteurs de l'androgène. Les médicaments de chimiothérapie couramment utilisés pour le traitement du CPRCm comprennent le docétaxel et le cabazitaxel.
- Une éventuelle radiothérapie dite symptomatique, pour essayer de soulager les symptômes liés aux métastases osseuses ;
- Plus récemment, le Lu- PSMA est devenu une option pour les patients métastatiques en échec de chimiothérapie et ayant une hormonothérapie de 2^{nde} génération.

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.

- Très récemment, un premier inhibiteur de PARP a obtenu une autorisation de mise sur le marché (Lynparza en association avec Abiraterone). Notre association avait d'ailleurs proposé une contribution en appui à l'évaluation.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Nous, patients, observons avec satisfaction qu'en une dizaine d'année, l'arsenal thérapeutique disponible dans le CPRCm se soit enrichi.

Précédemment, un homme à qui on annonçait la résistance à la castration n'avait globalement d'autre choix que d'« attendre » l'apparition de métastases puis entamer une chimiothérapie.

L'échec de la chimiothérapie menait rapidement aux soins palliatifs, sans véritable solution pour retarder encore l'évolution de la maladie. L'innovation permet, progressivement, de « grignoter » des mois ou années de survie.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Nous ne disposons pas dans le mCPRC de véritable solution curative. Le mieux que puisse espérer le patient métastatique résistant à la castration est la « chronicisation » de sa maladie.

Nous voyons donc les traitements actuellement disponibles comme des moyens de retarder l'évolution du cancer. Le pronostic vital des patients de cette population est largement entamé. Nous sommes bien entendu dans l'attente de traitements véritablement curatifs.

S'agissant du Lu-PSMA, relativement peu de patients semblent éligibles et cette nouvelle opportunité de traitement s'est heurtée à un phénomène de pénurie, conjuguée à un manque de centres et de personnel susceptibles d'accueillir des malades.

S'agissant de l'inhibiteur de PARP actuellement autorisé, s'il représente une avancée significative en terme de médecine personnalisée, il risque de se heurter au problème de l'accès aux test génomiques permettant de déceler une mutation de gène BRCA. L'autre limite majeure que nous voyons est détaillée au paragraphe suivant.

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

Le patient métastatique et la recherche

Pour nombre de patients atteints d'un cancer, de la prostate notamment, la vie devient une sorte de course contre la montre. « *Ma maladie ne doit pas évoluer plus vite que la recherche* » nous disait en novembre 2022 un patient métastatique de 61 ans, décédé en février 2023.

Tous les besoins ne sont en effet pas couverts dans ce cancer.

Au contraire d'autres pathologies, les médecines personnalisées ne sont pas encore véritablement déployée dans le CPRCm. Lorsque nous interrogeons les patients ou leurs proches, quasiment tous ignorent la notion de « PARP », de « BRCA » ou de « défauts des voies de réparation de l'ADN ». L'information est encore peu accessible et diffusée. De même, peu de patients se voient proposer une procédure de recherche de mutation des gènes.

Il est indispensable d'accélérer l'accès à ces diagnostics et aux nouvelles thérapies qui représentent un espoir fondamental en termes de gain de survie sans progression ou de survie globale..

Le cas des inhibiteurs de PARP

En juillet 2023, notre association CERHOM, avec les associations ANAMACAP et APCLP, avait co signé un courrier adressé à la HAS et alertant sur les conséquences du refus d'accès précoce opposé au Talzena en avril 2023. En effet, cette décision nous a surpris, car elle exclue selon nous une partie des patients potentiellement éligibles à un inhibiteur de PARP.

Nous basant sur les débats retranscrits de la commission de la transparence du 26 avril 2023, nous relevons nombre d'arguments favorables au traitement évalué :

o ...« L'association talazoparib plus l'enzalutamide a démontré sa supériorité par rapport à l'enzalutamide seul en termes de survie sans progression radiologique, après un suivi médiant d'environ 24,9 mois dans le groupe traité par l'association talazoparib plus l'enzalutamide. »

o ...« l'association de traitement avec talazoparib plus l'enzalutamide améliore le taux de réponse objective par rapport à l'hormonothérapie seule, qui passe de 44% à 62%. Cela améliore également, c'est exploratoire, le temps jusqu'à la détérioration de la qualité de vie qui passe en médiane de 25 mois à 31 mois, un hazard ratio à 0,78 qui serait statistiquement significatif. »

o ... « **la molécule semble remplir tous les critères de l'accès précoce, sauf le fait qu'il y ait un médicament similaire, dans les types de molécules qui ont l'AMM et un accès précoce post-AMM.** »

Les expert estiment donc que tous les critères de l'accès précoce sont réunis. Leur réserve porte sur le fait que le besoin serait déjà couvert et semblent considérer -sans discuter le point- que l'association avec l'Abiraterone ou l'Enzalutamide serait neutre :

o « Parce que dans exactement la même indication, l'association olaparib plus abiratéronne a une AMM et a un accès précoce post- AMM que nous avons attribué récemment. Cela me paraîtrait gênant d'attribuer un accès précoce pré-AMM dans un contexte où nous avons un accès précoce post-AMM déjà disponible, et sur des données à peu près similaires en termes de niveau de preuve ou d'ampleur d'effet. »

Nous estimons malheureusement que tel n'est pas le cas et que la décision crée une inégalité d'accès à ces nouvelles thérapies. En effet, un argument essentiel au débat a été ignoré, car une partie des patients ne sont pas éligibles à l'Abiratéronne, du fait de comorbidités comme le diabète, certaines affections cardiaques ou encore l'obésité.

Nous nous sommes rapprochés de plusieurs oncologues, notamment de Gustave Roussy, qui nous ont confortés dans cet avis.

Nous avons également fait une rapide revue de littérature d'éléments disponibles, dont nous livrons ci-après deux exemples :

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5663621/pdf/oncotarget-08-84572.pdf>

« As both abiraterone and enzalutamide demonstrated similar efficacy prior to and after chemotherapy in mCRPC patients, **the treatment decision-making should be aided by a careful analysis of patient competing risks of death, chiefly a history of cardiovascular disease or cardiac comorbidities**, and patient baseline conditions, particularly fatigue. Besides, a thor-

ough discussion with the patient surrounding the possible risks and benefits of each therapy is warranted and appropriate monitoring during treatment is required. // In this meta-analysis, abiraterone was associated with an increased risk of cardiovascular events, while enzalutamide was associated with an increased risk of fatigue »

<https://www.sciencedirect.com/science/article/pii/S0302283817304979?via%3Dihub>

“There was a consensus for abiraterone over enzalutamide in men with a history of falls (94%), significant baseline fatigue (88%), and significant neurocognitive impairment (84%).

There was consensus for enzalutamide over abiraterone in men with diabetes mellitus requiring prescription drug therapy.”

Nous n’avons pas de chiffre précis à avancer pour estimer la population de patients qui pourraient ainsi être exclus de l’accès précoce à cet inhibiteur de PARP, mais nos échanges feraient ressortir entre 10% et 20% des patients.

Il s’agit dès lors d’une inégalité d’accès qu’il convient d’éviter, en proposant une alternative pour les patients non éligibles à l’abiraterone.

1.3. Le médicament évalué

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.

L’indication proposée à l’évaluation nous semble répondre à notre préoccupation, puisqu’elle ouvre un accès à cette thérapie ciblée pour les patients pour lesquels le médicament actuellement disponible n’est pas recommandé.

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.

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 ?

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

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

En comparaison du traitement « standard » qu'est la chimiothérapie, l'attente est importante.

Les récentes déclaration faites à l'ASCO 2023 révèlent une nette supériorité de Talazoparib sur le standard..

« Le talazoparib est un nouvel inhibiteur de PARP, une enzyme impliquée dans la réparation des lésions de l'ADN cellulaire. Cette molécule est déjà approuvée dans plusieurs pays en monothérapie dans le cancer du sein avancé avec mutation de BRCA1/2 et HER2 négatif. »

On y indique un « bénéfice clinique majeur de l'association » Talazoparib-Enzalutamide, avec, sur 17 mois de suivi, « une réduction de 55 % du risque de décès ou de progression tumorale en faveur du groupe recevant les deux médicaments ».

Il en est de même sur les critères secondaires de l'étude TALAPRO-2, en termes de survie sans détérioration de la qualité de vie du patient : « De manière importante, la survie sans détérioration de la qualité de vie est également significativement allongée pour les patients recevant l'association des deux médicaments. »

<https://www.gustaveroussy.fr/fr/asco-2023-cancer-de-la-prostate-metastatique-porteurs-de-mutations-genetiques-de-reparation-de-ladn#:~:text=Le%20talazoparib%20est%20un%20nouvel,BRCA1%2F2%20et%20HER2%20négatif.>

Il est essentiel que cette association soit disponible pour les patients de la population concernée par l'évaluation.

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 spécifiques en comparaison du gain escompté.

Sont signalés comme effets « anémie, donc fatigue, et troubles digestifs ». La mise en perspective de ces effets avec ceux d'une chimio sont-ils de nature à faire hésiter le patient ?

D'expérience, nous appuyant en cela sur des années d'échanges directs avec des malades dans le cadre du centre d'écoute de l'association, il nous semble que les craintes évoquées en termes d'effets indésirables sont sans rapport avec le bénéfice démontré par l'étude.

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

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 ?

Le CPRCm place le patient et son médecin dans une situation d'urgence.

Toute solution ayant démontré une capacité à ralentir l'évolution métastatique doit être accessible et proposée au patient.

N'oublions pas que le principal impact des métastases est la douleur, qui par elle-même exclue le patient de la vie sociale et met à mal son capital psychologique.

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

Le fait que certains patients ne puissent se voir proposer une chimiothérapie nous engage collectivement à être en mesure de proposer des alternatives -d'autant que celle-ci s'avèrerait nettement plus efficace que la chimiothérapie.

Nous savons que le traitement par hormonothérapie a une efficacité, mais relative dans le temps. La priorité est de bloquer l'évolution de la maladie par tous moyens ayant démontré une efficacité, même partielle.

Enfin, et comme déjà évoqué, l'inhibiteur de parp actuellement disponible n'est pas recommandé pour tous les patients du fait des incompatibilités avec l'Abiraterone.

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

Les gains en termes de ralentissement de progression radiologique et/ou en termes de survie globale, démontrés par les études cliniques représentent un véritable espoir pour les patients. (Cf. résultats de l'étude rapportés supra).

Un malade arrivé à ce stade de son cancer n'a pas le temps d'attendre plusieurs années la publication des futurs essais pour avoir la possibilité d'accéder à une solution, surtout si celle-ci présente des preuves d'efficacité.

Pour lui, un écart comme celui montré dans l'étude TALAPRO-2 en faveur de l'association évaluée est un immense espoir.

Enfin, il s'agit d'une des toutes premières solutions de médecine ciblée proposées dans le cancer de la prostate.

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

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 indicateurs relatifs à

- Scores de douleur
- Son ressenti général de son état physique
- Son ressenti général de son état psychologique
- Relevé des effets ressentis entre deux consultations

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. ?)

A chaque rendez-vous avec le médecin qui suit le patient pour son cancer, un outil de recueil des indicateurs de qualité de vie et d'évolution de la maladie devrait être utilisé, dans la continuité.

Idéalement, l'outil devrait être le même pour tous les centres, proposé par la HAS ou l'INCa.

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

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 ?

Nous n'avons pas eu accès au PUT-RD dans le cadre du cancer de la prostate.

Nous avons consulté (open source sur le net) celui relatif à l'indication dans le cancer du sein.

S'agissant du suivi, la transcription/adaptation des documents proposés, au cancer de la prostate nous semble correcte. Un suivi de la QV sur la base du questionnaire EORTC QLC-C30 sur un rythme mensuel puis trimestriel nous semble adapté.

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 ?

Pas de demande spécifique mais nous nous tenons à la disposition de la HAS si celle-ci souhaite nous auditionner.

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse

Nous voyons les inhibiteurs de PARP comme une véritable alternative et comme une solution réellement efficace au vu des essais cliniques.

Nous ne pouvons, en tant que patient, nous satisfaire de propositions de prise en charge actuellement disponibles qui, si elles contribuent à ralentir un peu l'évolution du cancer métastatique, sont encore loin d'offrir de réelles perspectives en termes de durée sans évolution des métastases et sans dégradation significative de la qualité de vie.

Toute thérapeutique montrant une nouvelle amélioration ou possibilité d'amélioration (sur la base des résultats d'études cliniques) doit pouvoir être le plus rapidement possible proposée au patient et donc au médecin.

Rappelons l'importance que nous attachons à une décision argumentée, partagée et éclairée du choix du traitement entre le malade et son médecin. Les patients ne sauraient supporter qu'un médecin connaisse une possibilité de traitement mais n'en parle pas à son patient, faute de prise en charge.

L'existence et l'accès à des alternatives est un élément psychologique fort pour le patient, son entourage et le médecin. Un médecin qui ne dispose pas ou ne peut prescrire un traitement qui a démontré une efficacité lors de l'étude clinique, fut-elle une alternative, est en situation d'échec partagé.

Encore une fois, nous ne sommes pas ici dans le domaine du « confort » mais de la survie.

Enfin, l'accès à ce 2nd inhibiteur de PARP a tout son sens, afin d'éviter que les patients pour lesquels le seul traitement dans cette catégorie actuellement autorisé n'est pas recommandé, soient exclus de cette innovation thérapeutique.

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 ?

Accumulation d'expériences issues du centre d'écoute téléphonique de Cerhom, en place depuis 2014

Extrait d'une enquête quantitative (questionnaire en ligne) et qualitative (entretiens individuels) de qualité de vie

Entretiens téléphoniques avec des oncologues

Littérature (essais cliniques, articles)

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

Centre d'écoute téléphonique de Cerhom, en place depuis 2014

Extrait d'une enquête quantitative (questionnaire en ligne) et qualitative (entretiens individuels) de qualité de vie

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

Deux bénévoles de l'association, en contact direct avec des patients, notamment métastatiques, depuis 2014 et 2016 respectivement.

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

Non

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

1 journée

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

Remerciements

Nous vous remercions vivement pour votre apport et votre temps passé. Nous les savons importants. Votre contribution sera prise en compte par la Commission de la transparence. Elle sera distribuée à tous les membres de cette dernière au même titre que les autres pièces du dossier, et fera l'objet d'une présentation orale par les membres des commissions nommés en qualité de membres adhérents d'une association d'utilisateurs avant les délibérations.

Conception du questionnaire

Ce questionnaire a été construit en collaboration avec des représentants associatifs via un groupe de travail dédié. Pour plus d'information, [cliquez ici](#).

Retrouvez tous nos travaux sur
www.has-sante.fr

