
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

Validé par la CEESP et la CT les 8 et 9 nov. 22

Mise à jour 12 juillet 2023

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

La CT souligne l'intérêt de disposer d'informations spécifiques à toutes les tranches d'âges, en particulier les enfants et les adolescents.

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) :

ALK France CANCER POU MON

Site internet :

<http://alkros1france.com>

Adresse postale (le cas échéant) :

1 rue Jean Meunier

69450 Saint - Cyr – Mont d'Or

Nature de la structure :

☒ Association agréée au niveau national

☐ Association agréée au niveau régional

☐ Association non agréée

☐ Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Informations sur le financement de votre structure

Souhaitez-vous que vos réponses à cette rubrique soient rendues publiques (mise en ligne sur le site internet de la HAS) ?

☒ Oui

☐ Non



Vous devez remplir cette rubrique même si vous avez coché 'non' à la question ci-dessus. Votre décision sera respectée.

Détaillez les sources de financement et les montants pour chaque organisation (laboratoires pharmaceutiques, entreprises, institutions, fondations, etc.) à l'origine de votre financement (dons, subventions, financements de projets, contrats, ...), sur les trois dernières années.

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : _____
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : 39900
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : 53000
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : 60000

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2021-2022	laboratoire takeda	10000 euros	25%
2021-2022	donateurs particuliers divers et mairie	29900 euros	75%
2023	laboratoire takeda	10000 euros	19%
2023	donateurs particuliers divers	37000 euros	57%
2023	Laboratoire An heart	6000 euros	11%

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :RETSEVMO

Dénomination commune internationale (DCI) : SELPERCATINIB

Indication pour l'évaluation d'un médicament en vue de remboursement ou d'autorisation d'accès précoce : le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules avancé présentant une fusion du gène RET non précédemment traités par un inhibiteur de RET

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

☒ En vue du remboursement de droit commun

☐ Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients



Vous pouvez aborder les thèmes ci-dessous s'ils vous semblent pertinents, et ajouter autant d'aspects ou de paramètres qu'il faudrait prendre en considération

Vous pouvez hiérarchiser les thèmes, vous pouvez qualifier leur gravité en utilisant une échelle de 1 (moins grave) à 5 (le plus grave)

Vous pouvez détailler les impacts en séparant des 'groupes', par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc. :

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur – Scolarité, activités sportives et ludiques, etc.*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Impacts psychologiques*
- *Douleur*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

.Découvert dans 65% des cas à un stade avancé (III b ou IV), le cancer du poumon garde aujourd'hui encore un pronostic très sombre. Il reste le cancer qui tue le plus en France, tous sexes confondus. On estime que 1 à 2% des CBNPC présentent une fusion de RET. Une méta-analyse récente a montré que cette anomalie touchait plus spécifiquement les femmes, d'âge plutôt jeune (moins de 60 ans), sans impact évident du statut tabagique (référentiel AURA 2023).

L'annonce du cancer déclenche un bouleversement, tant sur le plan physique que psychologique et émotionnel, pour la personne touchée ainsi que pour son entourage.

- Fatigue, essoufflement, douleurs (métastases osseuses, cérébrales...), dysfonctionnement de certains organes liés aux métastases)
- Effets secondaires des traitements (nausées, fatigue, alopecie, troubles cognitifs, douleurs, anémie, leucopénie,)
- Déferlante de réactions psychologiques diverses telles que peur, angoisse, insomnies, dépression

- Situation familiale et conjugale bouleversées, débouchant quelquefois sur une séparation, abandon de certains projets
- Vie sociale modifiée (la maladie fait peur et éloigne certaines relations, mais peut aussi resserrer certains liens),
- Vie professionnelle bouleversée (arrêt de travail prolongé, passage à temps partiel , passage en invalidité) et répercussions économiques,
-

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 ?

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 ?

La maladie affecte l'entourage proche (conjoint, enfants, parents, frères et sœurs).

¹

L'inquiétude et le stress dominant. Le conjoint ou les enfants ou les parents doivent assumer un surcroît de tâches domestiques, aider le patient dans ses démarches administratives, l'accompagner à ses nombreux rendez-vous médicaux. Il est parfois amené à modifier sa vie professionnelle (passage à temps partiel) pour pouvoir assumer son rôle d'aidant, avec des répercussions sur les perspectives de carrière et sur les revenus.

L'aidant se sent parfois impuissant face à l'agressivité de la maladie. Il n'est pas toujours armé pour assurer le soutien psychologique. Certains conjoints prennent même la fuite.

Les projets sont remis en question (agrandissement de la famille, acquisition d'un bien immobilier, voyages, carrière..)

Isolement social, la famille peut se replier sur elle-même, certains amis s'éloigner..

Les enfants sont aussi les victimes collatérales de cette maladie

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.

En 1^{ère} Ligne de traitement, actuellement sont utilisés UNE CHIMIOThERAPIE A BASE DE SELS DE PLATINE +PEMETREXED avec ou sans BEVACIZUMAB

(En 2^{ème} Ligne : PRALSETINIB ou SELPERCATINIB)

Selon les référentiels AURA ou ONCOLOGIK, une inclusion en essai clinique est à privilégier, quelque soit la ligne de traitement. Deux essais cliniques randomisés de phase III évaluent des inhibiteurs spécifiques de RET VS les traitements standards : AcceleRET LUNG pour le PRALSETINIB, et LIBRETTO 431 pour le SELPERCATINIB.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Ces chimiothérapies sont administrées par voie intraveineuse et nécessitent une hospitalisation de jour. Elles présentent de nombreux effets secondaires du fait de leur manque de sélectivité entre cellules saines et cellules cancéreuses. De par leur mode d'action, tous les tissus à renouvellement cellulaire rapide peuvent être touchés : muqueuse digestive, follicules pileux, moelle osseuse hématopoïétique... Parmi ces effets indésirables, on peut citer l'asthénie, la leucopénie, la thrombopénie, la neutropénie, des nausées, des vomissements, une perte d'appétit, des neuropathies périphériques, des troubles digestifs (tel que diarrhée, constipation, stomatite), des éruptions cutanées, des troubles rénaux, des troubles du sommeil, une augmentation de la tension artérielle...

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

Le pronostic reste très sombre, avec une survie globale limitée et une qualité de vie médiocre du fait des nombreux effets indésirables. Des résistances se développent toujours avec ces traitements et d'autres traitements doivent pouvoir être proposés aux patients pour leur permettre de contenir la maladie plus longtemps.

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.

Le SELPERCATINIB devrait être accessible à tous les patients touchés par un CBNPC RET positive, quelque soit la ligne de traitement



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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



Exemples d'attentes (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

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

Nous attendons du SELPERCATINIB une plus grande efficacité et une meilleure tolérance que les chimiothérapies actuellement préconisées, avec une amélioration de la qualité de vie, moins de fatigue permettant une vie sociale retrouvée, la préservation de la vie familiale, la possibilité de retour à l'emploi. Un mode d'administration beaucoup plus confortable (2 gélules à 80 mg matin et soir pour les personnes de plus de 50 kg, à prendre à domicile). Or, les résultats de l'étude LIBRETTO-431, parus dans le NEW ENGLAND JOURNAL OF MEDICINE et présentés à la dernière session de l'ESMO, semblent très prometteurs : Après un suivi médian d'environ 19 mois, la survie médiane sans progression parmi les participants ayant reçu du selpercatinib était de 24,8 mois, contre 11,2 mois pour ceux du groupe chimiothérapie. Les tumeurs ont diminué chez 84 % des patients du groupe selpercatinib, contre 65 % des patients du groupe chimiothérapie. Au cours de l'étude, ces métastases ont diminué chez 82 % des patients ayant reçu du selpercatinib, contre 58 % de ceux qui ont reçu une chimiothérapie. Le temps écoulé avant que les tumeurs ne se propagent au cerveau était plus long dans le groupe selpercatinib que dans le groupe chimiothérapie. Ces résultats suggèrent que le selpercatinib pourrait prévenir ou retarder la formation de nouvelles métastases cérébrales. Les thérapies ciblées ont moins d'effets secondaires et peuvent permettre aux patients un retour au travail, ce qui n'est pas possible avec la chimiothérapie. La reprise du travail est très importante pour un certain nombre de patients, les thérapies ciblées leur permettent de reprendre une vie à peu près « normale ».

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 ?

Comme pour tout traitement des effets indésirables sont à craindre. Les effets indésirables les plus courants du selpercatinib observés lors de l' étude LIBRETTO étaient augmentation de la tension artérielle, bouche sèche et diarrhée. Ils ont pu être gérés par ajustement de la dose

Néanmoins, durant les mois de survie gagnés grâce à cette molécule, d'autres traitements encore plus performants pourront peut-être voir le jour, et , qui sait, permettre de transformer cette maladie au pronostic sombre en une maladie chronique...

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.



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.

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

x ☐ Non

Pour quelles raisons ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse



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

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

Cette liste n'est bien entendue pas limitative.

Le cancer du poumon non à petites cellules RET positif garde aujourd'hui encore un pronostic très sombre, qui bouleverse tel un tsunami la vie des personnes touchées par cette maladie ainsi que celle de l'entourage proche. Les traitements standards de 1^{ère} ligne sont des chimiothérapies à base de sels de platine avec ou sans Pembrolizumab . Ce sont des traitements lourds, avec de nombreux effets indésirables, et un impact important sur la qualité de vie du patient et des proches, pour des résultats limités.

La supériorité du Selpercatinib par rapport à ces traitements standards a pu être démontrée dans l'étude LIBRETTO 431. Cette molécule, si elle ne guérit pas, permet de retarder l'apparition de métastases cérébrales, et de gagner des mois de survie, avec une meilleure qualité de vie grâce à sa relativement bonne tolérance. Pendant ce temps, d'autres TKI ciblant spécifiquement RET sont à l'étude. Nous nourrissons l'espoir que l'enchaînement de lignes de traitements nous amène ainsi jusqu'à la découverte du traitement qui permettra prochainement de transformer ce cancer aujourd'hui mortel en une maladie chronique. La recherche avance à grands pas et nous avons besoin de toutes les molécules qui ont prouvé leur efficacité pour survivre en attendant le traitement qui nous sauvera. Ce cancer sans impact tabagique touche des personnes jeunes, avec parfois de très jeunes enfants...Les thérapies ciblées, malgré leurs lacunes (apparition de résistance), apportent une amélioration essentielle, tant en terme d'efficacité que de qualité de vie, permettant aux jeunes actifs touchés par cette maladie un retour à la vie active à temps partiel, voir à temps plein.

Il est donc indispensable que le testing moléculaire pour rechercher la fusion RET soit réalisée dès la découverte du cancer, afin de pouvoir cibler spécifiquement cette anomalie moléculaire.

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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Nous n' avons pas pu interviewer de patients porteur de l' anomalie moléculaire RET, cette anomalie étant rare (1à2% seulement des CBNPC). Néanmoins, nous pensons que l'impact de cette maladie sur les patients RET positifs et sur leur entourage proche est sensiblement le même que pour les patients ROS 1 et ALK positifs, patients qui représentent la majorité de nos adhérents.(Il s' agit d' une fusion, avec des effets et des traitements comparables, la population touchée étant elle aussi comparable). Nous avons tenu néanmoins à apporter notre contribution. Grâce à nos reseaux sociaux (facebook, Instagram), où les échanges entre patients concernant l'histoire de leur maladie, les impacts de celle-ci et les effets secondaires des traitements sont nombreux chaque jour, grâce à nos échanges avec des oncologues spécialistes de ces formes de cancer, grâce aux référentiels AURA ET ONCOLOGIK, grâce à la littérature médicale .

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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

Valérie MONTAGNY, présidente de l'association ALK France CANCER POUMON

Sandrine ALLIAUME, secrétaire de l' association

Véronique LEFEBVRE, bénévole

Marie MORILLON , bénévole

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 ?

8h

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

Difficulté à contacter des patients touchés par cette anomalie moléculaire rare (1 à 2 % des Cancers bronchiques non à petites cellules présentent une fusion RET)

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](#).

