

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 De l'Air !

Adresse du siège* : 1 rue Etienne Dolet, 69600 Oullins

Nature de la structure* : Association de patients, proches et aidants et soignants, ensemble contre le cancer du poumon

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

101

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

Audition souhaitée:

☐ Oui ☒ Non ;

Raison : _____

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

Nom commercial* : OPDIVO

Dénomination commune internationale (DCI)* : nivolumab

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

En association à une chimiothérapie à base de sels de platine comme traitement néo adjuvant, suivi d'OPDIVO, en monothérapie comme traitement adjuvant après résection chirurgicale, est indiqué dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules résécable.

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

La demande est pertinente.

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 : Grave comme un cancer du poumon, de mauvais pronostic car généralement de découverte à un stade avancé.
Les cancers bronchiques sont la première cause de mortalité par cancer en France homme et femme confondus et en l'absence de dépistage organisé mise en place plus de la moitié des cancers bronchiques sont diagnostiqués au stade IV.
- Argument 2 : L'adénocarcinome représente plus de 60 % des cancers bronchiques et parmi ceux-ci 40 % ont une mutation ou une fusion rendant sensible le cancer à des traitements ciblés, agissant sur la mutation ou la fusion.
- Argument 3 : Le caractère invalidant est quasiment systématique, lié soit aux traitements soit à la maladie elle-même

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

- Le cancer du poumon, avec son pronostic très sévère conduit à une atteinte souvent importante du « soi » pour le patient et pour tout son entourage s'il existe. Il s'en suit des troubles de l'équilibre familial et des bouleversements des rôles de chacun.
- Les patients disent avoir besoin d'attention et de soutien, ce qui engendre des sollicitations importantes de l'entourage pour pallier aux difficultés quotidiennes. Ils peuvent être poussés également dans un repli (éviter l'effondrement) dur à vivre pour l'entourage. Ils se sentent moins présents dans la vie familiale avec un abandon des responsabilités qu'ils avaient antérieurement. Pour certains, il existe des troubles de la sexualité en lien avec la maladie et des sentiments d'irritabilité, mal vécus par l'entourage. Beaucoup d'entre eux pensent que le cancer est un facteur d'angoisse pour la famille et les proches. La fatigue générale et le besoin de repos ont inévitablement un impact sur le rythme et les projets familiaux.
- Pour certains, les proches doivent modifier leur rythme de travail pour être plus présent à domicile et répondre aux besoins de la personne malade.
- Certains patients, seul(es), en charge d'une famille se retrouvent dans des situations très complexes.
- L'impact sur l'équilibre de la famille, sur la qualité de vie ainsi que la sensation d'être « enfermé » dans la maladie, se font donc ressentir aussi bien chez les patients que chez les aidants.
- Les cures de chimiothérapie se font également en hospitalisation et constituent souvent une contrainte supplémentaire.

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

La fatigue physique fait souvent partie des symptômes de la maladie, la fatigue intellectuelle est souvent liée. .

– **Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur**

Enfant non concerné en général par le cancer du poumon

– **Activités de la vie quotidienne :**

Très fréquemment diminuées par le stade évolué et/ou le traitement.

– **Mobilité/déplacement :**

Très fréquemment diminuées par le stade évolué et/ou le traitement.

– **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**

Voir le paragraphe précédent. Très fréquemment impactée par le stade évolué et/ou le traitement.

Différences importante entre un patient en exercice professionnel libéral ou salarié. Il existe souvent des problèmes liés au regard de l'entreprise et à la place (ou absence de place) qu'elle accorde à un malade.

- **Vie affective :**

Voir le paragraphe précédent.

- **Vie sexuelle :**

Très fréquemment altérée par le stade évolué et/ou le traitement.

- **Vie sociale :**

Impact variable. Il existe souvent un remaniement des amitiés et soutien lorsque le cancer est connu. Cela oblige patients et proches à s'adapter et cela conduit souvent à un isolement plus important pour chacun d'eux.

- **Autres aspects :**

L'isolement géographique ou la territorialité des centres de soins, fait que certains patients doivent utiliser les transports médicaux sur des distances importantes, sources également de fatigue. Cela ne leur permet pas d'utiliser les soins de support à disposition dans les centres et non disponibles à domicile (Activités Physiques Adaptées pour lutter contre la fatigue, etc..)

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 :

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

- Argument 1 :

La chirurgie thoracique est un acte curatif pour les cancers bronchiques non a petites cellules de stade I et II de moins de 4 cm, mais il n'en est pas de même des qu'il existe une extension ganglionnaire ou que la tumeur mesure plus de 4 cm de diamètre, **ce qui correspond a plus de 60 % des patients opérés.**

Seul le dépistage malheureusement pas mis en place en France permettra d'augmenter le nombre de cancers opérés de petit stade.
- Argument 2 :
- Argument 3 :

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 :

- Amélioration majeure 2 :

- Amélioration majeure 3:
-

- Autres améliorations :
-

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 :
-

- Inconvénient principal 2 :
-

- 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 :

Préambule

Si la chirurgie thoracique est un acte curatif pour les cancers bronchiques non a petites cellules de stade I et II de moins de 4 cm, il n'en est pas de même dès qu'il existe une extension ganglionnaire ou que la tumeur mesure plus de 4 cm de diamètre ce qui correspond a plus de 60 % des patients opérés. (Seul le dépistage, malheureusement non organisé et en place en France, permettra d'augmenter le nombre de cancers opérés de petit stade).

Le traitement péri opératoire consiste uniquement en une chimiothérapie pré opératoire ou post opératoire à base de sels de platine (4 cycles) ou d'immuno-chimiothérapie 3 cycles pré opératoire pour les patients avec un CBNPC avec une expression de PDL1 > 0% et un risque de rechute important (tous les stades sauf I et IIA).

Les résultats obtenus avec l'association chimio et immunothérapie sont impressionnants sur le plan qualitatif et quantitatif malgré une faible exposition à l'immunothérapie.

La poursuite de l'opdivo en post opératoire pour une durée de 12 mois en tout, augmente les chances de guérison par rapport à une association standard de chimiothérapie et chirurgie. Mais on ne sait pas actuellement si la poursuite de l'immunothérapie apporte un bénéfice a long terme par rapport a une séquence courte pré opératoire.

Attente majeure

Néanmoins cette association doit être accessible aux patients **avec un PDL1 négatifs** qui semblent bénéficier de cette prolongation d'immunothérapie. Car ces patients ne peuvent bénéficier d'une immunothérapie péri opératoire actuellement.

- Attente majeure 2 :

.

- 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 :

- 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'utilisateurs 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 :** Ressenti sur les effets secondaires
- **Type d'information 2 :** Bénéfices ressentis, à partir de quand ? Sur quoi ?
- **Type d'information 3 :** Remarques des patients sur le traitement et les soins.

→ **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 ?**

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

²Les 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.

- **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. ?)**

Informez les patients sur les effets indésirables possibles.

Informez le médecin traitant sur les effets indésirables possibles.

Expliquez à quoi servira le recueil des données, et qui les traitera ? (Nombre de livret de patients tels que suivit du site implantable, ne sont jamais utilisés), pour avoir le sentiment de participer à un travail collectif de collecte qui ne soit pas une pseudo-consultation.

Facilitez le recueil par une relance par un contact téléphonique régulier de l'équipe soignante

Combinez plusieurs types de recueil, mais surtout demandez au patient ce qui lui semble le plus approprié.

- **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 ?**

Les structures ou moyens existent (déclaration de pharmacovigilance par exemple) mais sont peu utilisés par les patients. Le patient doit disposer systématiquement d'un contact téléphonique ou facile et adapté pour contacter un professionnel de soins qui le suit.

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 de son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'usagers. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de 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 ?**

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) ?**

Consultation des référentiels AURA, échanges avec les professionnels soignants, groupe de travail au sein de l'association.

- 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 ?

Recueil par l'association et par échanges avec le groupe des patients et des soignants.

- 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 ?

Jean Pierre Lassaigue, président et secrétaire, patient, médecin généraliste retraité..

Grégory Rouleaud, membre du bureau, psychologue clinicien.

Sophie Gatellier, membre du bureau, patiente, secrétaire de recherche clinique.

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

Avis du conseil scientifique de notre association. Sites internet : Wikipédia et autres.

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 :

La poursuite de l'Opdivo en post opératoire pour une durée de 12 mois en tout, augmente les chances de guérison par rapport à une association standard de chimiothérapie et chirurgie. Même si on ne sait pas actuellement si la poursuite de l'immunothérapie apporte un bénéfice à long terme par rapport à une séquence courte pré opératoire.

Néanmoins cette association doit être accessible aux patients avec un PDL1 négatifs qui semblent bénéficier de cette prolongation d'immunothérapie. Car ces patients ne peuvent bénéficier d'une immunothérapie péri opératoire actuellement.

Il faut noter aussi que deux autres essais analogues avec des molécules "concurrentes" pembrolizumab et durvalumab obtiennent les mêmes résultats préliminaires ce qui valide cette avancée. **Celle-ci doit donc pouvoir être accordée aux patients pour leur plus grand bénéfice.**

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.