
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	10
1. Questionnaire – Partie A	11
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	11
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	11
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	14
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	15
1.3. Le médicament évalué	17
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	17
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	18
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	18
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	19
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	19
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	19
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	19
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	20
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	20
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	22
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	23
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	23
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	25
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	26
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	27
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	28

Introduction

La Commission de la transparence de la HAS a notamment pour mission de rendre des avis :

- en vue du remboursement sur demande des fabricants de médicaments. Ces avis « en vue du remboursement », favorables ou défavorables, sont transmis au Ministère de la Santé qui devra en décider.
- au sujet des demandes d'autorisation d'accès précoce, également à la demande des industriels, pour une prise en charge immédiate et intégrale d'un produit qui n'est pas encore remboursé. C'est sur la base de cet avis que le Collège de la HAS émet la décision finale.

La HAS dispose de toutes les données médico-scientifiques, mais ne peut pas par elle-même donner les arguments de réflexion du point de vue des patients ou usagers concernés.

C'est pourquoi vous êtes invité(e)s à contribuer aux évaluations.

La Commission d'évaluation économique et de santé publique rend un avis économique sur certains de ces médicaments. La présente contribution lui sera transmise systématiquement.

L'équipe du « service engagement des usagers » se tient toujours à votre disposition pour toute question ou échange. Contact : contact.contribution@has-sante.fr / 01 55 93 71 18.



Toutes les associations ou groupes représentant les usagers du système de santé peuvent utiliser ce questionnaire.

Vous pouvez consulter les informations publiées destinées aux associations et de patients et d'usagers sur la page internet dédiée du site internet de la HAS.

Lors des premières fois, il peut être utile de recevoir des explications : il y a toujours un interlocuteur dédié pour vous répondre, vous orienter ou échanger avec vous par mail (contact.contribution@has-sante.fr) ou par téléphone (01 55 93 71 18). C'est le service Engagement des usagers qui vous répondra : il s'agit d'une équipe qui est à votre écoute.

Pour des informations détaillées sur les principes d'évaluation des médicaments par la Commission de la transparence, vous pouvez consulter les doctrines d'évaluation [en vue du remboursement](#) et [en vue d'une autorisation d'accès précoce](#). Cette lecture spécialisée n'est pas nécessaire pour remplir ce questionnaire.

NB : pour simplifier la lecture, le masculin est utilisé dans les phrases de ce questionnaire – ceci est simplement une convention de rédaction dans le présent document. [La HAS promeut l'inclusion et l'égalité sur tous les plans, y compris de genre et de sexe](#).

Note importante

Les questions de ce formulaire ne sont pas contraignantes. Elles ont pour but de vous orienter si vous les trouvez pertinentes.

Si vous le souhaitez, vous pouvez n'utiliser que les cadres « Autres » qui peuvent être agrandis autant que nécessaire.

Seules les questions de la partie administrative tout au début de ce questionnaire sont obligatoires

Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.



Il est obligatoire de remplir la rubrique suivante pour que votre questionnaire soit pris en compte. CE VOLET DU QUESTIONNAIRE NE SERA PAS PUBLIE

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association Patients en Réseau - PeR

Site internet :

Association : <https://www.patientsenreseau.fr/>

Réseaux privés de l'association :

<https://www.monreseau-cancerdusein.com>

<https://www.monreseau-cancergyneco.com/>

<https://www.monreseau-cancerdupoumon.com>

<https://www.monreseau-cancercolorectal.com/>

Adresse postale (le cas échéant) :

15 Rue Gît le Cœur, 75006 PARIS

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).

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

ORSERDU

Dénomination commune internationale (DCI) :

Elacestrant

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

ORSERDU en monothérapie est indiqué pour le traitement des femmes ménopausées et des hommes atteints d'un cancer du sein localement avancé ou métastatique, positif pour les récepteurs aux estrogènes (RE), HER2-négatif, avec mutation activatrice du gène ESR1, en progression après au moins une ligne d'hormonothérapie en association avec un inhibiteur de CDK 4/6 et non éligibles à un traitement par un inhibiteur sélectif des enzymes poly(ADP-ribose) polymérases (PARP).)

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 ?

Epidémiologie :

Le cancer du sein est le cancer le plus fréquent chez la femme : il représente plus du tiers des nouveaux cas de cancer, soit environ 60 000 par an. Chez l'homme, le cancer du sein représente environ 1% des cancers du sein.

Les cancers du sein pris à un stade très précoce sont guéris à 5 ans dans environ 99% des cas. La survie moyenne nette à 5 ans est de 88 % (chiffres 2018- INCA).

Le cancer du sein est responsable de plus de 12 100 décès par an. Au stade métastatique, le taux de survie à 5 ans est de 20%.

Les caractéristiques des patients ayant partagé leur expérience avec ORSERDU :

Pour cette contribution, nous avons pu recueillir le témoignage des patient.es ayant reçu l'ORSERDU (élacestrant) , et qui ont répondu à nos deux questionnaires de recueil de leur expérience avec ce traitement .

Nous avons eu au total 10 répondantes, aucun répondant. Deux répondantes sont âgées de moins de 50 ans , deux de 55 à 64 ans et les 6 autres ont plus de 65 ans.

Sept habitent dans des villes moyennes et deux autres dans une ville de plus d'1 million d'habitants, une se trouve à la campagne parmi les régions suivantes : en Ile France, en Région Auvergne Rhône Alpes, en Nouvelle Aquitaine et en Bourgogne Franche Comté . Elles sont suivies pour la prise en charge de leur cancer dans un CLCC pour 9 d'entre elles, la 4^{ème} est suivie dans un CHU.

Ces patient.es ont eu accès l'élacestrant dans le cadre de l'essai clinique EMERALD ou à titre compassionnel.

Sept ont eu une récurrence de leur cancer et trois autres ont un cancer métastatique d'emblée. Trois nous précisent qu'il y a eu une biopsie qui a démontré une mutation du gène ESR1.

L'impact du cancer du sein métastatique

Les patient.es atteints de métastases ont une qualité de vie qui se dégrade tant au niveau psychique que physique. L'impact de la résistance aux traitements de première ligne métastatique est majeur : une perte de confiance dans l'efficacité et la durée d'efficacité des traitements s'imisce, chaque nouvelle ligne est source de questionnements, d'angoisse avec un sentiment de charge mentale et de fardeau physique, de fatigue qui s'accroissent.

Tout traitement permettant une meilleure qualité de vie et stabilisant les métastases sur une moyenne à longue durée est alors essentiel.

Voici les verbatims des répondantes aux questionnaires :

Impacts psychologiques de l'annonce de la récurrence

« l'impression d'un seisme » « On se prend un uppercut. Le cerveau a du mal à enregistrer tout ce qui suit l'annonce » « plus envie de faire des projets. Je vis au jour le jour en essayant de protéger mon entourage »

« Cancer d'emblée métastatique, je me sens bien suivie par une équipe réactive. Ce qui m'a le plus manqué en début de maladie est un soutien psychologique de qualité ».

*« **Je sais que je ne guérirais pas , je vais de traitement en traitement**, et hier on m'a annoncé que je devais passer aux injections intraveineuse (Visiblement une nouvelle molécule). Jusqu'à présent j'ai très bien géré, mais à la suite de l'annonce du traitement par intraveineuse, j'avoue que cela me déstabilise.*

*Je suis d'un bon tempérament, **même si la nouvelle m'a bouleversé, je vais garder espoir.** J'espère que mon témoignage et le fait que je participe à ce questionnaire aura un impact, car nous avons la chance de pouvoir bénéficier du progrès médical, il est évidemment essentiel de pouvoir se soigner».*

« Cela fait un choc, mais il faut se dire que l'on peut guérir. J'ai relativisé en me disant qu'il y avait des gens plus à plaindre en raison du cancer (enfants, jeunes femmes, mères de famille, etc.) . Personnel médical irréprochable, famille, amis et collègues présents. »

« Avec un cancer incurable pas de projections au delà de 3 mois, Il faut seulement accepter cette situation »

« Détections au scanner des ganglions ; très difficile de repartir sur un parcours de traitement »

« la peur de la douleur (pour l'instant gérée) et peur de mourir en étant devenue squelettique et sous perfusion etc »

« Je fuis les personnes qui me posent des questions sur ma maladie et je m'efforce d'agir en société comme si je n'étais pas malade en particulier avec mes enfants »

Fatigue intellectuelle ou physique

- « Légère fatigue physique. J'avoue qu'il m'est arrivé de somnoler en début d'après-midi à mon bureau »
- « Je me repose dès que la fatigue est plus importante »
- « Aucun impact à part légère fatigue physique »
- « Des problèmes pour me concentrer » « Lassitude »

Impacts physiques – Douleurs

- « La fatigue les douleurs musculaires et articulaires »
- « Beaucoup plus simple avec ce traitement. Je n'ai plus de douleurs de dos. Et ne pas avoir mal ça change la vie. J'ai une vie normale. Beaucoup de personnes ne se doutent pas que je suis malade. »

Activités de la vie quotidienne - Mobilité/déplacement

- « Entière autonomie au niveau corporel »
- « Je parviens à vivre aussi normalement que possible »
- « Courses laissées au conjoint qui travaille toujours, la préparation des repas ne pose pas de problème »
- « Il faut se ménager des pauses et curieusement avoir une activité physique même modérée »
- « Je fais un peu de sport mais depuis que je prends ce traitement, j'ai l'impression que mes performances sont meilleures. »

Vie sociale et Vie professionnelle – Capacité de travail

- « Je vis seule et la fatigue plus les douleurs m'ont obligé à arrêter mon travail »
- « Mise en congé de longue maladie donc moins de vie sociale »
- « Ma vie sociale se passe bien je suis bien entourée »
- « Fin 2022 reprise en mi-temps thérapeutique au même poste RAS collègues sympathiques et chef de service conciliant »
- « Bon niveau de relation sociale »
- « A noter que je n'ai jamais cessé de travailler (sans horaires aménagés) »
- « N'ose plus m'investir dans de nouvelles activités et ne sais plus si je peux ou si je dois renouveler certains mandats (je suis une élue) »
- « Je n'ai plus d'activité professionnelle. La sécurité sociale m'a déclarée en invalidité. J'arrive tout de même à faire quelques heures de bénévolat par semaine en bibliothèque. »

Vie affective et sexuelle

- « Je vis seule, j'ai un ami depuis 1 an maintenant et ça se passe bien pour le moment. »
- « Je me suis mariée quelques mois après l'annonce de la maladie : Libido en berne »
- « les traitements ont un impact sur l'acte sexuel »
- « Aucune vie affective » « Ma vie affective est compliquée. Je vois la vie différemment et je veux profiter de la vie et me sentir libre. J'ai décidé de me séparer de mon conjoint. »

Impacts financiers

- « Difficile évidemment j'avais un emploi saisonnier je n'ai donc pas pu reprendre le travail. »
- « J'ai fait une demande à la MDPH qui me permet d'avoir une pension d'invalidité, j'ai été convoqué par la CPAM, ils m'ont mis en invalidité et je touche aussi une pension d'invalidité. »

J'ai 500 € MDPH et 600€ de la CPAM. Alors vous voyez c'est pas brillant. Plus le droit de pouvoir faire un crédit, j'ai une vieille voiture, et la sentence est claire, c'est non. »

« Difficultés à me projeter du fait des difficultés financières engendrées par ma maladie. je dépends de ma pension d'invalidité et des aides de la caf. »

« Salaire intégral maintenu pendant 2 ans et demi. Avant reprise à mi-temps fin 2022 mi-traitement complété par mutuelle »

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 ?

Les questionnaires de qualité de vie EORTC QLQ-C30 est le questionnaire PROMs de qualité de vie utilisés dans les essais cliniques de phase 3. Le EQ-5D-5L rapide, mais une évaluation très générale. Le FACT-G commence à être souvent cité dans diverses études. Néanmoins, ces questionnaires ne nous semblent pas complètement adaptés au recueil de données de vie réelle pour le patient.

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*

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.

- Impacts psychologiques
- Aspects financiers
- Autres aspects

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

Il ressort beaucoup d'anxiété et d'inquiétude des proches et aidants. La maladie métastatique est une angoisse partagée. Malade et proche peuvent être en décalage avec un manque de compréhension de la maladie métastatique qui est souvent invisible. Les proches peuvent être plus fatalistes que le patient et/ou très protecteurs. De plus, la maladie peut avoir un impact délétère sur les relations de couple, familiale mais aussi financièrement. Cette charge financière se rajoute à la charge mentale du proche aidant qui voit son fardeau s'alourdir et qui n'accède généralement à aucune aide ni soutien spécifique.

« Pour mes enfants cela est difficile même si ils sont adultes, mon fils vit à Singapour la distance est difficile pour annoncer de tes nouvelles, ma fille vit dans le sud et elle a un petit garçon, "mon tout petit" il a 7 ans, déjà il s'inquiète pour moi cela me fait beaucoup de peine de voir mes proches si inquiets »

« Une grande solidarité de leur part, un soutien inestimable et une offre d'aide. »

« Conjoint très présent qui assure beaucoup, filles majeures qui viennent très régulièrement »

« mes filles aînée est impactée du fait de mon suivi médical ++, rendez vous et examens multiples où elle m'accompagne »

« mon ami de coeur s'est un peu éloigné de moi et nous ne faisons plus de projets d'avenir. Cela augmente ma tristesse

« Mes parents ne savent pas. Ils seraient trop inquiets. Mes amis sont très présents. Plus compliqué pour le conjoint et les enfants. Seule la fille comprend mes envies de vivre pleinement pendant que je peux le faire. »

« on en parle ensemble, j'ai été accompagnée par ma petite fille à l'hôpital »

« les mots " cancer" et " métastases " font peur » « Beaucoup sont gênés lorsque je parle de ma maladie, de mon quotidien »

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.

Dans le cadre de la prise en charge d'un cancer du sein métastatique RH+ et HER2-, et dans le cas d'une progression après une première ligne d'hormonothérapie administrée en monothérapie ou associé à un inhibiteur de CDK4/6, la seconde ligne de traitement peut être : le fulvestrant (anti-estrogènes) seul ou associé à un anti CDK 4/6 (palbociclib, abémaciclib, ribociclib).

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

L'association de Fulvestrant avec un inhibiteur de CDK4/6 permet aux patient.es traité.es par cette association de pouvoir mieux vivre au quotidien et notamment envisager de reprendre leur travail..

La survie sans progression est alors de 5 mois pour les patientes qui deviennent résistantes à l'hormonothérapie.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Le fulvestrant est une solution injectable par voie intra-musculaire lente dans la fesse en deux injections consécutives (une dans chaque fesse), une fois par mois.

Les inhibiteurs de CDK4/6 sont administrés par voie orale une fois par jour au moment du repas avec une pause d'une semaine.

Et pour les femmes non ménopausées, afin d'être ménopausées, elles ont également un traitement agoniste de LH-RH (goséreléine, leucoproréline) administrés par injection sous la peau tous les 28 jours.

Les inconvénients pour les patient.es de ces traitements actuels sont :

- les injections
- le nombre de traitements différents
- les différentes recommandations et mises en garde de prise de ces médicaments
- les effets secondaires cumulatifs : maux de tête, troubles de l'humeur, ostéoporose, bouffées de chaleur, perturbation sanguine

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

La résistance à l'hormonothérapie et aux inhibiteurs de CDK4/6 peut intervenir rapidement après leur mise en place.

A traitement similaire, une forme orale est préférée à une forme intraveineuse ou par injection ainsi que la diminution du nombre de traitements concomittants.

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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).



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 secondaires, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

1- Un seul traitement sans effet secondaire

Toutes les répondantes mettent en exergue aucun effet indésirable ressenti. Ce qui est inédit et peu fréquent concernant les traitements anti-cancéreux. En outre, prendre un seul traitement anti-cancéreux par jour permet de vivre normalement sans trop de contraintes

« Un seul comprimé et une fois par jour, pas d'effets secondaires »

2- Confort d'administration

L'élacestrant se présente sous forme orale : la dose recommandée est de 345 mg (un comprimé de 345 mg). Il est pris une fois par jour, avec ou sans nourriture. Au besoin, la dose peut être en fonction des effets indésirables, les comprimés de 86 mg peuvent soit être pris par 3 (posologie à 258 mg) ou par 2 (posologie à 172mg).

« Prise de comprimé plus facile qu'une injection »

3- Bonne Qualité de vie

L'ensemble des répondantes expose une bonne voire très bonne qualité de vie sans incidence sur leur quotidien, leur mobilité et leur vie sociale. Leur moral est positif. Leur poids est resté stable et peut être corrélé à l'absence d'effets indésirables.

Leurs douleurs ont également pour certaines disparues.

« Fin des douleurs de dos dû aux métastases.

»

4- Un traitement efficace ciblant la mutation ESR 1

Il ressort de l'essai clinique EMERALD une survie sans progression de 8 mois.

« Réponse totale au niveau du foie. Elacestran m'a permis de repousser une chimiothérapie que je ne souhaite pas faire. »

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 ?

L'inconvénient principal pour les répondantes est de se rendre chaque mois à la pharmacie hospitalière pour récupérer son traitement.

Ceci pourra être levé lors de l'arrivée en droit commun du médicament en pharmacie d'officine.

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

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



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

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

1- Une maladie grave

Le cancer du sein de stade IV, métastatique est une maladie à ce jour non guérissable.

2- Une maladie invalidante

Etre atteint d'un cancer métastatique a des impacts importants pour le malade tant au niveau psychologique, physique, social, professionnel et financier. C'est une maladie invalidante sur tous ces plans. Elle impacte également les proches et plus largement la société.

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

Les traitements actuellement proposés sont une combinaison du fulvestrant avec un inhibiteur de CDK 4/6. Ces traitements avec une administration différentes (comprimés, injection) se cumulent, et le plan de traitement peut être difficile à suivre par rapport à un seul traitement avec une prise unique.

De plus peuvent survenir rapidement des mécanismes de résistance aux anti-oestrogènes et anti cdk4/6.

Après échec avec ces médicaments, les patientes doivent être traitées par chimiothérapies, lourdes en terme d'effets indésirables et en terme d'impact du parcours de soins sur la vie quotidienne

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).*

1- Un seul traitement sans effet secondaire

Toutes les répondantes mettent en exergue aucun effet indésirable ressenti. Ce qui est inédit et peu fréquent concernant les traitements anti-cancéreux notamment en phase métastatique. En outre, prendre un seul traitement anti-cancéreux par jour permet de vivre normalement sans trop de contraintes

« Un seul comprimé et une fois par jour, pas d'effets secondaires »

2- Confort d'administration

² Pour plus de détails, consulter le § 2.4.2 du document : [Autorisation d'accès précoce aux médicaments : doctrine d'évaluation de la HAS](#)

L'élacestrant se présente sous forme orale : la dose recommandée est de 345 mg (un comprimé de 345 mg). Il est pris une fois par jour, avec ou sans nourriture. Au besoin, la dose peut être en fonction des effets indésirables, les comprimés de 86 mg peuvent soit être pris par 3 (posologie à 258 mg) ou par 2 (posologie à 172mg).

« Prise de comprimé plus facile qu'une injection »

3- Bonne Qualité de vie

L'ensemble des répondantes exposent une bonne voire très bonne qualité de vie sans incidence sur leur quotidien, leur mobilité et leur vie sociale. Leur moral est positif. Leur poids est resté stable et peut être corrélé à l'absence d'effets indésirables

Leurs douleurs ont également pour certaines disparues.

« Fin des douleurs de dos dû aux métastases. »

4- Un traitement efficace ciblant la mutation ESR 1

Il ressort de l'essai clinique EMERALD une survie sans progression de 8 mois.

« Réponse totale au niveau du foie. Elacestran m'a permis de repousser une chimiothérapie que je ne souhaite pas faire. »

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 ?

La connaissance des caractéristiques des métastases nous semble prioritaires. En effet, une répondante précise qu'elle a refusé la biopsie des métastases car elle avait déjà eu une biopsie lors de la découverte de son 1^{er} cancer du sein....

Une biopsie, idéalement liquide, pour évaluer la maladie récidivante est donc essentielle pour rechercher, entre autre la mutation ESR1.

Il est aussi primordial de valoriser l'absence d'effets indésirables ou très limités. Sans omettre de préciser la durée moyenne d'efficacité de cette ligne de traitement.

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. ?)

L'échange d'information avec le médecin, la présentation des options thérapeutiques, le recueil des préférences des patientes, va permettre de prendre une décision médicale partagée, comprise et à laquelle la patiente adhèrera.

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.

³ Également appelées « variables d'intérêt »



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 ?

Il nous semble nécessaire de préciser que dès constat d'une résistance à l'hormonothérapie et/ou antiCDK4/6 et avant tout début du traitement élacestrant, une biopsie des métastases doit être réalisée, ainsi qu'une biopsie liquide afin de préciser la recherche du marqueur ESR 1 .

S'assurer d'un accès équitable à cette caractérisation de la maladie récidivante est une préoccupation pour notre association, les patientes n'ayant à ce jour pas de garantie de cette possibilité de recherche de la mutation ESR1 (les répondantes sont uniquement dans des CLCC ou CHU).

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 ?

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 diagnostic d'un cancer du sein métastatique (d'emblée ou en rechute) est pour la patiente et ses proches un véritable bouleversement, qui accentue le poids et l'anxiété liés à la maladie et aux traitements. Cela fait peser un sentiment de culpabilité sur les malades quant aux angoisses que cela engendre chez leurs proches.

Tout cela impacte profondément les projets de vie, la capacité à se projeter, à avancer dans sa vie professionnelle et personnelle.

Pour une personne touchée par un cancer du sein métastatique hormonodépendant sans expression de l'HER2, les traitements prescrits sont des traitements relativement bien supportés, sans alopecie, mais avec une fatigue et des perturbations des bilans sanguins importants.

La ligne standard est une association de traitements (d'hormonothérapie, d'antiCDK4/6) soient par comprimés, soit combinant injection et comprimés.

Il nous semble utile et nécessaire de procéder aux biopsies liquides dès le constat d'une progression de la maladie sous hormonothérapie et inhibiteur de cdk4/6 afin de rechercher une mutation du gène ESR1 qui est ciblé par l'élacéstrant. Ces mutations ESR1 sont présentes dans 40% des cancers du sein avancés ou métastatiques RE+ HER2.

La possibilité de proposer **une seule thérapeutique ciblée par voie orale** est donc extrêmement utile pour que ces patient.es puissent **conserver une vie personnelle et professionnelle la plus normale possible**.

L'attente des patientes est forte d'avoir un traitement avec peu d'effets indésirables (grade 1 principalement) et durable dans son efficacité. **La survie sans progression médiane était de 8.6 mois** pour l'élacéstrant contre 1.9 mois pour les traitements traditionnels, chez les patients dont les tumeurs portaient des mutations ESR1 ayant reçu un traitement par CDK4/6 pendant au moins 12 mois (source : analyse post hoc présentée au SABCS 2022).

Pouvoir accéder à une ligne supplémentaire de traitement en une seule prise orale, sans effet indésirable permettant une stabilité de la maladie métastatique de plusieurs mois est une innovation majeure.

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 ?

Les données scientifiques publiées sur les sites officiels : HAS, ANSM, INCA, Centres de Lutte contre le Cancer, Unicancer, EMA, Arcagy Info Cancer, ...

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

Nous avons proposé deux questionnaires qui ont été complétés par 4 patientes concernées sur la période du 03/01/2022 au 07/01/2023 et 6 patientes concernées sur la période du 12/11/2023 au 01/12/2023. Ces questionnaires sont basés sur les points abordés par le questionnaire de recueil du point de vue des patients proposé par la HAS. Ce questionnaire a été transmis aux patient.es membres de « Mon Réseau cancer du sein », et au grand public sur les réseaux ouverts Facebook, Instagram, LinkedIn.

A noter : Leurs verbatims sont entre guillemets et en italique bleu dans cette contribution

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

L'association Patients en Réseau a constitué un groupe « Accès précoce et contribution » composé de 4 patients experts de ses 4 réseaux de patients atteints de cancers du sein, du poumon, gynéco et colorectal.

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 ?

Environ 30 h

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

