
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament pour
une demande d'autorisation
d'accès précoce

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	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	13
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	14
1.3. Le médicament évalué	16
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	16
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	17
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	17
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	17
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	18
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	18
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	18
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	19
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	19
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	21
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	21
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	22
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	24
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	25
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	26
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	27

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)

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 :

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

TRUQAP

Dénomination commune internationale (DCI) :

CAPIVASERTIB

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

TRUQAP est indiqué en association avec le fulvestrant dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer du sein localement avancé ou métastatique, positif pour les récepteurs hormonaux (RH), HER2 négatif, présentant une ou plusieurs altérations PIK3CA/AKT1/PTEN, à la suite d'une récurrence ou d'une progression pendant ou après un traitement à base d'hormonothérapie.

Chez les femmes en pré/périménopause, le traitement par TRUQAP plus fulvestrant doit être associé à un agoniste de l'hormone de libération de la lutéinostimuline (LHRH).

Pour les hommes, envisagez d'administrer un agoniste de la LHRH selon les normes de pratique clinique en vigueur.

)

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 ?

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 58 500 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 90% 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 dont environ 8 à 10 000 à cause d'un cancer métastatique HR+/HER2-. Pour rappel, au stade métastatique, le taux de survie à 5 ans est de 20%.

Pour cette contribution, nous avons échanger avec des patient.es vivant ces situations.

Les patient.es atteints de métastases ont une qualité de vie qui est stable quand leur traitement est endocrinien en 1^{ère} ligne avec des thérapies ciblées orales qui ont des effets indésirables gérables au quotidien et qui leur permettent d'être toujours à leur emploi.

Cependant, cette qualité de vie se dégrade tant au niveau psychique que physique quand leurs traitements ne fonctionnent plus et doivent être remplacés par des traitements de chimiothérapie plus agressives avec des effets indésirables importants.

L'impact de la résistance aux traitements de endocriniens est majeur : une perte de confiance dans l'efficacité et la durée d'efficacité des traitements s'immisce, chaque nouvelle ligne est source de questionnements, d'angoisse avec un sentiment de charge mentale et de fardeau physique, de fatigue accumulée qui s'accroissent.

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

Impacts psychologiques de l'annonce d'un cancer métastatique

Les malades sont confrontés soit à une annonce faite en même temps que le diagnostic de leur cancer ou après quelques années de répit.

Ces annonces bouleversent leur projection dans l'avenir, leur projet de vie, leur vie familiale, personnelle et professionnelle. Les personnes vivent alors au jour le jour.

Fatigue intellectuelle ou physique

L'annonce, et les premiers traitements impactent leur sommeil et engendrent une fatigue intellectuelle mais aussi physique selon où se situent les métastases

Impacts physiques – Douleurs

Des douleurs peuvent être plus ou moins fortes notamment en cas de métastases osseuses.

Les traitements peuvent aussi engendrer des douleurs articulaires, et musculaires.

Activités de la vie quotidienne - Mobilité/déplacement

Les traitements endocriniens permettent de maintenir les activités quotidiennes.

Vie sociale et Vie professionnelle – Capacité de travail

La vie sociale et professionnelle est de plus en plus préservée. Cependant, cela demande par fois des aménagements tels que le temps partiel thérapeutique, la reconnaissance de travailleur handicapé, des aménagements de poste avec le médecin du travail.

Vie affective et sexuelle

L'impact sur la vie intime est souvent minimisé et peu abordé en consultation alors même que les couples sont en souffrance et que les traitements chroniques notamment anti-hormonaux ont un impact direct sur l'intimité, la libido, avec notamment une sécheresse vaginale et une atrophie vaginale trop peu accompagnées et des restes à charge importants...

Impacts financiers

Certains patients n'ont aucun impact financier du fait de la continuité de leur travail ou de son aménagement. Certains bénéficient de garantie de maintien de salaire grâce aux contrats de prévoyance collective de leur entreprise.

Cependant, d'autres patients ont une diminution de leurs ressources du fait d'une mise en invalidité de 2^{ème} catégorie, d'une inaptitude et d'une impossibilité de reclassement.

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*
- *Impacts psychologiques*
- *Aspects financiers*

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.

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 et une incompréhension s'installe. 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.

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 résistance aux traitements endocriniens de 1 ère ligne et donc de 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) ou un inhibiteur sélectif de mTOR (évérolimus) associé à l'endocrinothérapie .

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

L'association de Fulvestrant (injection intra-musculaire) est associée à un inhibiteur de CDK4/6 (en comprimés 3 sem sur 4)

L'évérolimus s'administre par voie orale quotidiennement. Il en est de même pour l'hormonothérapie associée.

Les anti LH-RH sont sous forme d'implants qui sont administrés par une injection sous la peau tous les 28 jours.

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 effets indésirables sont des réactions allergiques (gonflement du visage), des thrombo-embolies, des hépatites , des douleurs articulaires ainsi que des bouffées de chaleur.

Les inhibiteurs de CDK4/6 sont administrés par voie orale une fois par jour au moment du repas avec une pause d'une semaine. Les effets indésirables les plus rapportés sont des diarrhées, nausées, neutropénie, fatigue.

Et pour les femmes non ménopausées, elles ont également un traitement agoniste de LH-RH (goséréline, 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

L'évérolimus est administré par voie orale (10mg tous les jours à heure fixe) associé à l'exémestane (voie orale tous les jours). La voie orale est une voie plébiscitée par les patient.es car elle permet de conserver une vie personnelle et professionnelle la plus stable possible. Cependant, les effets indésirables tels que stomatite (grade 3), rash cutanée (grade 3), fatigue, diarrhées, inappétence et nausées, pneumopathie non infectieuse (grade 3) induisent des arrêts précoces du traitement.

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 (résistance primaire) dans les 6 mois d'un traitement hormonal adjuvant ou secondaire au-delà des deux 1ères années de traitement d'endocrinothérapie. Les mécanismes de résistance peuvent s'expliquer par l'activation des voies de signalisation intra-cellulaires : PI3K/AKT/Mtor. Ainsi, s'il est possible de connaître quelle voie doit être inhibée au niveau des AKT (PIK3CA, AKT1 ou PTEN), un traitement ciblant

une ou plusieurs de ces voies peuvent permettre de rallonger la stabilité des métastases avant de passer à une autre ligne de traitement.

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

Les patients souhaitent préserver au maximum leur qualité de vie avant d'avoir une ligne de chimiothérapie.

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

1- Un traitement ciblant plusieurs voies de signalisation (PIK3CA/AKT1/PTEN)

Les patient.es qui ont accès à cette recherche de voies de signalisation évoquent une prise en charge individuelle avec un traitement plus personnalisé qui ciblent ces voies de signalisation impliquées dans la régulation de la croissance, de la prolifération et de la survie cellulaire.

2- Confort d'administration

La présentation de comprimés par voie orale est plébiscitée.

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

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

1- Un plan de prise à bien intégrer et suivre

Le plan de prise est peu habituel : deux comprimés de 200 mg deux fois par jour pendant 4 jours, suivis de 3 jours sans traitement. Il peut donc engendrer des oublis ou retard ou même des doubles prises.

2- Des effets indésirables à anticiper et expliciter

Des diarrhées importantes peuvent survenir et doivent donc être prévenues. Par ailleurs, les patient.es doivent être attentifs à des signes de soif excessive, de bouché sèche, des besoins plus fréquents d'uriner faisant suspecter une hyperglycémie.

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 ?

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 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 ne ciblent pas l'ensemble des voies de signalisation (PIK3C/AKT1 et/ou PTEN) engendrant une résistance primaire ou secondaire aux traitements endocriniens.

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 traitement ciblant plusieurs voies de signalisation des mécanismes de résistance aux traitements endocriniens
- 2- La praticité des comprimés à prendre chez soi
- 3- La conservation d'une qualité de vie personnelle et professionnelle

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

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 ?

Il nous semble essentiel de pratiquer la recherche des gènes Pik3CA, AKT1 et PTEN anormaux en vue de pouvoir accéder à un traitement ciblé.

Prévenir les effets indésirables tels que la diarrhée, et donner une information sur le risque d'hyperglycémie.

Accompagner le suivi de la prise du traitement par des outils (papiers ou digitaux)

.

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 adhérera.

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 ?

³ Également appelées « variables d'intérêt »

Il nous semble nécessaire de préciser que dès le constat d'une résistance à l'hormonothérapie et/ou antiCDK4/6 et avant tout début du traitement par Capivasertib, une biopsie des métastases doit être réalisée, pour préciser la recherche des marqueurs PIK3CA, AKT1, PTEN.

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 de récurrence métastatique est pour la patiente et ses proches un véritable bouleversement, qui accentue le poids et l'anxiété liés à la maladie et aux traitements. La peur de mourir devient plus aiguë. Cela fait aussi 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 soient par comprimés, soit combinant injection et comprimés.

La possibilité de proposer une ligne supplémentaire de traitement ciblant plusieurs gènes par voie orale est innovant par rapport aux traitements n'en ciblant qu'une et permet d'accéder à « une ligne de chances en plus ». Par ailleurs, ces patient.es souhaitent conserver une vie personnelle et professionnelle la plus normale possible. C'est ce qui ressort des témoignages des patient.es touchées par un cancer du sein métastatique. Chaque ligne de traitement bien supporté éloigne les traitements dont les effets indésirables sont visibles et ne permettent pas de continuer à travailler et d'être inséré socialement.

Le CAPIVERSATIB est une arme supplémentaire pour celles qui ont une résistance primaire et/ou secondaire aux traitements endocriniens qui va continuer à préserver leur qualité de vie quotidienne et professionnelle.

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 ?

A noter :

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 réseaux.

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 24 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

