



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

---

QUESTIONNAIRE

# TRODELVY AP367\_Contribution \_Collectif Triplettes Roses.docx

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

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

---

# Sommaire

---

|                                                                                                                              |           |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------|
| <b>Introduction</b>                                                                                                          | <b>3</b>  |
| <b>NOTE IMPORTANTE</b>                                                                                                       | <b>4</b>  |
| <b>Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.</b>                                               | <b>5</b>  |
| <b>Médicament sur lequel porte cette contribution</b>                                                                        | <b>9</b>  |
| <b>1. Questionnaire – Partie A</b>                                                                                           | <b>10</b> |
| 1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie                                                                             | 10        |
| 1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients                                                                                | 10        |
| 1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants                                                                  | 14        |
| 1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)                                               | 15        |
| 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               | 18        |
| 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        |
| <b>2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)</b>                                                      | <b>19</b> |
| 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     | 20        |
| 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        |
| <b>3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition</b>                                                                      | <b>24</b> |
| <b>4. Questionnaire – Partie D : Synthèse</b>                                                                                | <b>25</b> |
| <b>5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques</b>                                                                    | <b>26</b> |
| <b>6. Questionnaire – Partie F : Méthodes</b>                                                                                | <b>27</b> |

# 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](mailto: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](mailto: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) :

Collectif Triplettes Roses

### Site internet :

[www.collectiftriplettesroses.com](http://www.collectiftriplettesroses.com)

### Adresse postale (le cas échéant) :

188 avenue de Rosenfeld – 77550 Moissy-Cramayel

### 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).

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau :

Sans objet

**Décrivez la composition du conseil d'administration et du bureau (titres et noms des personnes) des associations agréées :**

Sans objet

# Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

TRODELVY

Dénomination commune internationale (DCI) :

Sacituzumab Govitecan

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

Cancer du sein triple négatif non résécable métastatique

**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 ?

1/ Fatigue intellectuelle ou physique

Patiente A // J'éprouve une fatigue physique intense après les cures. La semaine de pause me permet tout juste de me remettre. J'éprouve aussi des troubles de la mémoire et des difficultés de concentration.

Patiente B // Pour ma part, l'effet le plus gênant est la fatigue physique avec un manque d'énergie sur les 3-4 jours suivant l'injection

Patiente C // : gravité 2

Asthénie : sommeil correct, sieste quotidienne

## 2/ Activités de la vie quotidienne

Patiente A // Je suis assez autonome pour les activités de la vie quotidienne sauf les deux ou trois jours qui suivent le traitement. Il m'est parfois difficile de préparer un repas ou de m'occuper du linge et du petit ménage.

Patiente B // J'arrive à faire des activités physiques adaptées et culturelles en alternance avec des siestes. Je rattrape le retard des activités ménagères dans la semaine de pause.

Patiente C // Arrêt de travail, sinon maintien des autres activités (entraîneur de basket d'enfants de 5 à 7 ans, missions d'adjointe au maire)

## 3/ Mobilité/déplacement

Patiente A // J'ai souvent des problèmes intestinaux (diarrhées) qui me freinent dans les déplacements car j'ai peur d'avoir un problème à l'extérieur de chez moi.

Patiente B // Je n'ai pas de problème particulier de déplacement si ce n'est le jour de l'injection durant lequel je ne peux pas conduire et je marche avec des bâtons pour stabiliser mon équilibre.

Patiente C // gravité 1 (véhiculée)

## 4/ Vie professionnelle – Capacité de travail

Patiente A // Je n'ai plus d'activité professionnelle et je suis en invalidité depuis 2020. Je me fatigue vite et n'ai pas les capacités cognitives me permettant de travailler. Je m'investis néanmoins dans une association pour maintenir un lien social et humain. Je me demande souvent quelle activité professionnelle je pourrais exercer si je survivais. J'avais un poste de direction que je ne pourrai plus jamais occuper.

Patiente B // Je suis en arrêt maladie depuis 2 ans et demi avec une reprise de 3 mois en mi-temps thérapeutique l'année dernière étant sous chimiothérapie orale. Mais depuis 9 mois, avec des injections 2 semaines sur 3, je ne vois pas comment reprendre une activité professionnelle avec la fatigue physique que cela engendre. De plus, le contrôle TepScan tous les 3-4 mois peut remettre en question le traitement du jour au lendemain, donc c'est difficile à gérer également pour mon employeur.

Patiente C // En arrêt maladie (ATSEM en petite section de maternelle)

## 5/ Vie affective / vie sexuelle

Patiente A // Je n'ai plus de relations avec mon mari depuis le début de mon cancer. Il a très peur de la maladie comme si je pouvais être contagieuse. Je souffre d'un manque d'affection et j'ai plusieurs fois pensé le quitter mais j'ai renoncé à cause de la maladie, de ma fatigue et la peur de mourir seule.

Patiente B // J'ai la chance d'être bien entourée par mon mari, mes enfants, ma famille et mes amis. J'essaie de garder une vie sexuelle régulière mais la fatigue fait qu'elle a lieu plutôt de manière sporadique et qu'en fin de la semaine de pause thérapeutique. Mon mari s'est a priori adapté à mon changement physique, engendré par l'alopécie et la prise de poids.

Patiente C // RAS

## 6/ Vie sociale

Patiente A // Ma vie sociale s'est resserée autour d'un noyau d'amis fidèles qui m'aident beaucoup. Je sors moins qu'avant mais j'essaye d'organiser régulièrement des dîners avec mes amies. Elle m'ont fait la surprise d'organiser un wee-end pour moi en 2023 et nous en organisons désormais 2 par an. J'ai besoin de profiter au maximum des bons moments.

Patiente B // J'ai mis en place des activités qui me permettent de garder un lien social que ce soit en présentiel ou à distance. Je porte une prothèse capillaire en société pour éviter les regards stigmatisants. J'ai adopté le maquillage semi-permanent pour avoir un regard plus dynamique sans sourcils et sans cils.

Patiente C // gravité 1 (très communicante sur la maladie, beaucoup de soutien de mes proches)

## 7/ Impacts psychologiques

Patiente A // Je pense tous les jours à la mort. Il est très difficile d'échapper à ces pensées car des femmes ayant la même maladie meurent tous les jours faute de traitement curatif. Je prends des antidépresseurs. Je fais aussi de la méditation et je me surprends parfois à reprendre espoir. Je vis chaque instant de bonheur, même le plus infime, avec intensité et gratitude.

Patiente B // Le plus déstabilisant est de se dire que le traitement ne s'arrêtera jamais et que l'on doit s'adapter à cette nouvelle vie rythmée par la fréquence des injections et des contrôles TepScan et qu'à tout moment, on peut être face à la réactivation des métastases. La peur de la souffrance et de la dégénération physique est omniprésente. Je fais de la méditation, de la sophrologie et j'écoute de la musique vibratoire pour affronter le quotidien. Cela m'aide à me détacher des pensées négatives et à vivre le moment présent plus intensément.

Patiente C // gravité 1 - RAS

Bipolaire depuis près de 35 ans, sous traitement (Téralithe)

## 8/ Douleur

Patiente A // Dans l'ensemble, je supporte plutôt bien le traitement par rapports à d'autres chimiothérapies. Néanmoins, la liste des effets indésirables s'allonge au fur et à mesure des cures. Cela fait 20 mois que je suis sous Trodelvy.

J'ai des diarrhées quotidiennes, mes ongles se cassent ou s'arrachent, j'ai des plaques sur le corps, la nausée dans les jours qui suivent l'injection et parfois des maux de tête. J'ai eu une pneumonie, le covid plusieurs fois.

Patiente B // N'ayant pas de métastases osseuses, pour l'instant, je n'ai pas de douleurs et je fais des activités physiques d'assouplissement et de renforcement pour garder un corps dynamique.

Patiente C // gravité 2

- troubles digestifs, reflux gastriques, toux : prise médicamenteuse Omeprazole
- 2 ponctions pleurales en début d'année, apparition d'une lame d'épanchement pleural en juin
- aphtes : prise médicamenteuse Fluconazole, bains de bouche au bicarbonate
- faible sensibilité aux extrémités (mains, pieds) : utilisation crème

## 9/ Aspects financiers

Patiente A // J'ai la chance d'avoir une pension d'invalidité et une prévoyance qui me permettent de percevoir environ 80% de mon ancien salaire. L'inflation a quand même réduit mon pouvoir d'achat car il n'y a pas eu de revalorisation depuis 6 ans. Je suis inquiète par rapport à l'avenir des mes fils et la capacité que nous aurons à pouvoir financer leurs études.

Patiente B// J'ai la chance pour l'instant de ne pas avoir de perte de salaire car je suis encore en arrêt maladie et peut-être que ça changera si je passe en invalidité.

Patiente C // ALD 100% - salaire intégralement versé depuis août 2022

## 10/ Autres aspects

Patiente B// J'ai mis en place un protocole de soins de support alliant homéopathie, mycothérapie, acupuncture, sophrologie, bioénergie qui j'en suis sûre m'aident à supporter le traitement au mieux en atténuant les effets secondaires et en me donnant de l'énergie.

Patiente C // RAS

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportés par les patients<sup>1</sup> qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☒ Non

☐ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

---

<sup>1</sup> 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.

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



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

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

*Vous pouvez détailler les impacts en séparant des « groupes », par exemple homme/femme, enfant/adulte, etc.*

- *Fatigue intellectuelle ou physique*
- *Activités de la vie quotidienne*
- *Mobilité/déplacement*
- *Problématique spécifique aux maladies génétiques impactant d'autres membres de la famille*
- *Vie professionnelle – Capacité de travail*
- *Vie affective*
- *Vie sexuelle*
- *Vie sociale*
- *Impacts psychologiques*
- *Aspects financiers*
- *Autres aspects*

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

Patiente A // Ma vie familiale est très perturbée par la maladie. Mes fils avaient 13 et 11 ans quand je suis tombée malade en 2018. Ils ont vécu leur adolescence au rythme du cancer avec des moments très difficiles au moment de la récurrence et de l'annonce des métastases et des moments de joie quand les traitements donnaient de bons résultats. J'essaie toujours de mesurer mes paroles face à eux et même si je ne leur cache pas la gravité de la maladie, j'en parle très peu.

Mon mari est dans le déni.

Patiente B // La vie de mes proches est rythmée par mon planning médical et ils sont à chaque fois dans l'angoisse du résultat du prochain contrôle TepScan. C'est difficile de faire des projets à long terme et j'essaie de les rassurer au quotidien en étant le plus active et épanouie possible.

Patiente C // très présents mais soucieux.

Mon état d'esprit positif facilite peut-être ces impacts

## 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.**

Il existe d'autres traitements pour une catégorie de personnes très ciblée et non représentative de l'ensemble des personnes touchées par le cancer du sein triple négatif métastatique:

- 1) Pembroluzimab uniquement pour les personnes dont les métastases expriment un PDL1 avec un score CPS supérieur à 10 (analyse réalisée sur la biopsie)
- 2) Trastuzumab déruxtecan (Enhertu) uniquement pour les patientes dont la biopsie fait apparaître une faible expression du HER2 et qui ont déjà eu au moins une ligne de traitement.
- 3) Inhibiteurs de PARP pour les personnes porteuses du gène BRCA

Sinon c'est enchaînement des chimio aussi longtemps qu'elles fonctionnent et/ou tant qu'on les supporte.

**Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?**

Plus on cible le bon traitement, meilleure sera la réponse normalement.

Chacun est différent et réagit différemment mais il semblerait que les inhibiteurs de PARP et l'immunothérapie soient parfois plus facile à supporter. MALHEUREUSEMENT tout le monde n'est pas éligible

### Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Ces traitements arrivés au cours des 3 dernières années ne sont accessibles que pour une quantité très infime de patientes ;

Les autres chimiothérapies fonctionnent uniquement pour seulement environ 5% des triplètes

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

La majorité des personnes touchées par le cancer du sein triple négatif n'entrent pas dans les critères et n'ont pas accès aux derniers traitements novateurs. Dans ce cas seul, le Trodelvy leur sera le seul traitement novateur proposé. Sinon c'est enchaînement des lignes de chimio avec TRES TRES peu d'espoir que cela fonctionne.

## 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.*

Patiente A // Les principales améliorations constatées par rapport au traitement d'immunothérapie + chimio que j'avais précédemment sont les moindres effets secondaires. J'ai dû arrêter l'immunothérapie en raison d'une hypophysite.

Je me relève plus facilement d'une cure à l'autre. Le traitement débuté en novembre 2022 s'est montré efficace en complément de séances de radiothérapie stéréotaxique. J'ai eu une réponse complète au niveau d'une lésion du hile pulmonaire. Au niveau cérébral, j'ai eu de bonnes réponses également, les deux lésions ayant considérablement diminué.

Patiente B // Au bout de 8 mois de traitement, moins d'effets délétères sur les ongles, les dents et les gencives. Moins de douleurs provoquées par le traitement.

### 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 ?**

Patient A // La perte des cheveux, la fatigue, les diarrhées et les troubles cognitifs.

Patient B // La sécheresse de la peau et des muqueuses

La fréquence d'injections qui ne laisse pas beaucoup de répit

Le manque d'énergie sur les premiers jours après l'injection

La neutropénie

L'alopecie permanente

### 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 ?**

Le cancer du sein triple négatif laisse peu d'espoir lorsqu'il arrive en situation métastatique.

Il n'y a pas de traitement curatif du cancer du sein triple négatif à un stade métastatique. La diffusion du cancer à d'autres organes si elle n'est pas contrôlée par ce traitement conduit à la mort du patient.

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

Tous les patients ne sont pas éligibles à un traitement par immunothérapie. 30 à 40% sont éligibles à l'immunothérapie et ce traitement fonctionne pour 52% des triplètes.

Les inhibiteurs de PARP sont proposés aux patients ayant une mutation génétique (BRCA 1 et/ou 2) qui représentent 10 à 15% des malades. Ils sont efficaces pour 59% d'entre eux.

Les chimiothérapies classiques sont efficaces pour 5% seulement des patients. Elles sont mal tolérées.

L'arsenal thérapeutique est **GRANDEMENT** insuffisant pour les triplètes métastatées à date !!!

**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 notamment<sup>2</sup> 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).*

Ce traitement est innovant car la chimiothérapie est diffusée directement au cœur des cellules tumorales contrairement à d'autres chimiothérapies qui détruisent autant les cellules saines que les cellules malignes. C'est le 1<sup>er</sup> anticorps conjugué possible pour TOUTES les triplètes métastatées.

## **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 :*

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

- *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 ?**

Les patients peuvent recueillir eux-mêmes des informations essentielles sur l'impact des effets secondaires sur leur qualité de vie. Nous avons constaté que le Questionnaire EORTC QLQ-C30 est diversement utilisé d'un établissement hospitalier à l'autre. Il est envoyé au patient en amont ou distribué le jour-même en Hôpital de jour. Dans certains centres, il n'est pas du tout utilisé. De plus, au-delà de quelques cures, il n'est souvent plus administré. Or les effets secondaires sont cumulatifs et deviennent plus lourds à supporter après 9 ou 12 mois de traitement.

Il ne faut pas négliger l'impact psychologique qui est proportionnellement moins traité que les impacts physiques. Proposer au patient un cadre permettant d'apporter une réponse ouverte, un commentaire général ou une question serait utile. En se limitant à des grilles de réponses chiffrées de 1 à 4, on reste dans une vision très statistique et symptomatique.

**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. ?)**

La manière la plus efficace serait :

- 1/ Expliquer au patient à quoi sert le questionnaire et comment seront exploitées ses réponses.
  - 2/ Lui demander de le remplir chez lui avant de venir à l'hôpital. Si le patient n'a pas la capacité de le faire, lui proposer de l'aide pour le remplir à son arrivée.
- A NOTER que les médecins ne s'y intéressent pas souvent. Les infirmières ne savent pas quoi en faire. Le personnel d'accueil est mal informé. Les médecins pourraient consulter le questionnaire en début de consultation pour pouvoir interroger le patient au lieu de lui demander simplement comment il va sans faire référence au questionnaire.
- 3/ Définir qui est responsable de la collecte du questionnaire à l'hôpital.
  - 4/ Utiliser le questionnaire pour faire un suivi longitudinal de la qualité de vie des patients. Pour des patients qui subissent des traitements lourds, au long cours, il y a un effet d'usure important qui vient s'ajouter aux troubles cognitifs. Certains peuvent se sentir incompris, peu entendus et finissent par ne plus faire part de la dégradation de leur qualité de vie.

## 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 fin<sup>3</sup>.*



*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](mailto: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 ?**

<sup>3</sup> Également appelées « variables d'intérêt »

☐ Oui

☒ Non

**Avez-vous des commentaires ou des compléments relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

### 3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition



*La Commission de la transparence peut décider d'auditionner une ou des associations ou groupes d'utilisateurs lors de l'examen de la demande.*

*Vous pouvez ici manifester votre intérêt pour une telle audition (en plus de cette contribution écrite).*

ATTENTION : Les auditions devant la commission de la transparence sont ordinairement accordées dans le cadre des autorisations d'accès précoce ; elles sont exceptionnelles dans le cadre du remboursement.

#### **Souhaitez-vous être auditionné ?**

☐ Oui

☒ 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.*

L'espérance de vie limitée et les impasses thérapeutiques des triplettes métastasées restent une réalité. TRODELVY reste un traitement incontournable de l'arsenal thérapeutique. Avec deux ans de recul, nous constatons qu'il y a un réel gain d'espérance de vie pour les triplettes métastasées tant que le traitement reste efficace. En cas d'échappement, il n'y a pas d'autre solution que de revenir à des chimiothérapies systémiques avec des résultats très limités.

Nous confirmons l'intérêt et l'importance du traitement pour les femmes atteintes par un cancer du sein triple négatif au stade métastatique.

## 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 téléphoniques, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).*

**Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?**

Nous avons fait appel à 3 patientes actuellement sous TRODELVY

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

Nous avons partagé le présent questionnaire à 3 patientes. L'une d'entre elles a réalisé la consolidation des contributions dans le présent document.

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

3 patientes qui bénéficient actuellement de TRODELVY

La trésorière de l'association

La présidente de l'association

Une administratrice de l'association.

**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 3 jours

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

Fastidieux pour un objectif de renouvellement suite à AMM non compréhensible.

Pas suffisamment de temps pour le **protocole d'utilisation thérapeutique** / **Protocole peu ou pas utilisé**

## 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](http://www.has-sante.fr)

---

