
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

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

Mise à jour mars 2024

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	8
1. Questionnaire – Partie A	9
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	9
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	9
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	10
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	10
1.3. Le médicament évalué	12
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	12
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	13
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	13
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	13
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	13
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	13
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	14
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	15
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	15
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	16
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	17
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	17
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	19
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	20
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	21
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	22

Introduction

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

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

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

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

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

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



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

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

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

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

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

Note importante

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

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

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

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

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

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Association De L'Air

Site internet :

<https://cancer-poumon.fr/>

Adresse postale (le cas échéant) :

1 rue Etienne Dolet, 69600 Oullins

Nature de la structure :

☐ Association non agréée, **RNA : W691094594**

Titre : DE L'AIR ! PATIENTS, AIDANTS, SOIGIANTS, EN LUTTE CONTRE LE CANCER DU POUMON

Déclarée en date du : **14 février 2018**

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

Mise en place de groupe d'entraide, par visioconférence, patients, aidants, animés par des professionnels et gratuits.

Participation à différentes campagnes d'informations sur le cancer du poumon (novembre Perle,...), conférences et colloques.

Gestion et animation du site internet.

Action en faveur du dépistage individuel et généralisé sur les populations ciblées. Rôle d'ambassadeur du dépistage.

Offre de bourses de recherche (2 par an à hauteur de 10 à 15000€).

Participation aux appels à contribution de l'HAS.

Participation à différents collectifs d'association (Etats généraux de la santé respiratoire et Collectif Droit à Respirer).

Participation à des travaux et enquêtes avec des industriels, des équipes de recherche académique,...

Informations sur le financement de votre structure

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

☒ Oui

☐ Non



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

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

Vous pouvez utiliser le tableau ci-dessous.

- Budget total de l'association pour l'année N-3 : **19708 pour 2021**
- Budget total de l'association pour l'année N-2 : **33428 pour 2022**
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : **31800 pour 2023**
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : **38350 pour 2024**

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée	Montant
	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée	
2021	Lions Club Annonay	12000	69.11%	45.17 %
2021	Sky Consulting Enquête	300	1.72%	
2021	Cotisations 101 adhérents	1010	5.81%	
2021	Dons adhérents	1851	10.66%	
2021	Lions Club Annonay	12000	69.11%	
2022	Adhésions x 80	800	3.70%	
2022	Dons adhérents	7000	32.50%	
2022	Dons non adhérents	1930	8.69%	
2022	Don du Lions Club Annonay	7000	32.50%	

2022	AMGEN site internet	4650	21.6%	
2022	IPSOS	150	0.70%	
2023	Adhésions et dons individuels			
	Particuliers	5283		
	Association Aventure	1900		
	CHU Clermont Ferrand	500		
	Lion's Club Annonay	5000		
2023	Sous total	12683	54.83 %	
	Sous total	12683	54.83 %	
	Dons d'entreprises			
	Dons d'entreprises			
	Glascosmithkline	8000	34.58 %	
	Glascosmithkline	8000	34.58 %	
	Astrazeneca	1950	8.43 %	
	Astrazeneca	1950	8.43 %	
	Abeline	500	4.78 %	
2023	Abeline	500	4.78 %	
	Sous total	10450	45.17 %	
	Sous total	10450	45.17 %	45.17 %

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

IMFINZI

Dénomination commune internationale (DCI) :

Durvalumab

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

Est indiqué dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique à petites cellules (CBPC) de stade limité dont la maladie n'a pas progressé après une chimio-radiothérapie concomitante à base de sels platine.

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 ?

La pathologie concernée par cette demande est le cancer bronchique à petites cellules dans sa forme limitée au thorax, donc non métastatique. Chaque année, en France on observe entre 5000 et 6000 cas de cancer à petites cellules, soit 13 à 15% des cancers bronchiques. 20 à 30% des patients seulement présentent une forme limitée au thorax qui est la seule potentiellement curable par une association de chimiothérapie par platine-etoposide et une radiothérapie si possible concomitante. Malgré ce traitement les chances de survie à 5 ans dans les essais les plus récents sont de 50% à 2 ans et de 20 à 25% à 5ans.

Comme tous les cancers bronchiques, le retentissement sur les patients est majeur, ne serait-ce que par le pronostic qui reste mauvais au prix d'un traitement contraignant et toxique.

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 ?

Questionnaire de l'EORTC QLQ-C30 avec son module pour les cancers du poumon

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 ?

Impact important à plusieurs niveaux comme pour les autres cancers bronchiques

1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)

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.



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.

Les cancers à petites cellules limités au thorax, donc non métastatiques, sont traités depuis plus de 30 ans par une association de chimiothérapie par platine-etoposide (si possible cisplatine), en moyenne 4 à 6 cures et de radiothérapie thoracique mono ou bi-fractionnée si possible concomitante. Après ce traitement, si le patient est en très bonne réponse il est recommandé de réaliser une radiothérapie cérébrale prophylactique.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Cette stratégie permet d'obtenir un taux de rémission élevé, mais malheureusement la majorité des patients rechutent, essentiellement sous forme métastatique, dans les 2 à 3 ans, ce qui explique un taux de survie dans les meilleurs essais de 20 à 25% à 5 ans. Ces dernières années, des progrès modestes ont été obtenus en optimisant cette stratégie, et surtout en améliorant les techniques et les doses de radiothérapie. Toutefois nous sommes arrivés à un plateau.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Cette stratégie est lourde, relativement toxique et ne peut être réalisée que chez des patients en bon EG, sans co-morbidité et plutôt jeunes (< 70 ou 75 ans).

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

Comme dit plus haut, l'association chimio-radiothérapie est arrivée à un plateau en termes d'efficacité et il est indispensable de développer d'autres traitements qui permettraient d'augmenter les taux de guérison.

1.3. Le médicament évalué



Les catégories ci-dessous sont proposées à titre indicatif, elles peuvent être utilisées dans certaines questions. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients principaux qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- l'état de santé de la personne concernée, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave ;*
- la qualité de vie (notamment impact sur la fatigue intellectuelle ou physique, les activités de la vie quotidienne, la mobilité et les déplacements, la vie professionnelle ou les capacités de travail, la vie affective, la vie sexuelle, la vie sociale ou d'autres aspects à préciser. Dans le cadre de la pédiatrie, il pourrait s'agir notamment de la croissance, la scolarité, des activités ludiques et sportives ;*
- la qualité de vie de ses proches ;*
- l'usage de ce traitement ;*
- le parcours de santé et de vie du patient ;*
- autres : n'hésitez pas à ajouter tout autre élément que vous souhaitez.*

1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire

Le libellé de l'indication demandée (ce qui désigne les patients concernés) par le laboratoire vous semble-t-il adéquat ? Toute la population des patients concernés est-elle bien incluse dans ce libellé ? D'autres groupes de patients devraient-ils figurer ? Merci de justifier votre réponse.

Le libellé de l'indication demandée est adéquat et correspond à la population des patients inclus dans l'essai ADRIATIC qui valide cette indication.



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.

Dans l'essai de phase III randomisé ADRIATIC, rapporté à l'ASCO 2024, l'adjonction d'une immunothérapie de consolidation par durvalumab 1500 mg toutes les 4 semaines, pendant au maximum 2 ans chez des patients non-progressifs après chimio-radiothérapie concomitante, permet d'améliorer de façon significative la survie sans progression et surtout la survie globale avec un gain de 10% à 2 ans et à 3 ans.

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 ?

Le durvalumab est utilisé depuis fin 2017 en traitement de consolidation après chimio-radiothérapie dans les cancers bronchiques non à petites cellules de stade III non résécables. Ses effets secondaires sont bien connus comme pour tous les inhibiteurs de point de contrôle immunitaires. Il s'agit essentiellement d'effets dys-immunitaires en règle général peu graves et que les prescripteurs savent bien gérer.

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 ?

Il ne s'agit pas dans le cas présent d'une amélioration par rapport aux traitements actuel. Le traitement actuel, c'est-à-dire l'association chimio-radiothérapie reste le traitement de base incontournable. L'objectif du traitement de consolidation par durvalumab pendant 2 ans est d'augmenter les chances de survie et peut-être de guérison définitive.

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 ?

La principale crainte par rapport aux traitements actuels est de rajouter des toxicité immuno-médiées, mais l'apport en termes d'efficacité est à notre avis supérieur aux effets secondaires potentiels et aux contraintes pour le patient.

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 bronchique à petites cellules, même dans sa forme limitée au thorax, reste une affection grave au pronostic péjoratif et pour laquelle il est important d'améliorer les résultats par de nouvelles thérapies innovantes.

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

Les traitements actuels sont appropriés, mais leurs résultats sont insuffisants en termes de survie et de guérison potentielle.

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).*

Le médicament étudié, c'est-à-dire le durvalumab est un anticorps monoclonal anti-PD-L1 déjà utilisé dans une indication similaire dans les cancers bronchiques non à petites cellules localement avancés non-résécables. Cette nouvelle indication est innovante dans la mesure où c'est la première fois que l'on peut améliorer les résultats dans les cancers bronchiques à petites cellules limités au thorax. Ce traitement ne se substitue pas aux traitements actuels, mais vient en complément du traitement actuel.

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*

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

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 pourraient recueillir les effets secondaires du 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'idéal serait d'utiliser des outils connectés qui existent et sont déjà validés en cancérologie.

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 ?

Non applicable

³ Également appelées « variables d'intérêt »

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.

Je suis pneumo-oncologue, retraité depuis peu, et cela fait 40 ans que je prends en charge des cancers bronchiques. J'ai traité de nombreux patients atteints de cancer bronchique à petites cellules et j'ai participé à plusieurs essais thérapeutiques sur cette pathologie. En particulier j'ai été coordonnateur pour la France de l'essai CONVERT qui comparait 2 modalités de chimio-radiothérapie et publié dans Lancet Oncology en 2017.

L'adjonction de durvalumab en traitement de consolidation après chimio-radiothérapie chez ces patients est un progrès thérapeutique important, le progrès le plus important depuis presque 40 ans, comme cela a déjà été le cas avec le même médicament dans les cancers bronchiques non à petites cellules localement avancés suite à l'essai PACIFIC.

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.

Il est essentiel que nos patients puissent bénéficier de ce traitement rapidement avant son AMM et sa mise à disposition. Le nombre de patients éligibles à ce traitement en France doit se situer autour de 1500 à 2000.

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 ?

Avant tout mon expérience et mon expertise à propos de cette pathologie

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

J'ai déjà traité de nombreux patients par chimio-radiothérapie.

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

Aucune en dehors de moi-même.

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 ?

4 heures

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

Non

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

