
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'utilisateurs

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

Sommaire

Introduction	Erreur ! Signet non défini.
NOTE IMPORTANTE	Erreur ! Signet non défini.
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	3
Médicament sur lequel porte cette contribution	5
1. Questionnaire – Partie A	6
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	6
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	6
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	6
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	7
1.3. Le médicament évalué	8
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	8
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	8
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	8
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	8
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	9
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	9
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	9
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	10
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	10
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	10
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	10
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	12
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	13
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	14
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	15
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	16

Informations administratives (contact)

Identité de l'association ou du groupe

ELLyE Ensemble Leucémie Lymphome Espoir

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

ELLyE – Ensemble Leucémie Lymphomes Espoir

Site internet :

www.ellye.fr

Adresse postale(le cas échéant) :

1 av. Claude Vellefaux
75475 Paris cedex 10

Nature de la structure :

- ☒ Association agréée au niveau national
- ☐ Association agréée au niveau régional
- ☐ Association non agréée
- ☐ Autre (préciser) :

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

Lymphoma Coalition, Européenne Hematology Association

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

1300

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

1/ Contribuer à l'information des personnes atteintes d'un lymphome et de leurs proches

- Édition de brochures, fiches, vidéos, etc.
- Publication d'une newsletter (3 fois/an),
- Information en ligne : site internet, réseaux sociaux (Facebook, Twitter, YouTube, Instagram, LinkedIn), plateforme d'information et éducation : www.lymphoSite.fr
- Organisation d'un colloque national en marge des journées scientifiques du LYSA tous les 18 mois

- Mise en place d'un site d'information et d'éducation basé sur des courtes vidéos terrassants tous les moments importants du parcours de soins en collaboration avec le LYSA et FILO.
www.lymphoSite.fr

2/ Soutenir les personnes touchées par les lymphomes ainsi que leurs proches, pour les aider à vivre avec la maladie

- Permanences dans des hôpitaux et centre anticancéreux,
- Développement du bénévolat et rencontres entre patients/proches
- Forum en ligne

3/ Encourager la recherche sur les lymphomes

- Soutien à la recherche sur les lymphomes (3 bourses de 20 000 € chacune tous les 18 mois : Jeune chercheur, recherche AJA, Qualité de vie du patient).
- Plateforme d'information et moteur de recherche sur les essais cliniques en cours :
www.ORELy.org

4/ Porter la voix des patients au sein des autorités françaises et européennes de santé et les sensibiliser, ainsi que le grand public, aux problématiques rencontrées par les patients

- Organisation annuelle de la Journée Mondiale des Lymphomes (15 septembre)
- Plaidoyer et représentation des patients auprès des institutions et acteurs du système de santé en France
- Activités au niveau européen et international via la Lymphoma coalition

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

Calquence

Dénomination commune internationale (DCI) :

Acalabrutinib

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

Indiqué dans le traitement d'un lymphome à cellules du manteau non traité et non éligible à l'autogreffe de cellules souches.

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

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

Le lymphome à cellule du manteau est un lymphome rare, avec environ 600 personnes diagnostiquées par an en France. Il peut être indolent ou bien agressif lorsqu'il est blastoïde ou polymorphe. Les lymphomes à cellule du manteau indolents rendent l'accumulation des rechutes stressantes pour le patient. Peu de traitement est proposé pour ces patients et l'accumulation des lignes de traitement restreint assez vite les possibilités et l'efficacité associée, avec plus d'effets indésirables.

L'accumulation des rechutes et résistances rendent la vie avec le lymphome à cellule du manteau très stressante avec un fort impact sur la qualité de vie.

Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de qualité de vie ou d'autres mesures rapportées par les patients¹ qui vous semblent adaptés pour cette maladie ?

☒ Non

☐ Oui, lesquels ?

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

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

Aucun aidant ou proche n'a répondu à notre enquête

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.

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

Quels sont les traitements actuels utilisés dans l'indication mentionnée pour ce dossier ? Par exemple, médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Le traitement actuel en première ligne est constitué d'un protocole de chimiothérapie suivi d'une auto-greffe pour les patients n'ayant pas d'inéligibilité à l'autogreffe. Pour les patients inéligibles, le protocole R-CHOP est le traitement standard en première ligne. À la 2ème ligne de traitement, l'ibrutinib est une option de traitement et le traitement innovant, CAR-T est disponible en troisième ligne.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le R-CHOP a montré de bonnes efficacités sur les patients atteints de lymphome à cellule du manteau avec une réponse sur plus de 80% des patients et plus de 50% de réponse complète (selon différentes études).

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

L'autogreffe n'est pas accessible à tous les patients de plus de 65 ans, ce qui représente la plupart des patients traités. L'autogreffe et la cure de chimiothérapie qui précède sont un traitement très lourd ce qui justifie que la plupart des patients sont inéligibles.

La deuxième solution en première ligne est un protocole de chimiothérapie qui n'est pas un traitement spécifique de ce lymphome avec tous les effets indésirables que l'on connaît et qui sont également des effets indésirables lourds.

Dans les deux cas, ces traitements ne sont pas curatifs et ne font que retarder la venue d'une deuxième ligne de traitement.

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

Les patients inéligibles à l'autogreffe n'ont comme option qu'un traitement à base de chimiothérapie. Il est nécessaire, au vu de l'âge moyen des patients traités pour le lymphome à cellule du manteau, d'avoir d'autres options de traitements plus spécifiques à ce lymphome.

De plus, les traitements ne sont pas curatifs, de nouveaux traitements laisseraient un espoir de guérison aux patients.

1.3. Le médicament évalué

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.

Les patients inéligibles à l'autogreffe sont les patients les plus essentiels à cibler, au vu du faible nombre de traitements disponibles. L'essai clinique incluait spécifiquement des patients de plus de 65 ans, cependant l'âge n'est pas la seule cause d'inéligibilité et il serait judicieux de ne pas mentionner l'âge en omettant les autres causes inéligibilité à l'autogreffe.

Cependant, l'objectif actuellement est de retirer les greffes des options de première ligne, en les remplaçant par des traitements moins invasifs. Or, cette indication ne cible pas les autres patients qui sont éligibles à l'autogreffe.

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 ?

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 ?

1.3.3. 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

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

Ce nouveau traitement permet d'apporter une solution pour les patients inéligibles à l'autogreffe. Ce traitement apporte moins d'effets indésirables que les autres traitements disponibles comme les chimiothérapies, la qualité de vie des patients en sera donc améliorée.

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 ?

Les principales craintes pour l'utilisation de l'acalabrutinib sont les effets indésirables à long termes puisque le traitement est suivi jusqu'à progression. De plus, les traitements jusqu'à progression amènent également des résistances qui peuvent compliquer les traitements suivant lors de rechutes, qui sont fréquent sur le lymphome à cellule du manteau indolent.

2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)

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 lymphome à cellule du manteau est un cancer du sang rare que 600 patients par an.

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

Les traitements sont peu disponibles pour les patients inclus dans l'indication (inéligible à l'autogreffe), ils ne sont également pas curatifs.

Quels sont les arguments principaux qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble innovant par rapport aux traitements actuels ?

Ce traitement est plus spécifique dû à une inhibition sélective contrairement aux traitements larges comme la chimiothérapie qui engendrent plus d'effets indésirables. Ce traitement est également beaucoup moins lourds.

2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

Quels sont les informations essentielles que les patients pourraient recueillir eux-mêmes pour aider à mieux connaître (qualitativement et/ou quantitativement) l'efficacité et la sécurité du traitement évalué ?

La qualité de vie pendant le traitement est un élément important que le patient peut quantifier par des questionnaires et qui ne relève que du ressenti du patient.

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. ?)

Les questionnaires devraient pouvoir être remplis par le patient chez lui hors des jours de consultation qui sont particulièrement stressantes et fatigantes. La possibilité de réponse par papier ou en ligne permettrait à la fois de pas perdre beaucoup de donnée, on sait que lors des saisies des questionnaires papiers il y a des pertes de donnée, en laissant la possibilité de réponse s'il n'est pas possible pour le patient de répondre en ligne.

2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données

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 ?

Dans les critères d'inclusion, il est mentionné que l'âge du patient doit être obligatoirement de plus de 65 ans alors que l'indication mentionne une inéligibilité à l'autogreffe. Les inéligibilités peuvent être dues à d'autres facteurs que l'âge, l'âge ne devrait pas être un critère d'inclusion sous peine de laisser les patients inéligibles à l'autogreffe de moins de 65 ans de côté.

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition

Souhaitez-vous être auditionné ?

☐ Oui

☒ Non

Pour quelles raisons ?

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse

Le lymphome à cellule du manteau est un lymphome rare avec seulement 600 patients par an. Les traitements proposés pour ce lymphome en première ligne sont basés essentiellement sur l'autogreffe. L'autogreffe est un traitement lourd qui n'est pas accessible aux patients de plus de 65 ans ou avec certaines complications ou comorbidités. Les patients inéligibles à l'autogreffe ont comme possibilité de traitement l'immunochimiothérapie comme le protocole R-CHOP. Le protocole R-CHOP apporte une très bonne efficacité malgré des effets indésirables assez important et une qualité de vie très impacté par les traitements.

Le Calquence est actuellement utilisé, avec remboursement, pour traiter la leucémie lymphoïde chronique (dont certains de nos patients sont atteints). Dans la leucémie lymphoïde chronique, les seuls effets indésirables mentionnés par les patients, au sein de notre forum, sont des maux de tête intenses les premiers jours de traitement.

En conclusion, ce traitement correspond aux attentes de nos patients qui sont en quête d'un élargissement de traitement possible pour ces indications ainsi que d'un espoir de guérison.

L'acalabrutinib apporte une nouvelle option thérapeutique pour des patients qui n'ont pas accès au traitement de première ligne recommandée. Ces patients représentent une grande partie des patients puisque l'âge de diagnostique médian est de 70 ans.

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.

6. Questionnaire – Partie F : Méthodes

Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

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

Notre connaissance du lymphome à cellule du manteau et les témoignages sur notre forum nous ont permis de rédiger cette contribution.

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

Notre enquête a été partagée à nos adhérents et aux investigateurs connaissant les patients concernés pour leur faire suivre. Au vu du peu de patients traités pour ce lymphome avec ce traitement (6 en France), nous n'avons pas eu de réponse à notre enquête.

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

Aline Renoult (chargé de mission), Guy Bouguet (Président)

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 ?

15h

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

Difficulté pour trouver les patients concernés et pour avoir accès aux articles ou autres éléments pour comprendre le dossier sans y avoir accès.

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

