
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	7
1. Questionnaire – Partie A	8
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	8
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	8
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
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	20
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	20
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	21
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	22
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

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)

Identité de l'association ou du groupe

Nom complet (suivi du sigle si applicable) :

Cancer Vessie France les Zuros.

Site internet :

www.cancer-vessie.fr.

Adresse postale (le cas échéant) :

12 rue d'Italie, 13100 Aix en Provence (modification en cours auprès de la préfecture – nouvelle adresse 190 rue Topaze, 13510 Eguilles).

Principales activités de votre association ou groupe d'utilisateurs :

Soutien aux patients et leurs proches, actions de sensibilisation et de prévention, soutien et information sur la recherche

.



Données personnelles collectées

Les données personnelles recueillies ci-dessus font l'objet d'un traitement de données par la HAS. Elles sont à destination des collaborateurs de la HAS. Elles servent uniquement à la gestion des contributions des associations aux travaux de la HAS.

Sauf opposition de votre part, vos coordonnées seront conservées pour pouvoir éventuellement vous solliciter pour d'autres travaux de la HAS. Conformément à la loi « Informatique et libertés », vous pouvez exercer votre droit d'accès, d'opposition, de rectification et de suppression des données vous concernant par mail à l'adresse suivante dpo@has-sante.fr

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.

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 :

IMFINZI, en association avec une chimiothérapie à base de gemcitabine-cisplatine en traitement néoadjuvant, suivi d'IMFINZI en monothérapie après une cystectomie radicale, est indiqué dans le traitement des patients adultes atteints d'une tumeur de vessie infiltrant le muscle (TVIM).

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 ?

Les TVIM ont un très fort impact global sur la vie des patients, aussi bien au niveau physique que psychique. Voici quelques données que nous avons collectées en mars 2025, sur une échelle de 1 (pas d'impact) à 10 (impact énorme). L'impact de la maladie est notamment très important dans les domaines suivants : fatigue physique et intellectuelle, activités de la vie quotidienne, vie professionnelle, vie sexuelle, et douleur.

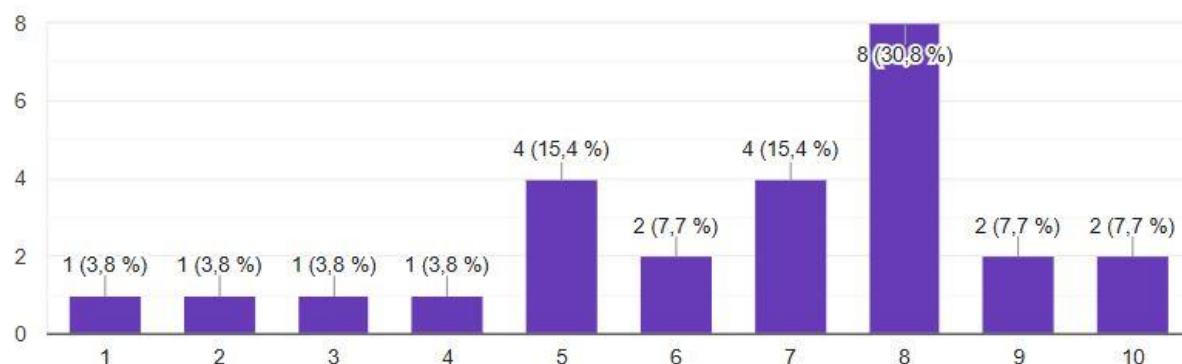
L'impact de la maladie chez les patients en rémission, à distance des traitements, en l'absence de séquelles significatives liées à ces traitements, touche surtout à la vie sexuelle et à l'image corporelle.

Quel est l'impact du cancer de la vessie sur la qualité de vie des patients ou de leurs proches ?

Fatigue physique

[Copier le graphique](#)

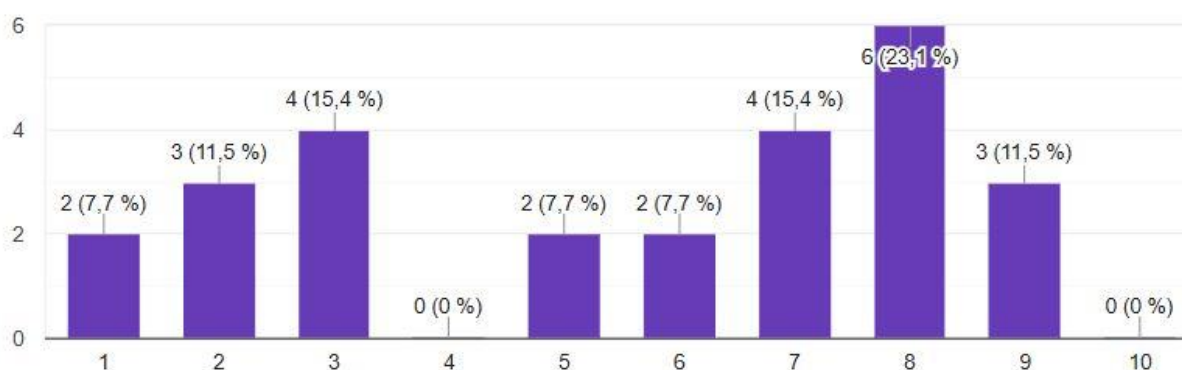
26 réponses



Fatigue intellectuelle

[Copier le graphique](#)

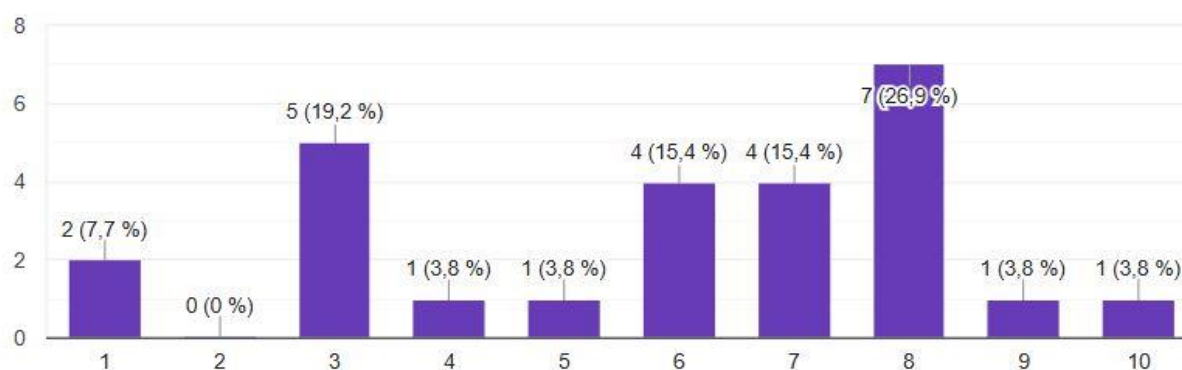
26 réponses



Activités de la vie quotidienne

[Copier le graphique](#)

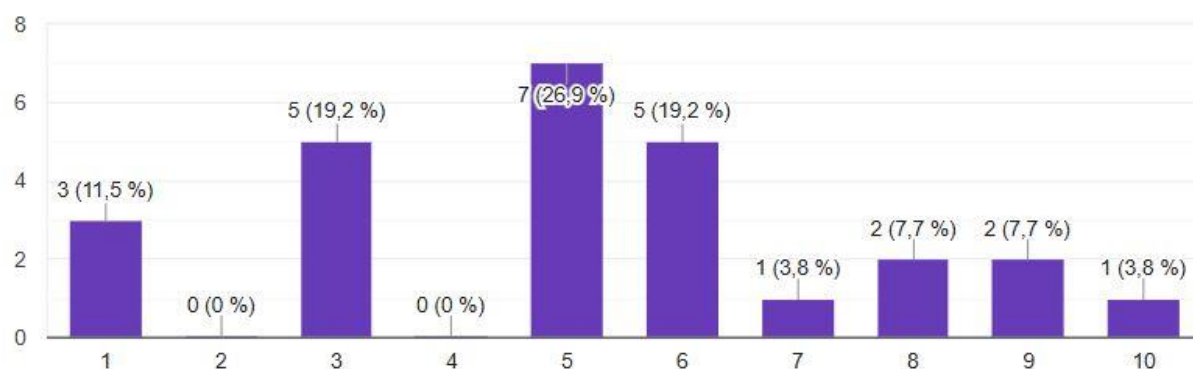
26 réponses



Mobilité/Déplacement

[Copier le graphique](#)

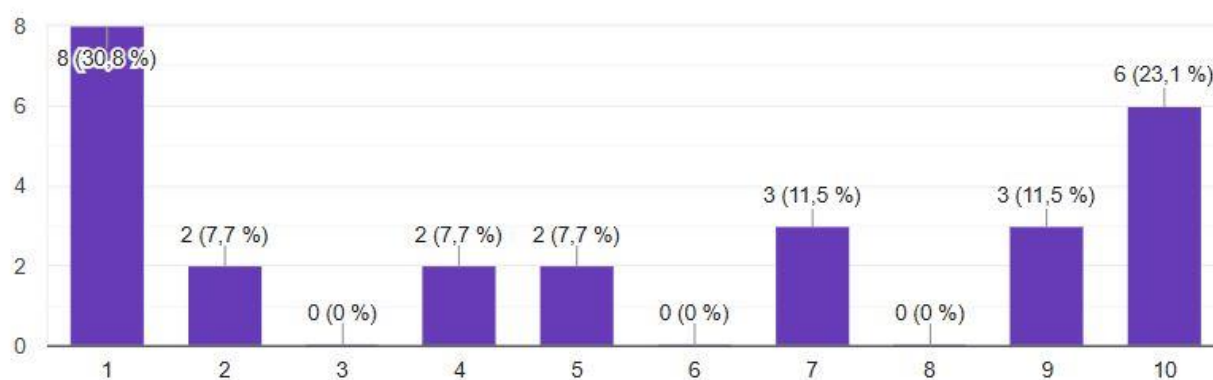
26 réponses



Vie professionnelle - Capacité de travail

[Copier le graphique](#)

26 réponses

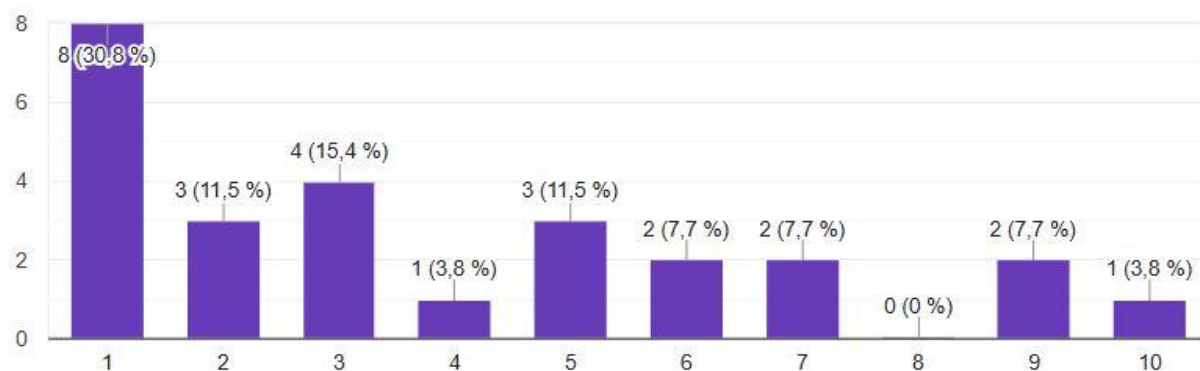


A noter sur l'impact financier, il faut prendre en considération l'âge moyen des patients au moment du diagnostic. Il est plus important chez les patients en activité professionnelle.

Situation financière

[Copier le graphique](#)

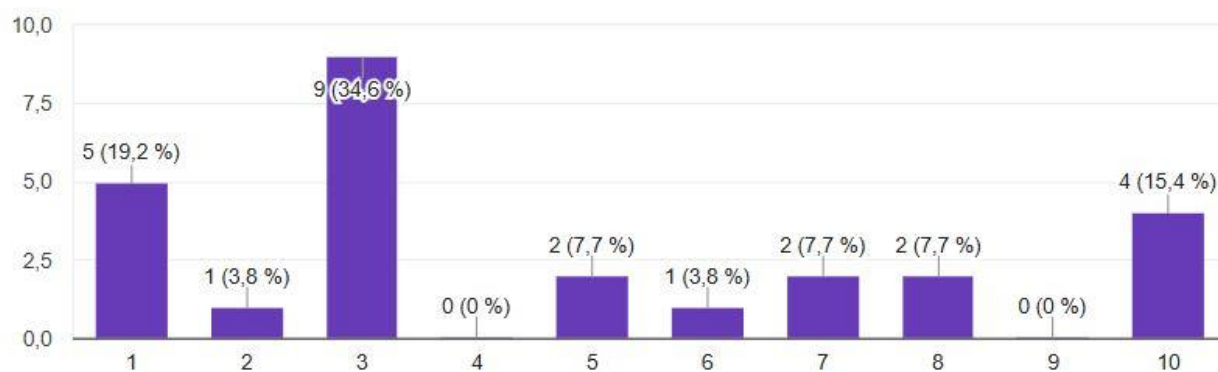
26 réponses



Vie affective

 Copier le graphique

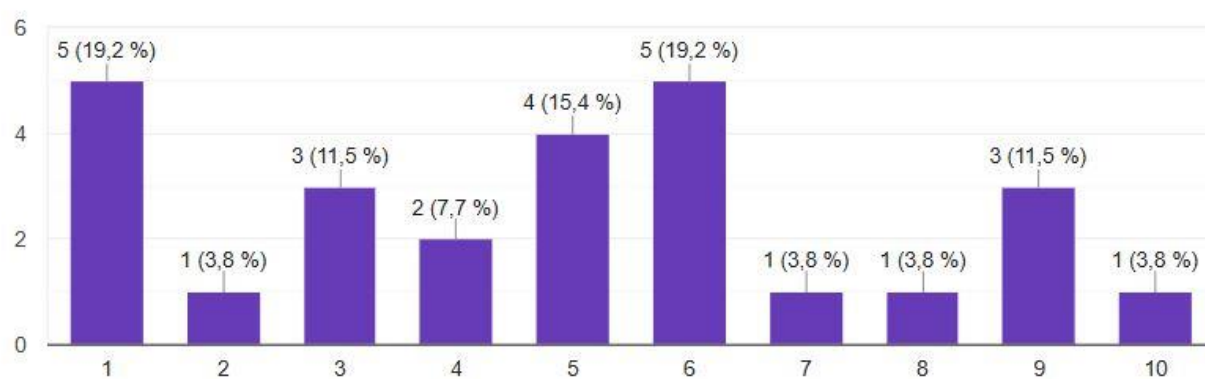
26 réponses



Vie sociale

 Copier le graphique

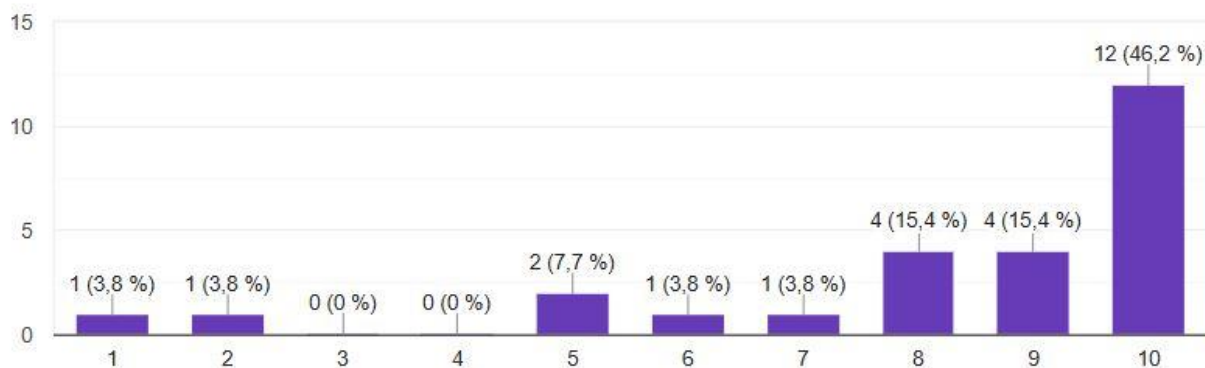
26 réponses



Vie sexuelle

[Copier le graphique](#)

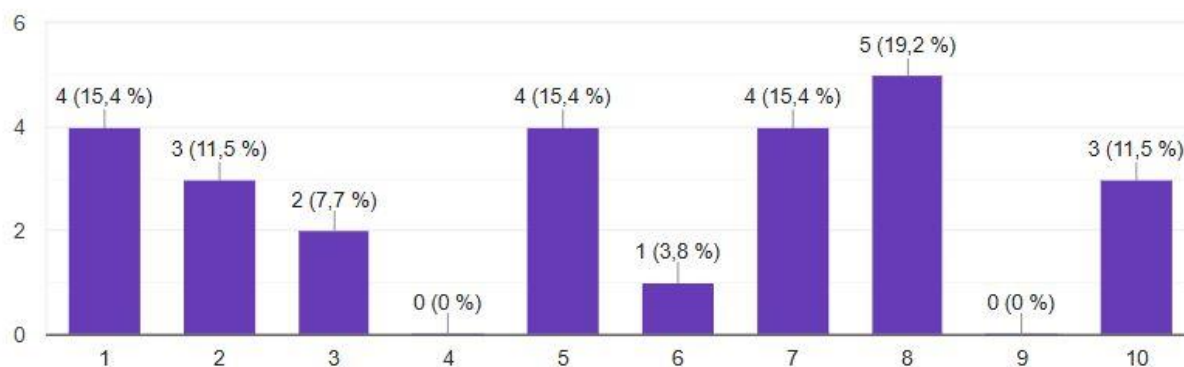
26 réponses



Douleur

[Copier le graphique](#)

26 réponses



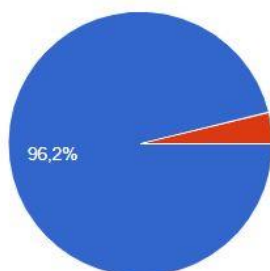
Voici quelques caractéristiques des répondants à notre enquête :

Ce questionnaire s'adresse aux patients atteints d'une tumeur de vessie infiltrant le muscle TVIM (et leurs proches-aidants), ayant reçu une chimiothérapie pré-opératoire (Gem/Cis ou MVAC) suivi d'une cystectomie radicale (ablation de la vessie).

[Copier le graphique](#)

Que vous ayez reçu le Durvalumab aussi dans le cadre de l'essai Niagara, ou pas, et quel que soit votre pays de résidence ou stade actuel de la maladie, vous pouvez répondre à ce questionnaire, si vous avez été dans le cas décrit ci-dessus.

26 réponses

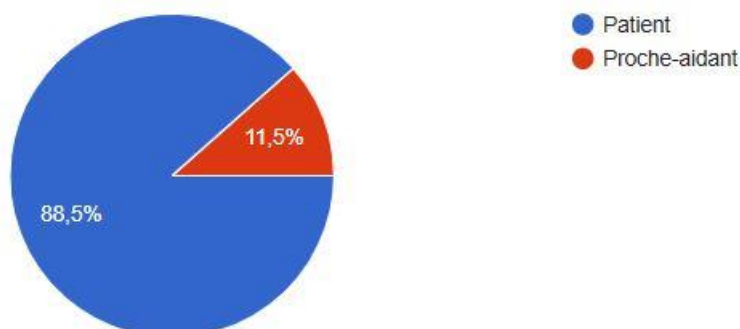


- Oui, j'ai eu une TVIM avec chimiothérapie pré-opératoire + cystectomie (ou mon proche l'a reçu) - je remplis les sections 1-2-3 uniquement
- Oui, j'ai eu un TVIM avec chimiothérapie pré-opératoire + cystectomie + Durvalumab - Etude Niagara (ou mon proche l'a eu) - je remplis toutes les s...
- Non, je n'ai pas eu de chimiothérapie pré-opératoire + cystectomie (je ne réponds pas à ce questionnaire)

Répondez-vous en tant que patient, ou en tant que proche-aidant ?

[Copier le graphique](#)

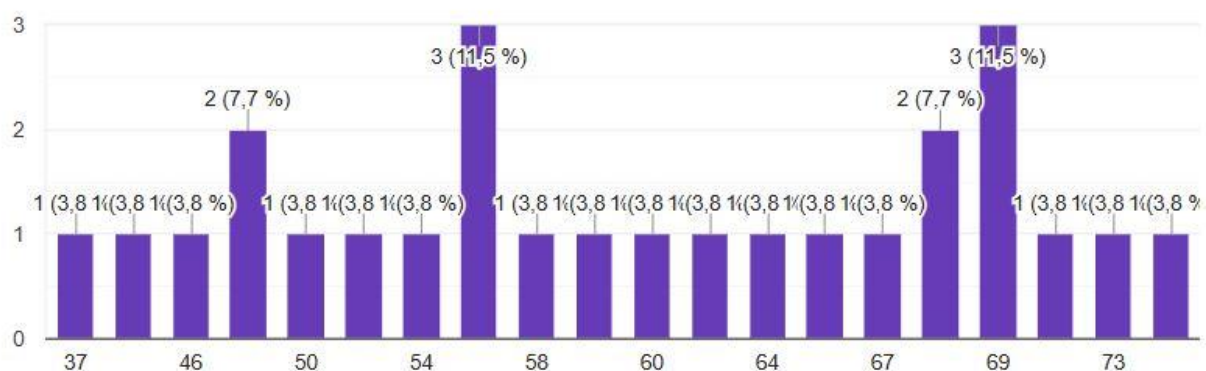
26 réponses



Quel était l'âge du patient au moment de recevoir ces traitements ?

[Copier le graphique](#)

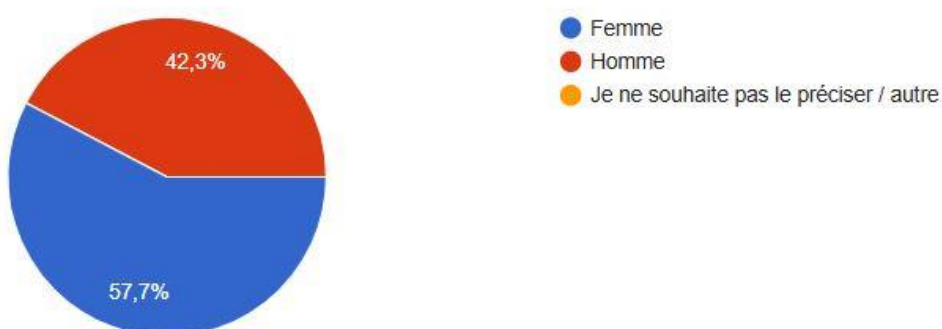
26 réponses



Quel est le sexe du patient

[Copier le graphique](#)

26 réponses



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 ?

X Non

☐ Oui, lesquels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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 ?

Les TVIM ont également un très fort impact sur les proches, notamment sur les conjoints des patients.

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)



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.

Actuellement en France, le traitement de référence est la chimiothérapie néo-adjuvante à base de sels de platine (ddMVAC principalement, parfois Gem-Cis), suivi de l'ablation de la vessie. Une minorité de patients peuvent avoir recours à la thérapie tri-modale (RTUV + chimio/radiothérapie).

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Efficacité. Potentiellement curatif pour un peu plus de la moitié des patients (57% de survie globale à 5 ans tous stades confondus).

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Effets secondaires lourds de la chimiothérapie, avec le potentiel pour des dommages sévères aux reins, ainsi que des neuropathies durables. La tolérance du ddMVAC est moins bonne que pour la Gem-Cis. Aspect mutilant de la cystectomie, et son impact sur la sexualité, aussi bien chez les femmes que chez les hommes. **Environ 50% des patients auront une récurrence et une progression de la maladie, malgré les traitements lourds initiaux.** La survie des patients métastatiques

reste très limitée, à quelques années au mieux, d'où l'importance d'améliorer l'efficacité du traitement initial chez les patients opérables au stades TVIM.

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

Les traitements de référence sont efficaces au long terme chez seulement la moitié des patients environ, il y a donc un besoin non rempli pour la moitié des patients qui ne répondent pas/plus aux traitements de référence, et pour qui le pronostic peut être très sombre.

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 nous semble adéquat, et en accord avec les résultats de NIAGARA.

On regrette qu'il n'y ait pas de données et d'évaluation de durvalumab en périopératoire chez les patients sous ddMVAC.

Ça pose la question de l'indication chez les T2 parce que le traitement évalué ne fait à priori pas mieux que les T2 sous ddMVAC dans l'étude Vesper.



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.

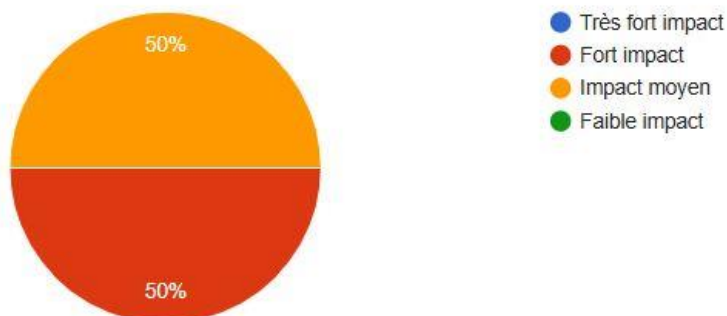
2 patients ayant une expérience du traitement évalué ont répondu à notre enquête.

Ils ont été peu prolixes... ce petit échantillon ne nous permet pas de partager des éléments significatifs. L'un a mentionné qu'il était en rémission, mais a signalé des effets secondaires visuels gênants, et l'autre a mentionné des démangeaisons et perte de sensibilité au niveau des pieds.

Comment décriez-vous l'impact des effets secondaires de Durvalumab sur votre vie quotidienne ?

 Copier le graphique

2 réponses

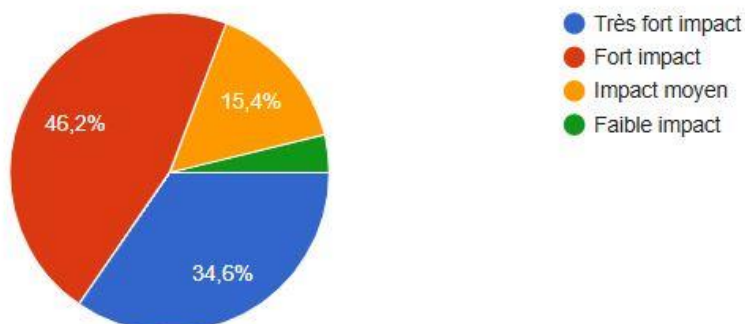


A comparer aux réponses de l'impact de la chimiothérapie :

Comment décririez-vous l'impact des effets secondaires de la chimiothérapie sur votre vie quotidienne ?

 Copier le graphique

26 réponses



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 ?

Ce petit échantillon ne nous permet pas de partager des éléments significatifs, on ne peut que se baser sur les résultats de Niagara. On peut tout de même commenter la longue durée du traitement en adjuvant qui, nous le supposons, doit être assez lourd à gérer dans le temps pour les patients.

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 ?

Une amélioration significative de la durée de vie et de la durée sans progression / récurrence de la maladie.

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 ?

Induire des effets secondaires supplémentaires en plus des effets secondaires de la chimiothérapie.
Question qu'on se pose : est-ce que ce protocole pourrait impacter l'efficacité d'une future immuno-thérapie ou autre thérapie en cas de récurrence/progression ?

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 ?

Les TVIM ont un fort impact dans plusieurs domaines de la vie des patients (*fatigue physique et intellectuelle, activités de la vie quotidienne, vie professionnelle, vie sexuelle, et douleur*) et la possibilité de progression de la maladie est importante.

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

Les traitements de référence sont efficaces pour seulement la moitié des patients environ.

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).*

Il s'agit principalement de la prolongation de la vie des patients, et de la réduction de la progression de la maladie vers des stades plus graves, comme démontré par les résultats de NIAGARA, pour les patients traités avec Gem-Cis.

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

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

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 ?

Données sur les effets secondaires tels que la fatigue, la vue, les démangeaisons, la perte de sensibilité au niveau des pieds, etc. Données sur le ressenti du patient sur sa qualité de vie.

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. ?)

Variable selon le profil du patient, probablement avec l'aide du personnel soignant à chaque visite à l'hôpital, mais en leur remettant quand même un livret de suivi à remplir eux-mêmes à domicile (ou une appli téléphone ou similaire)

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



La soumission d'un « protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données » (PUT-RD) est une obligation légale pour le laboratoire pharmaceutique qui soumet une demande d'accès précoce. Ces données d'utilisation vont renforcer les connaissances sur le médicament en pratique clinique habituelle.

Le PUT-RD a notamment pour vocation la collecte de données et la surveillance des patients ; il doit mentionner ce qui sera collecté à cette fin³.

³ Également appelées « variables d'intérêt »



Le PUT-RD n'est pas publié sur notre site. La HAS peut décider de le transmettre tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients constitués en personne morale.

Si vous souhaitez consulter ce document pour le commenter dans cette rubrique, merci de nous adresser un mail de demande à contact.contribution@has-sante.fr. La consultation du document est soumise à la signature d'un engagement de confidentialité, et ne sera approuvée que pour les associations constituées en entité morale. La transmission du document se fait en général sous 72h.

Avez-vous consulté le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?

☒ Oui

☐ Non

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

Non, malheureusement nous n'avons pas eu le temps d'étudier le PUT-RD, en raison des contraintes du bénévolat.

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

Si oui, quelles sont les coordonnées de la personne référente ?

Nom – Prénom :

Adresse mail :

Téléphone :

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'enjeu actuel des TVIM est d'améliorer le pronostic des formes opérables (traitement + facteurs pronostic). Ce dossier s'inscrit dans cet enjeu. Mais bien qu'il ne nous appartienne pas de juger la dimension scientifique de l'essai NIAGARA, nous tenons à signaler que la chimiothérapie de référence en France est plutôt ddMVAC 4 cures que GEM CIS 4 cures. Mais sachant que VESPER a surtout inclus des T2, que les pratiques diffèrent, que le bénéfice sur les T3 et T4 opérables a été moins documenté dans VESPER, ce traitement a toute sa place pour ces patients notamment ceux qui ne pourraient pas recevoir le ddMVAC. Il est à noter que le ddMVAC est souvent mal toléré et les patients ne peuvent pas recevoir le nombre de cycles recommandé en raison des toxicités.

Il nous semble essentiel que le suivi et l'apport effectif de ce traitement en termes de survie globale et spécifique soit bien documentés.

Il n'y a pas d'éléments spécifiques concernant la qualité de vie, les résultats actuels de l'étude laissant entendre que les effets indésirables graves ne sont pas plus fréquents. Ce point reste cependant à confirmer.

Enfin, une attention particulière doit être portée à la capacité des équipes soignantes à mettre en œuvre ce traitement dans des conditions permettant le recueil de l'ensemble des éléments nécessaires à son évaluation. Aussi, pour garantir l'accès aux soins de l'ensemble des patients susceptibles d'en bénéficier, une exigence particulière doit être portée sur la nécessité d'un travail en réseau autour d'une équipe de référence pilotant le traitement.

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 ?

En utilisant des éléments de notre enquête auprès de nos membres, ainsi que nos connaissances de la maladie et des traitements.

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

Enquête auprès de nos membres, à l'aide d'un google forms avec réponses anonymes

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

Lori CIREFICE (Présidente de l'association, traductrice), et Nathalie RIAL (patiente et membre de l'association, précédemment MISP rattachée à l'ARS, actuellement en congé maladie longue durée – sans activité professionnel et sans conflit d'intérêt vis-à-vis du fabricant)

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures pour soutenir sa contribution ? Si oui, lesquelles ?

Échanges avec différents urologues et oncologues pour comprendre les enjeux des résultats de NIAGARA.

Pouvez-vous nous donner une estimation du temps qui a été nécessaire pour rédiger cette contribution ?

24h

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

Non – à part le manque de temps lié aux contraintes du bénévole

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

