
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	9
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	10
1.3. Le médicament évalué	11
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)	12
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	12
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	12
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	13
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	14
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	14
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	15
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	16
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	16
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	18
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	19
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	20
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	21

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) :

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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

Déclarée en date du : 14 février 2018

Nombre de salariés : 0

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,...



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.

- 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
2021	Lions Club Annonay	12 000	69,11%
2021	Sky Consulting Enquête	300	1,72%
2021	Cotisations 101 adhérents	1 010	5,81%
2021	Don adhérents	1 851	10,61%
2022	Adhésions X 80	800	3,70%
2022	Dons adhérents	7 000	32,50%
2022	Dons non adhérents	1 930	8,69%
2022	Lions Club Annonay	7 000	32,50%
2022	AMGEN site internet	4 650	21,6%
2022	IPSOS	150	0,70%
2023	Adhésions et Dons individuels :		
	Particuliers	5 283	
	Association Aventure	1 900	
	CHU Clermont-Ferrand	500	
	Lions Club Annonay	5 000	
	Sous-Total	12 683	54,83%
2023	Dons d'entreprise		
	GSK	8 000	
	Astra Zeneca	1 950	
	Abeline	500	
	Sous Total	10 450	45,17%
2023	Total	23 133	
2024	En cours		

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

RYBREVANT.

Dénomination commune internationale (DCI) :

AMIVANTAMAB

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

« En association au carboplatine et au pemetrexed en première ligne de traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC) avancé avec mutations activatrices du récepteur du facteur de croissance épidermique (EGFR) par insertion dans l'exon 20, pour les patients non opérables »

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 de renouvellement d'accès précoce post-AMM

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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 ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

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



Les insertions de l'exon 20 du gène EGFR sont des anomalies moléculaires rares qui représentent 10% des mutations EGFR et s'observent donc chez 1 à 2 % des patients présentant un cancer bronchique non à petites cellules, principalement chez les patients atteints d'un adénocarcinome. Il s'agit essentiellement de non ou petits fumeurs.

Elles sont systématiquement recherchées au diagnostic initial par NGS sur les plateformes de biologie moléculaire.

Ces anomalies sont insensibles aux inhibiteurs de tyrosine kinase habituellement utilisés chez les patients avec mutations activatrices d'EGFR, même ceux de troisième génération tels que l'osimertinib. Les inhibiteurs spécifiques de ces insertions comme le mobocertinib et le poziotinib ne sont plus disponibles et ont été abandonnés en raison d'une efficacité insuffisante et de toxicités importantes en particulier digestive.

Jusqu'à présent, le traitement de référence en première ligne était la chimiothérapie associant un sel de platine et le pemetrexed. L'ajout d'une immunothérapie anti-PD-1 ou anti-PD-L1 n'apporte pas d'efficacité supplémentaire.

En seconde ligne, l'amivantamab a démontré une efficacité en monothérapie après

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.

échec d'une chimiothérapie (essai CHRYSALIS) ce qui lui a permis d'obtenir une AMM, une ATU puis un accès précoce.

L'amivantamab associé à la chimiothérapie par carboplatine-pemetrexed bénéficie depuis le 21 mars 2024 d'un accès précoce pré-AMM en traitement de première ligne chez ces patients suite aux résultats de l'essai PAPILLON publié dans le NEJM en 2023. Dans cet essai randomisé de phase III, l'association carboplatine-pemetrexed-amivantamab a montré un bénéfice très significatif en termes de survie sans progression par rapport à la chimiothérapie seule avec un HR de 0,40.

A l'inverse l'essai randomisé de phase III EXCLAIM-2, comparant le mobocertinib à la chimiothérapie en première ligne chez le même type de patients, publié récemment dans le JCO, est négatif.

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

Le cancer du poumon est une maladie grave. Le taux de survie à 5 ans tous stades confondus est de 20%. Il est la première cause de mortalité par cancer en France. 60% des cas sont diagnostiqués à un stade métastatique, donc à priori incurable. Parmi ceux-ci 15 à 30% présentent une anomalie moléculaire ciblable

Malgré des progrès thérapeutiques significatifs ces dernières années, le pronostic reste mauvais et le retentissement sur la vie personnelle et les proches est majeur.

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.

Chimiothérapie à base de platine

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Efficacité modeste

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Rapport efficacité/tolérance modeste

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

Par rapport aux patients présentant une mutation activatrice d'EGFR (exon 19 et 21), ceux présentant une insertion dans l'exon 20 ne bénéficient pas jusqu'à présent d'avancée thérapeutique

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.

OUI



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.

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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 ?

Augmentation de la toxicité par rapport à la chimiothérapie seule avec en particulier une toxicité cutanée importante mais gérable

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 ?

Augmentation du taux de réponse au traitement et de la survie globale

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 ?

Toxicité plus importante.

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 ?

Cancer du poumon :

- Première cause de mortalité par cancer,
- 60% des cas au stade métastatique au diagnostic initial, donc à priori incurables,
- Retentissement majeur sur la vie personnelle et les proches.

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

La chimiothérapie conventionnelle donne des résultats modestes : médiane de survie sans progression à 6,7 mois dans l'étude PAPILLON et à 18 mois seulement 3% de patients sans progression tumorale dans le groupe chimio seule.

Nécessité absolue d'avoir de meilleurs traitements dans cette situation.

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).*

L'amivantamab fait partie des traitements innovants :

- c'est un anticorps monoclonal bispécifique anti EGFR et anti MET,
- ce type d'anticorps est en plein développement actuellement en cancérologie,
- le mode d'action est original,
- il est possible de l'associer à la chimiothérapie.

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 médi-*

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

cament 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 effets secondaires

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. ?)

Outils connectés de surveillance à domicile

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 connais-

sances 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

X Non

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

NON

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'usagers 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.

La découverte des mutations activatrices du gène EGFR en 2004 a été une révolution en oncologie thoracique et a permis de proposer à ces patients des thérapeutiques plus efficaces que la chimiothérapie conventionnelle et d'allonger leur durée de vie tout en préservant leur qualité de vie. Malheureusement ces patients restent incurables en raison de l'apparition inéluctable de mécanismes de résistance.

Les insertions de l'exon 20 sont connues depuis plusieurs années grâce au développement du NGS mais ne permettaient pas jusqu'à présent d'accéder à une thérapeutique spécifique plus efficace que la chimiothérapie.

L'arrivée de l'amivantamab est une véritable avancée pour ces patients, même si la tolérance est loin d'être bonne. Son utilisation en première ligne en association avec la chimiothérapie permet de traiter d'emblée tous les patients, alors qu'en seconde ligne, ce ne sont pas tous les patients qui peuvent le recevoir (patients très altérés après chimio, voire déjà décédés,...)

Il y a aujourd'hui suffisamment d'arguments pour que ce médicament puisse continuer d'être utilisé en première ligne chez ces patients et qu'il puisse obtenir un remboursement dans cette indication.

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 ?

Littérature, expérience personnelle, référentiel AURA

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

Expérience personnelle sur l'utilisation du produit

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

Aucune en dehors du rédacteur

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

Aucune

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

2 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

