
QUESTIONNAIRE

Questionnaire pour la contribution des associations d'usagers

Évaluation d'un médicament en vue
du remboursement et/ou pour
une demande d'autorisation d'accès
précoce

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

Mise à jour 12 juillet 2023

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
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	11
1.3. Le médicament évalué	12
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	13
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	15
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	15
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	15
1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation	15
2. Questionnaire – Partie B (Dossiers accès précoces uniquement)	16
2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce	16
2.2. Votre position sur les données à recueillir par les patients au cas où l'accès précoce au médicament serait accordé	17
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	18
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	18
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	19
4. Partie D : Synthèse	20
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	22
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	23

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 Française des Malades du Myélome Multiple (AF3M)

Site internet : <https://www.af3m.org/>

Adresse postale (le cas échéant) :

30, Rue Pasquier - 75008 Paris

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 :

L'AF3M est adhérente à l'Association des Maladies Rares (AMR) depuis 2011.

L'AF3M est représentée au sein de Myeloma Patients Europe (MPE).

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

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) : **460.500 €**
- Budget total de l'association pour l'année (N-2) : **489.000 €**
- Budget total de l'association pour l'année passée (N-1) : **507.500 €**
- Budget total de l'association pour l'année en cours (N) : **510.000 €**

Tableau 1 : Sources de financement

Année	Organisation	Montant (euros)	Pourcentage du budget pour l'année concernée
2024	Subventions Industrie pharmaceutique	263.500 €	52 %
	Subventions institutions	8.500 €	2 %
	Dons/cotisations	210.000 €	41 %
	Autres produits	28.000 €	5 %
2023	Subventions Industrie pharmaceutique	285.500 €	56 %
	Subventions institutions	3.000 €	1 %
	Dons/cotisations	200.000 €	39 %
	Autres produits	19.000 €	4 %
2022	Subventions Industrie pharmaceutique	275.000 €	56 %
	Subventions institutions	5.000 €	1 %
	Dons/cotisations	170.000 €	35 %
	Autres produits	39.000 €	8 %
2021	Subventions Industrie pharmaceutique	267.500 €	58 %
	Subventions institutions	7.000 €	2 %
	Dons/cotisations	142.000 €	31 %
	Autres produits dont Legs	44.400 €	9 %

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial : CARVYKTI (N° interne : CT-21250)

Dénomination commune internationale (DCI) : Ciltacabtagène autoleucel

Demande : Nouveau médicament

Indications :

Traitement des patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire, ayant reçu au moins un traitement antérieur, incluant un agent immunomodulateur et un inhibiteur du protéasome.

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

☐ Première demande d'autorisation 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



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 ?

Le myélome multiple est une forme de cancer rare qui provoque des bouleversements importants en termes de qualité de vie aussi bien pour le malade que pour ses proches, notamment pour ceux qui sont confrontés à des formes agressives de myélome, des malades concernés par le présent dossier.

Une catégorie de malades pour lesquels une étude récente a montré que les malades concernés sont âgés de 58 ans, en moyenne au diagnostic, versus 70 ans pour l'ensemble des malades, n'ont bénéficié que de courtes périodes de rémission avant de devenir triple réfractaire aux traitements standards autorisés : 4,3 ans en moyenne entre la 1^{ère} et 2^{ème} ligne de traitement, 1,8 ans entre la 2^{ème} et 3^{ème}, 3,3 ans entre la 3^{ème} et la 4^{ème}.

Une situation qui fait que l'AF3M a pris l'initiative depuis 2013, de faire réaliser par une société d'études indépendante, sans faire appel à des financements externes, une enquête qui vise à mieux connaître, mesurer au travers de critères reconnus, le vécu et l'expérience des malades du myélome.

A noter que pour les deux dernières enquêtes réalisées en 2021 et 2023, il a été retenu d'élargir le champ de cette enquête aux aidants, qu'une nouvelle enquête va être engagée en 2025.

La dernière enquête a été réalisée du 05/07/2023 au 01/08/2023 auprès de 481 malades et 70 proches via notamment des questionnaires envoyés aux adhérents et contacts de l'AF3M.

L'âge moyen des répondants est de 64,8 ans pour les malades, 63,8 ans pour les proches.

Plus en détail, il en ressort que :

- Un peu plus de 3 malades sur 5 vivent en couple (63% soit 304 malades sur 481).
- Plus des 2/3 ont réalisé des études supérieures (69% soit 332 malades sur 481) (contre un peu moins d'un quart dans la population générale - 24%).
- Seuls un malade sur cinq réside dans une métropole (100 000 habitants ou plus) (22% soit 108 malades sur 481) contre 47% pour la population générale.
- Plus de la moitié des répondants sont adhérents à l'AF3M (59% soit 285 malades sur 481).
- Un quart des malades sont actuellement en rémission sans traitement d'entretien (25% soit 119 malades sur 481).

Pour les malades qui suivent un traitement :

- Un peu plus d'un quart sont actuellement en rémission avec un traitement d'entretien (28% soit 137 malades sur 481).
- Un peu plus de 2 malades sur 5 déclarent être actuellement traités pour le Myélome (41% soit 199 malades sur 481).

Parmi les 336 personnes actuellement en traitement (y compris avec un traitement d'entretien) soit 137 malades en rémission avec un traitement auxquelles s'ajoutent les 199 personnes actuellement traitées :

- Pour plus de la moitié de ces malades (54% soit 183 malades en traitement sur 336) il s'agit d'un traitement de 1ère ligne.
- Pour moins de la moitié de ces malades (42% soit 142 malades en traitement sur 336) il s'agit du traitement d'une rechute.

En résumé, concernant l'impact du myélome multiple et bien que la qualité de vie et le niveau de moral des malades mesurés soient en amélioration, versus l'enquête de 2021, il ressort notamment que la fatigue est au cœur du quotidien des malades du myélome.

Un malade sur deux (50% soit 239 malades sur 481) évoque spontanément la fatigue comme l'élément marquant de la vie avec le myélome, loin devant les difficultés psychologiques qui sont citées par plus d'un tiers des malades (36% soit 171 malades sur 481).

Les malades expriment également dans leurs réponses :

- Pour près de 9 malades sur 10 : des difficultés d'ordre physique (87% soit 420 malades sur 481)
- Pour 3 malades sur 5 : des douleurs neuropathiques (60% soit 288 malades sur 481).
- Et pour un peu plus d'un malade sur deux : des difficultés d'ordre psychologique et social (lassitude, sentiment d'isolement, stress, anxiété) ... (54% soit 258 malades sur 481).
- Près de la moitié ont exprimé des difficultés dans leur couple, (par exemple : baisse du désir, problèmes sexuels, infertilité ...) (47% soit 227 malades sur 481), un sujet qui est très peu abordé avec l'équipe soignante.
- Enfin, un malade sur 10 (11%) a exprimé être confronté à des difficultés professionnelles et financières.

Le rapport complet de cette étude réalisée en 2023, qui va être actualisée en 2025, est accessible à partir du lien suivant :

<https://www.af3m.org/uploads/PDF/Enquetes/BAROMETRE%2520AF3M%25202023%2520version%2520complete.pdf>

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 ?

Le baromètre AF3M visant à évaluer le vécu et l'expérience des malades du myélome et de leurs aidants constitue de notre point de vue un recueil de données sur la qualité de vie des malades du myélome, qui est de nature à éclairer les dossiers d'accès précoce ou d'évaluation présentés pour avis à la commission de transparence. A noter, que le questionnaire mis en œuvre ainsi que les résultats des différentes vagues d'enquêtes sont analysés par le Comité Scientifique de l'AF3M, un comité pluridisciplinaire regroupant des hématologues, spécialiste de la douleur, néphrologue, psychologue.

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*

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.

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

Comme déjà évoqué, les deux dernières enquêtes réalisées par l'AF3M, en 2021 et 2023, ont été élargies aux aidants et proches des malades du myélome.

Il en ressort que les aidants sont également très impactés tant physiquement que psychologiquement par le myélome multiple de leur proche.

Plus en détail, l'enquête de 2023 a mis en évidence que les proches ou aidants :

- Se sentent peu soutenus par les équipes soignantes ... Que ce soit au niveau des informations communiquées sur la maladie ou sur les traitements mais également au niveau du soutien moral.
- Tout en se sentant utile au travers du réconfort apporté aux malades, ils expriment plus de ressentis négatifs que positifs, notamment des sentiments d'anxiété, d'impuissance, de peur face à la maladie de leur proche.

Il en ressort que les impacts de la maladie vus par les proches sont très importants, sans être exhaustif :

- 53% ont exprimé faire face à des difficultés sociales et professionnelles,
- 30% ont exprimé des ressentis de nature à avoir un impact sur leur santé psychique,
- Alors que seuls 16% ont exprimé des ressentis positifs.

Enfin, les proches et aidants comme les malades ont exprimé vivre des difficultés dans leur couple.

Au global, comme déjà constaté lors de l'enquête de 2021, les proches ou les aidants voient les malades plus abattus par la maladie qu'ils ne le sont réellement, se sentent beaucoup plus anxieux et plus inquiets que ces derniers.

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



Les informations demandées ici sont importantes pour la Commission de la transparence car elle évalue les nouveaux produits comparativement aux options thérapeutiques déjà disponibles. Les avis en vue du remboursement comportent notamment une gradation du progrès thérapeutique apporté par un nouveau médicament au regard des traitements actuellement disponibles ou de la prise en charge habituelle. C'est ce que l'on appelle « l'Amélioration du Service Médical Rendu » (ASMR). L'ASMR comporte cinq niveaux allant de « absente » (ASMR V) à « majeure » (ASMR I).



Merci de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le produit évalué (même maladie, même âge, même objectif, traitement donné au même stade d'évolution, par exemple en première intention ou après échec d'un autre traitement, etc.).

Donner une brève description de ces traitements, de leurs avantages et inconvénients, et de leur impact sur la qualité de vie (effets bénéfiques ou indésirables, facilité ou difficulté d'usage) et sur le parcours de soins du patient (hospitalisation, déplacements hors du domicile, fréquence des bilans liés au suivi du traitement,

etc...).

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

Il est important de rappeler que pour le myélome multiple, malgré les nombreux nouveaux médicaments de la classe des inhibiteurs du protéasome, des Imid et des anticorps monoclonaux anti CD38 autorisés ces dernières années, il n'existe pas à ce stade de traitement standard curatif.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Le principal avantage des traitements disponibles, notamment depuis l'introduction des anticorps monoclonaux CD38, de la possibilité d'en prescrire dès la première ligne de traitement depuis 2021 en association avec trois autres médicaments : un inhibiteur du protéasome, un Imid et de la dexaméthasone, est qu'une majorité de malades bénéficie de périodes de rémission sans traitement significatives, ce qui est un réel progrès eu égard à ce qui était observé au début des années 2000.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Le principal inconvénient des traitements standards actuellement autorisés et pris en charge est que ceux-ci ne sont plus ou pas efficaces, dès la seconde ou troisième ligne de traitement, pour les malades positionnés à haut risque lors du diagnostic, des malades confrontés à un myélome agressif.

Selon les estimations de l'Intergroupe Francophone du Myélome (IFM), de l'ordre de 25% des 5000 nouveaux malades diagnostiqués chaque année sont confrontés à ces rechutes précoces, soit plus de 1000 malades concernés chaque année, des malades qui deviennent très rapidement au fil des lignes de traitement, réfractaires aux traitements qui leur sont proposés, sont confrontés à une maladie qui continue à progresser inexorablement.

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

Comme déjà évoqué, pour les malades positionnés à haut risque, réfractaires aux traitements disponibles, leur seule chance de survie à court terme est de pouvoir accéder aux nouveaux traitements regroupés sous le vocable de l'immunothérapie : les CAR T ou les anticorps monoclonaux bispécifiques anti BCMA, notamment au CART CARVYKTI objet de la présente évaluation.

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 nous semble adéquat, dans la mesure où il vise à permettre aux patients adultes atteints d'un myélome multiple en rechute et réfractaire, ayant reçu au moins un traitement antérieur (traitement de 1^{ère} ligne après le diagnostic), incluant un agent immunomodulateur et un inhibiteur du protéasome de bénéficier de ce traitement innovant par CAR T.



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.

Au-delà des éléments repris dans la contribution de l'AF3M présentée à l'occasion du dossier d'Accès Précoce du CART CARVYKTI, dossier qui a fait l'objet d'une décision positive en date du 23 juin 2022, mais accès précoce non mis en œuvre ensuite, l'AF3M n'a pas manqué de prendre connaissance avec satisfaction des résultats récents de l'essai de phase 3 CARTITUDE 4.

Des résultats qui viennent d'être publiés à l'occasion du congrès annuel de l'ASH de décembre 2024, des résultats qui mettent en évidence des progrès significatifs pour les malades qui ont bénéficié du CARVYKTI, et bien même que pour l'AF3M il apparaît prématuré d'affirmer qu'avec les traitements innovants (CART ou bispécifiques), il est possible pour une majorité de malades de guérir d'un myélome.

Pour mémoire, cet essai a inclus 419 malades réfractaires au lenalidomine dès la première rechute, confrontés à une rechute de rang 1 à 4. 34 malades français suivis dans 6 centres (1) ont été inclus dans cet essai. L'âge moyen des malades inclus était de 61,5 ans (27 – 78 ans), 1/3 des patients étaient confrontés à une première rechute, 15 étaient triple réfractaires et 66% positionnés avec un myélome de haut risque.

(1) Lille, Lyon, Nantes, Paris, Poitiers et Toulouse.

208 malades dont 20 malades français ont bénéficié du CART CARVYKTI, tandis que les 211 autres du bras contrôle ont bénéficié d'un traitement Pomalidomide Velcade dexaméthasone (PVd) ou Dara Pomalidomide dexaméthasone (DPd).

Les malades ayant bénéficié de CARVYKTI ont bénéficié dans l'attente de recevoir leur CART, d'un traitement « bridge » de type PVd ou DPd.

Les résultats publiés font apparaître de nombreux bénéfices pour les malades ayant bénéficié du CART CARVYKTI :

- Une MRD atteinte à 10⁻⁶ pour 85,6% versus 18,6% pour le bras contrôle.
- Une survie avant nouvelle progression de la maladie à 30 mois de 59% versus 26%, avec une médiane non atteinte pour le bras CART.
- Une survie globale à 34 mois de 76% versus 64%, ce qui est un bénéfice significatif, mais montre pour autant qu'en 2025 l'on ne peut mentionner, garantir aux malades qui bénéficient de ce traitement innovant qu'ils vont guérir de leur myélome.

D'autre part, il apparaît au vu des résultats présentés que les effets indésirables, notamment les CRS, neurotoxicité du CART CARVYKTI sont aujourd'hui bien maîtrisés par les équipes médicales.

Avec à la clé, une qualité de vie meilleure pour les patients ayant bénéficié du CARVYKTI, notamment en termes de fatigue et de douleurs ressenties, avec en sus la possibilité de retrouver rapidement pour les malades bon répondeurs une vie normale, eu égard au fait qu'avec un traitement à base de CART, il n'est pas prévu de traitement de consolidation, ni d'entretien sur plusieurs années.

Pour illustrer ce bénéfice essentiel pour les malades, nous vous proposons de prendre connaissance du témoignage d'une patiente française ayant participé à cet essai.

J'ai été diagnostiquée en janvier 2020, j'ai bénéficié d'une auto-greffe en juin 2020 qui n'a pas fait baisser le pic monoclonal. Expérience difficile car la chimiothérapie qui précède la greffe entraîne beaucoup de souffrances, tant physiques que psychologiques.

Suite à cet échec, on m'a proposé de participer à un essai thérapeutique par Car-t-Cell, thérapie que j'ai reçue en janvier 2022, après 2 mois de préparation.

J'ai été hospitalisée pendant 20 jours, pour surveillance, je n'ai eu aucun effet secondaire indésirable suite à l'infusion pendant l'hospitalisation.

Depuis 3 ans, je vais à l'hôpital chaque mois pour une prise de sang et chaque trimestre pour une consultation, de la surveillance uniquement, le pic monoclonal a disparu.

Je n'ai aucun effet secondaire indésirable suite à cette thérapie, ce qui est très appréciable quand on a connu l'hôpital de jour chaque semaine avec des injections de chimiothérapie, de la cortisone au quotidien et tous les effets secondaires indésirables qui les accompagnent.

Je sais que je ne suis pas guérie, mais cette longue rémission me permet d'avoir une vie normale et même de travailler à mi-temps (à 71 ans).

J'espère que de nombreux malades pourront en bénéficier.

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 ?

Comme évoqué au travers du paragraphe précédent listant les principales améliorations apportées par le CART CARVYKTI, et notamment par le témoignage de la patiente ayant bénéficié de ce traitement, on peut affirmer que ce nouveau traitement ne présente pas par rapport aux traitements standards disponibles, traitements proposés aux malades inclus dans le bras contrôle, d'inconvénients, bien au contraire.

1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?

1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation



Exemples d'attentes (cette liste ne donne que quelques exemples possibles) : moins d'effets secondaire, plus d'efficacité sur un aspect de la maladie, fréquence ou mode d'administration plus confortable, etc.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

1.3.3.2. Vos craintes concernant le médicament étudié dans cette évaluation

Quelles sont les principales craintes concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

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



Cette partie concerne uniquement les demandes d'autorisation d'accès précoce

Si votre contribution concerne un avis en vue du remboursement, merci de passer directement à la partie C « Synthèse ».



La décision d'autoriser ou non l'accès précoce prise par la HAS repose réglementairement sur quatre critères :

- 1. le caractère rare, grave ou invalidant de la maladie traitée par le médicament pour lequel la demande d'autorisation précoce est faite.*
- 2. l'absence de traitement approprié disponible.*
- 3. le caractère présumé innovant du médicament, notamment au regard d'un éventuel comparateur cliniquement pertinent.*
- 4. l'impossibilité de différer le traitement.*

C'est pourquoi nous vous invitons dans cette rubrique à vous positionner sur ces questions.



Vous pouvez utiliser les champs « autres » d'une manière libre pour vous exprimer.

2.1. Votre position concernant les critères de l'autorisation d'accès précoce



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 :

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

- 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).

Quels sont les arguments qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué en vue de valider son accès précoce est invalidante et/ou grave ?

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

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

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 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 ?

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. ?)

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 ?

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

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 ?

4. 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 entendu pas limitative.

Comme déjà mise en avant en 2023, à l'occasion des contributions présentées par l'AF3M dans le cadre de différentes demandes d'accès précoce ou d'évaluation portant sur des nouveaux traitements, les avancées thérapeutiques observées ces dernières années pour le myélome multiple sont considérables, pour autant il existe toujours un nombre significatif de malades pour lesquels les traitements standards actuels, sont peu ou pas efficaces, avec pour ces derniers une espérance de vie très limitée, d'où l'importance pour l'AF3M des développements en cours dans le domaine de l'immunothérapie : CART et anticorps bispécifiques.

Au-delà des éléments repris dans notre contribution présentée à l'occasion du dossier d'Accès Précoce du CART CARVYKTI, dossier qui a fait l'objet d'une décision positive en date du 23 juin 2022, mais accès précoce non mis en œuvre ensuite, l'AF3M n'a pas manqué de prendre connaissance avec satisfaction des résultats récents de l'essai de phase 3 CARTITUDE 4, qui viennent d'être publiés lors de l'ASH de décembre 2024.

Des résultats qui mettent en évidence des progrès significatifs pour les malades qui en ont bénéficié, et bien même que pour l'AF3M, malgré le bénéfice de survie globale mis en avant, il nous semble prématuré de communiquer sur le fait qu'avec les nouveaux traitements disponibles en immunothérapie (CART, bispécifiques), il est possible de guérir d'un myélome.

Pour mémoire, comme déjà présenté, les résultats publiés font apparaître de nombreux bénéfices pour les malades ayant bénéficié du CART CARVYKTI :

- Une MRD atteinte à 10⁻⁶ pour 85,6% versus 18,6%
- Une survie avant nouvelle progression de la maladie à 30 mois de 59% versus 26%, avec une médiane non atteinte pour le bras CART.
- Une survie globale à 34 mois de 76% versus 64%, ce qui est un bénéfice significatif, mais montre pour l'AF3M qu'en 2025 l'on ne peut mentionner, garantir aux malades qu'ils vont guérir de leur myélome.

D'autre part, il apparaît que les effets indésirables, notamment les CRS, neurotoxicité du CART CARVYKTI sont aujourd'hui bien maîtrisés par les équipes médicales.

Avec à la clé, une qualité de vie meilleure pour les patients ayant bénéficié de ce traitement innovant, notamment en termes de fatigue et de douleurs ressenties, avec en sus la possibilité de retrouver rapidement pour les malades bon répondants une vie normale, eu égard au fait qu'avec ce traitement à base de CART, il n'est pas prévu de traitement de consolidation, ni d'entretien sur plusieurs années.

Des résultats qui pour l'AF3M montrent que le CART CARVYKTI apporte pour les malades du myélome réfractaires aux traitements standards disponibles, un espoir de survie inespéré, donc présente un progrès thérapeutique très significatif.

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.

Nous n'avons pas d'autres remarques à formuler.

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 ?

Ce questionnaire a été complété en s'appuyant essentiellement sur :

- Les résultats de l'enquête Af3m 2023 (481 malades et 70 aidants interrogés) conduite par un organisme spécialisé, enquête financée sur les fonds propres de l'Af3m,
- Les communications d'essais rendues publiques.

Par ailleurs, il y a lieu de noter, comme nous avons déjà eu l'occasion de le formuler à l'occasion de la réunion tenue le 17 novembre 2023 à la HAS sur le thème :

COMMENT RENFORCER L'INFORMATION DEVOLUE AUX ASSOCIATIONS EN VUE
D'AMELIORER LA CONTRIBUTION DES ASSOCIATIONS D'USAGERS AUX EVALUATIONS DES
PRODUITS DE SANTE

que la qualité et la complétude de nos contributions ne pourront être renforcées que si les associations de malades disposent d'un accès aux dossiers présentés par les industriels, objet des présentes demandes d'accès précoces ou des évaluations réalisées par la CT.

A minima, nous rappelons que nous souhaitons avoir accès aux données clés, notamment celles concernant les survies avant nouvelle progression de la maladie, les effets indésirables observés durant les traitements, l'évaluation de la qualité de vie des malades ayant bénéficié de ces nouveaux traitements.

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

Pour réaliser le retour d'expérience des patients traités avec le, nous nous sommes appuyés sur les nombreux échanges avec les malades au sein de l'association, sur les réseaux sociaux, sur les discussions au cours des webconférences organisées dans le cadre du projet Af3m « MOOC Myélonet », de la Journée Nationale d'information sur le Myélome (JNM) organisée chaque année dans 27 villes, chaque année courant novembre.

D'autre part, il y a lieu de noter que :

- Le nouveau MOOC Myelonet mis en ligne depuis fin 2022, a été conçu de manière à nous permettre de recueillir plus facilement les témoignages des malades participant à un essai clinique, ou accédant à un traitement objet d'un accès précoce.
- Des réflexions sont en cours en vue déployer dans le cadre de la version 2.0 du programme de soutien et d'accompagnement HéMaVie déployé depuis par CONTINUUM+ depuis début 2023, des solutions associant un accompagnement humain par une infirmière de proximité et la mise à disposition d'un outil permettant de remonter vers les équipes médicales, des données de type« PROMs ». Dans cette perspective, un pilote à destination des malades bénéficiant d'un traitement par bispécifiques est en cours de déploiement.

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

Bernard DELCOUR administrateur, en liaison avec Laurent GILLOT président de l'AF3M.

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 ?

Au-delà du temps nécessaire pour rédiger, relire et valider chaque contribution, de l'ordre de deux à trois jours, il est important de noter que celles-ci nécessitent de mener en amont un travail de veille et de consolidation de données très significatif, pour l'AF3M une charge de travail annuelle assurée par des bénévoles qui peut être estimée à 20 jours d'ETP.

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

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

