

FICHE

Accès précoce aux médicaments

Questionnaire de recueil du point de vue des associations de patients et d'usagers du système de santé

8 juillet 2021

- Ce questionnaire est réservé aux associations et aux groupes d'usagers du système de santé. Les associations peuvent être agréées ou non.
- L'objectif de ce questionnaire est de recueillir le point de vue de ces associations et groupes concernant une demande d'autorisation d'accès précoce déposée par un laboratoire pour un médicament dans une indication spécifique. L'information du dépôt de cette dernière figure dans le tableau de la page « [Contribuer à l'évaluation d'un médicament](#) » sur le site de la HAS, ainsi que le motif du dépôt, l'indication précise et la date limite pour répondre.
- Si vous avez une question au sujet de ce questionnaire, merci de nous contacter à l'adresse contact.contribution@has-sante.fr ou appeler le service Engagement des usagers au 01 55 93 70 00.
- Ce questionnaire une fois rempli doit être adressé à la HAS : accesprecoce.medicament@has-sante.fr. Il est transmis aux membres de la Commission de la Transparence dans son intégralité et sera rendu public sur le site de la HAS (la partie « Informations complémentaires et liens d'intérêts » est publiée selon votre autorisation).
- Ce questionnaire est en cours d'expérimentation – Il pourra faire l'objet de modifications après une phase test de 10 dossiers.

1. Identité de l'association ou du groupe d'usagers du système de santé

Nom complet suivi du sigle*¹ : [Collectif Triplettes Roses]

Adresse du siège* : [188 avenue de Rosenfeld – 77550 Moissy-Cramayel]

Nature de la structure* : [Association loi 1901]

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

[L'association Collectif Triplettes Roses a été créée le 16 décembre 2021 suite au rapprochement de l'association Les Triplettes Roses et le Collectif #MobilisationTriplettes.

Association Les Triplettes Roses : 48 adhérents en 2021

¹ Les critères suivis d'un astérisque sont à remplir obligatoirement.

Collectif #MobilisationTriplettes : était composé de 11 personnes et il comptait environ 3500 abonnés sur les réseaux sociaux fin 2021.

Audition souhaitée:

Oui Non ;

Raison : [Apporter un témoignage terrain]

2. Médicament et indication en vue de l'accès précoce

Nom commercial* : [KEYTRUDA]

Dénomination commune internationale (DCI)* : [Pembrolizumab]

Indication pour la demande d'autorisation en accès précoce :

[Médicament en accès précoce pré-AMM dans le traitement du cancer du sein triple négatif en association à une chimiothérapie comme traitement néo-adjuvant et adjuvant

→ **Avez-vous un commentaire général à apporter sur la population ou l'indication demandée pour cet accès précoce ? Vous semble-t-elle pertinente ?**

[Les femmes atteintes d'un cancer du sein triple négatif ont un pronostic défavorable si la maladie devient métastatique. C'est l'un des cancers les plus difficiles à soigner avec un taux élevé de récurrences. Les patientes ont souvent moins de 40 ans. Elles sont dans la fleur de l'âge autant privée que professionnelle.

Les immunothérapies représentent un réel espoir pour nombre de patients touchés par le cancer du sein triple négatif. Malheureusement, leurs indications sont limitées pour l'heure actuelle aux malades en phase métastatique d'emblée ou en rechute précoce. La nouveauté de ce médicament concerne les femmes touchées par un cancer du sein triple négatif localisé qui ne présente pas de métastases. Une augmentation des chances de faire disparaître la tumeur au stade localisé et améliorer le pronostic de vie de ces patientes.

Pour ces patientes, chaque semaine de perdue pour accéder à l'immunothérapie est une **PERTE DE CHANCE**. Obtenir l'accès précoce au Keytruda est indispensable et représente un espoir pour augmenter les chances de rémission et **réduire les risques de rechutes précoces**.

3. Impact de la maladie sur la personne concernée et ses proches

Il n'est pas utile de rappeler ce qu'est la maladie.

Décrivez ci-dessous les conséquences essentielles de la maladie sur la qualité de vie des personnes concernées ou de leurs proches et les traitements actuels lorsqu'ils existent.

Vous pouvez répondre partiellement aux rubriques concernées.

→ **Quels sont les arguments majeurs qui vous permettraient de dire que la maladie pour laquelle ce médicament est évalué est rare, grave ou invalidante ?**

- Argument 1 : | Cancer agressif qui se soigne difficilement, se développe rapidement et devient résistant aux traitements.
- Argument 2 : | Cancer qui a une lourde tendance à la rechute avec métastases
- Argument 3 : | Traitements invasifs avec des effets secondaires lourds

→ **Quel est l'impact de cette maladie sur la qualité de vie des patients ou de leurs proches ?**

| La vie « s'arrête » et se transforme en combat pour la survie pendant la maladie

– **Fatigue intellectuelle ou physique :**

| Forte fatigue intellectuelle et physique due aux traitements.

– **Chez l'enfant : impact sur la croissance et le développement psychomoteur**

– **Activités de la vie quotidienne :**

- | Activités très réduites du fait de la fatigue et des autres effets secondaires des traitements.
- Concernant la maladie elle-même, elle engendre de la fatigue et de légères douleurs (comme une gêne), ce qui impacte légèrement les activités de la vie quotidienne

– **Mobilité/déplacement :**

| Patiente 1 : Déplacements quasiment impossibles du fait des effets des traitements.

| Patiente 2 : La maladie elle-même n'impacte pas ou peu les déplacements.

– **Vie professionnelle – Capacité de travail – Vie dans la scolarité :**

- | Vie professionnelle impossible du fait des effets des traitements.
- La maladie elle-même perturbe et réduit considérablement la capacité de travail.

– **Vie affective :**

| Vie affective réduite

– **Vie sexuelle :**

| Vie sexuelle inexistante.

– **Vie sociale :**

| Vie sociale réduite

– **Autres aspects :**

| Un fossé se creuse entre les malades (et leurs proches) et l'entourage éloigné

4. Les traitements actuellement disponibles

L'autorisation pour la demande d'accès précoce prendra en compte l'existence ou non de traitements dûment autorisés et dont les objectifs et effets sont équivalents au médicament proposé en accès précoce (disponibilité ou non d'un traitement approprié).

→ Quels sont les traitements actuels (curatifs ou palliatifs) utilisés par les personnes concernées dans l'indication mentionnée pour ce dossier ?

Par exemple, autres médicaments, dispositifs médicaux, rééducation, soins supports, soutien psychologique, etc.

Il convient de décrire principalement les traitements qui ont la même indication que le traitement pour lequel un accès précoce est demandé (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...).

Votre réponse :

[A ce jour aucune immunothérapie n'est disponible en néo-adjuvant et adjuvant, hors essais cliniques. Le seul traitement systémique disponible est la chimiothérapie.

Il existe de rares essais cliniques avec des critères d'éligibilité très restrictifs : très peu de patientes peuvent en bénéficier]

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

- Argument 1 : [Absence de thérapie innovante en néo-adjuvant et adjuvant, comme l'immunothérapie (hors essais cliniques). .
- Argument 2 : [Ce traitement peut aider le système immunitaire à être plus efficace pour détruire les cellules cancéreuses et empêcher le cancer de se propager à d'autres parties du corps. Il favorise une réponse complète aux traitements.
- Argument 3 : [D'après les études, l'association de l'immunothérapie et de la chimiothérapie dans des formes précoces, donne des résultats encourageants.

5. Le médicament étudié en vue d'un remboursement dérogatoire dans le cadre d'une autorisation en accès précoce

Si votre avis s'appuie sur l'expérience de personnes ayant utilisé ce traitement (par exemple, au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur), remplir la rubrique « 5.1. L'expérience avec le médicament étudié » et expliquer la méthode avec laquelle vous avez recueilli cette expérience dans la rubrique « 8. Méthodes. »

Si vous ne connaissez pas de patients ayant utilisé ce traitement, remplir la rubrique « 5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié ».

La Haute Autorité de santé évaluera le caractère innovant, notamment au regard des changements substantiels que cette nouvelle modalité de prise en charge apporte aux patients. Il est important d'identifier ce qui peut constituer du point de vue des personnes un changement substantiel au regard de l'impact de la maladie sur la qualité de vie.

Les catégories suivantes sont proposées à titre indicatif. Il n'est pas nécessaire de les remplir toutes. L'important est de nous signaler les 3 améliorations ou inconvénients majeurs qui peuvent porter sur l'une ou l'autre de ces catégories, par exemple sur :

- *l'état de santé du patient, sa guérison, sa durée de vie si maladie grave*
- *la qualité de vie du patient (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.*

5.1 L'expérience avec le médicament étudié

Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement

Ne remplir cette partie que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

➔ **Quelles sont les 3 améliorations majeures qui vous permettent de dire que le médicament étudié vous semble **innovant** par rapport aux traitements actuels ?**

- Amélioration majeure 1 :

Efficacité sur les cancers résistants

Médicament donné en première intention, avec grand espoir d'efficacité : renforce la confiance dans le traitement et la prise en charge. Amélioration du moral et de la « volonté de se battre

- Amélioration majeure 2 :

Peu d'effets secondaires gênants

Traitement facile à mettre en place, ne nécessite pas de rendez-vous supplémentaires car se fait en même temps que les chimiothérapies.

- Amélioration majeure 3:

Non invasif

Aucun impact sur le quotidien, pas d'effet secondaire constaté.

- Autres améliorations :

Rapidité des effets et durée de son efficacité

Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

Ne remplir que si vous avez pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.2. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ Quels sont les 3 principaux inconvénients constatés avec le médicament étudié identifiés par les patients, notamment par rapport à ceux des traitements actuels ?

- Inconvénient principal 1 :

Fatigue

- Inconvénient principal 2 :

Effets sur la thyroïde (dysfonctionnement)

- Inconvénient principal 3 :

Effets sur la vue (trouble de la vision)

- Autres inconvénients :

|

CRAINTES MAJEURES :

- Peur que le traitement ne fonctionne plus rapidement du jour au lendemain

- Peur que le corps ne supporte plus le traitement

5.2 Vos attentes et vos craintes vis-à-vis du médicament étudié

Vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients ayant utilisé le médicament étudié, mais souhaitez donner votre point de vue sur ce médicament.

5.2.1 Vos attentes pour le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles seraient les 3 améliorations majeures qui vous permettraient de dire que le médicament étudié vous semblerait innovant par rapport aux traitements actuels ?**

- Attente majeure 1 :

|

- Attente majeure 2 :

|

- Attente majeure 3:

|

- Autres attentes :

|

5.2.2. Vos craintes concernant le médicament étudié

Ne remplir que si vous n'avez pas pu recueillir l'expérience de patients, sinon remplir la rubrique 5.1. Vous pouvez vous appuyer sur les catégories précisées plus haut.

→ **Quelles sont les principales craintes que soulignent les patients concernant ce médicament, notamment par rapport aux traitements actuels ?**

- Crainte principale 1 :

|

- Crainte principale 2 :

- Crainte principale 3 :

- Autres craintes :

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

La HAS peut **décider de transmettre le projet de Protocole d'utilisation thérapeutique (sous engagement de confidentialité)** – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors de son dépôt de dossier aux associations **ou groupes d'usagers du système de santé**. Le PUT-RD comprend notamment un questionnaire relatif à la qualité de vie du patient recevant le médicament et qu'il remplit lui-même. Ainsi, pour remplir cette partie, vous pouvez soit donner directement votre point de vue, soit commenter ce qui est proposé.

→ **Quels sont les 3 types d'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 ?**

- **Type d'information 1 :** Douleurs liées à la maladie
- **Type d'information 2 :** Effets secondaires liés au traitement
- **Type d'information 3 :** Qualité de vie au quotidien

→ **Connaissez-vous des questionnaires de recueil de données de santé par les patients ou leurs proches (parfois appelés PROMs²) qui vous semblent adaptés pour cette indication ?**

- Non
- Oui : Lesquels ? Lequel vous semble le plus adapté ? Pourquoi ?

→ **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, combinaison de plusieurs modalités de recueil, etc. ?)**

Recueil avec l'aide d'un soignant à l'hôpital

→ **Avez-vous un avis sur les mesures de gestion des risques qui vous semblent nécessaires et acceptables à prendre pour les patients qui recevront ce médicament ?**

L'accord du patient donné après prise de connaissance du document listant la durée et les effets secondaires possibles du traitement me semble suffisant

² Les PROMs : *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.

7. Protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données

La HAS peut décider de transmettre le projet de protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données (PUT-RD) tel qu'il a été rédigé par l'industriel lors du son dépôt de dossier aux associations de patients ou groupes d'usagers. Dans ce cas, et si vous l'avez consulté, merci de bien vouloir renseigner la rubrique suivante.

- **Compte-tenu des informations que vous avez renseignées ci-dessus, avez-vous des commentaires complémentaires relatifs au protocole d'utilisation thérapeutique – Recueil de données ?**

8. Méthodes utilisées pour renseigner ce questionnaire

Indiquer la méthode utilisée pour renseigner les différentes parties de ce questionnaire (par exemple analyse du projet de protocole d'utilisation thérapeutique-recueil de données, enquête, réseaux sociaux, groupe de travail, témoignages, entretiens qualitatifs de patients ou de proches ayant eu accès aux traitements lors d'essais cliniques, ligne téléphonique, nombre de participants, échanges internationaux avec des associations de pays où le traitement est déjà commercialisé, avec les périodes concernées).

- **Selon quelle méthode avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles (§4) ?**

Les informations sont le résultat de notre expérience de patientes et de notre implication pour faire avancer la cause des Triplettes (femmes atteintes d'un cancer du sein triple négatif métastatique).

Nous avons également sollicité 2 patientes :

- 1 patiente en cours de traitement en Suisse : 12 cycles hebdomadaires

Keytruda/taxol/carboplatine

- 1 patiente qui a participé à l'essai clinique Keynote 522 en France. L'essai étant en double aveugle, nous n'avons pas le moyen d'être sûres qu'elle a bien reçu Keytruda dans son traitement.

- **Selon quelle méthode avez-vous recueilli l'expérience des patients avec ce traitement (§5.1) ? Le recueil a-t-il été réalisé par l'association, par le laboratoire ou par les deux ?**

Le recueil a été réalisé par le Collectif Triplettes Roses.

Le présent formulaire a été adressé par mail aux patientes pour répondre aux paragraphes 3 et 5.1.

Deux représentantes du Collectif ont consolidé les réponses **en gardant les verbatim formulés par les patientes** sollicitées.

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

- Oui

- Non

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

Rédaction : Claude COUTIER (présidente) et Widad KHIDER (vice-présidente) du Collectif Triplettes Roses

Contributions : 2 patientes avec l'expérience Keytruda (dont 1 soignée en Suisse)

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

[NON

9. Synthèse

Listez les points les plus importants de votre contribution. Par exemple :

- Les plus grandes difficultés du vécu avec la maladie sont ...
- Les thérapeutiques actuelles sont (in) adéquates parce que ...
- Le médicament étudié répond (peu) aux besoins et attentes des patients parce que...

Votre réponse :

[Combiner immunothérapie et chimiothérapie accroît les chances de faire disparaître les tumeurs du cancer du sein triple négatif et de réduire les risques de rechutes précoces. C'est une grande nouveauté de proposer ce traitement innovant qui est réservé jusqu'à présent aux cancers en phase métastatique et avancée.

Remerciements

Nous vous remercions beaucoup pour votre apport et votre temps passé. Ils sont importants. Votre contribution, notamment la synthèse ci-dessus, sera notamment mentionnée oralement lors de la séance de la commission.