

Questionnaire de recueil du point de vue des patients et usagers pour l'évaluation d'un médicament

Commission de la transparence - Commission de l'évaluation économique et de santé publique

Evaluation de : < CABOMETYX (cabozantinib) >

Indication(s) du médicament concerné : < extension d'indication : en monothérapie pour le traitement des patients adultes atteints de carcinome thyroïdien différencié (CTD) localement avancé ou métastatique, réfractaire ou non éligible à l'iode radioactif (IRA) et progressif pendant ou après un traitement systémique antérieur. >

Nom et adresse de l'association : Association « Vivre sans Thyroïde
2 avenue d'Expert – 31490 Lègevin

1. Méthode utilisée pour remplir le questionnaire

- Appel à témoins sur notre forum de discussion et sur notre page Facebook, groupe Facebook et sur Twitter
- Envoi de mails aux patients membres du forum qui prennent ou ont pris du Cabometyx
- Mail aux spécialistes du réseau TuThyRef (tumeurs thyroïdiennes réfractaires), pour leur demander de parler de cette évaluation à leurs patients traités par Cabometyx, les invitant à nous contacter.
- Recueil de témoignages par mail ou par téléphone
- Période : Juin 2022 - Participants : 3

Contrairement aux dossiers de contribution réalisés pour plusieurs autres médicaments (Retsevmo, Caprelsa...), il a été particulièrement difficile d'entrer en contact avec des patients directement concernés, malgré nos efforts – les patients concernés par le Cabometyx sont souvent, après un traitement antérieur, puis son échec et la progression de la maladie, en mauvais état de santé et affaiblis. Il s'agit souvent de personnes relativement âgées, n'utilisant pas ou très peu Internet, n'ayant pas l'habitude de participer à des sondages...

Quelles sont les personnes qui ont joué un rôle significatif dans la production de la contribution ?

Aucune (contact direct entre la présidente de l'association et les patients concernés)

L'association a-t-elle reçu des aides extérieures et quelle est leur nature ?

NON

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

2. Impact de la maladie / état de santé

2.1 Comment la maladie (ou l'état de santé) pour laquelle le médicament est évalué affecte-t-elle la qualité de vie des patients (court terme, long terme) ? Quels aspects posent le plus de difficultés ?

En fonction de leur localisation, les métastases d'un cancer de la thyroïde provoquent différents symptômes : gêne respiratoire et à la déglutition en cas de ganglions cervicaux, œdème pulmonaire, difficultés respiratoires, douleurs osseuses, parfois fractures, fatigue, symptômes neurologiques...

Quand le cancer est réfractaire à l'iode radioactif, et que les métastases et le marqueur progressent, surtout quand cela arrive pendant ou après un traitement systémique, dans lequel le malade a généralement mis énormément d'espoir, l'idée que « l'iode ne marche plus », et qu'il n'y a « plus rien à faire » pour empêcher cette progression inexorable, est terriblement angoissante pour les patients, et très difficile à vivre.

2.2 Comment la maladie (ou l'état de santé) affecte-t-elle l'entourage (famille, proches, aidants...) ?

Peur pour la vie du malade, difficultés à vivre avec les atteintes physiques, la fatigue permanente, les troubles de l'humeur. Problèmes financiers quand la maladie oblige à se mettre en invalidité.

3. Expérience avec les thérapeutiques actuelles autres que celles évaluées

3.1 Selon vous, quelles sont actuellement les thérapeutiques les plus adaptées ? Leurs avantages et inconvénients ?

La plupart des patients doivent subir une ou plusieurs opérations (thyroïdectomie totale + un ou plusieurs curages ganglionnaires étendus), parfois une radiothérapie externe et différents traitements locaux (cimentoplastie pour métastases osseuses, radiofréquence pour métastases pulmonaires ou hépatiques, ponctions pour épanchement pleural...

Avant 2006, il n'existait aucun traitement systémique pour les cancers thyroïdiens métastatiques, inopérables et progressifs. Ensuite, sont arrivés les TKI, inhibiteurs de la tyrosinekinase. Ce sont des « chimiothérapies orales », que le patient devra prendre « à vie » (ou jusqu'à ce que la maladie se remet à progresser).

Ces médicaments sont souvent assez rapidement efficaces, tout au moins pendant un certain temps (plusieurs années), et permettent souvent une réduction et stabilisation de la maladie (mais ne la guérissent pas). Ils ont des effets indésirables parfois relativement importants (qui sont généralement moins marqués que pour une chimiothérapie « classique », mais qu'il faudra supporter au long cours, puisque contrairement aux « cures » de chimiothérapie classique, espacées et limitées en nombre, ces traitements se prennent à vie (ou en tout cas jusqu'à ce que la maladie se remet à progresser).

3.2 Quelles sont les principales attentes des patients vis-à-vis d'une nouvelle thérapeutique ?

Le plus d'efficacité possible avec le moins d'effets secondaires possibles. Ils souhaitent que le traitement ait au moins une réponse partielle, permettant un retour à une vie sociale normale.

Il existe maintenant plusieurs molécules qui permettent de ralentir et de stabiliser la maladie (en cas de cancer de la thyroïde réfractaire à l'iode, métastasé, inopérable) – mais encore aucune, pour l'instant, qui permette d'en guérir totalement (ce qui serait l'attente principale des patients). Il est important d'avoir plusieurs molécules à disposition – pour pouvoir proposer d'autres options quand un premier traitement systémique ne marche pas, ou plus.

Contribution des associations de patients et d'usagers aux évaluations des médicaments et des dispositifs médicaux.

4. Expériences avec le médicament évalué

4.1 D'après votre expérience du médicament et celle des autres malades, quelles sont les conséquences positives ou négatives de son utilisation?

Facilité d'utilisation : prise de 1 ou 2 gélules par jour.

Certains patients ont eu différents autres traitements auparavant, parfois mal supportés (exemple : Lenvima, avec diarrhée, anorexie, douleurs aux pieds, vomissements, puis Pazopanib avec diarrhées et vomissements), arrêtés quand la maladie s'est remise à progresser, et supportent nettement mieux le Cabometyx – parfois en baissant la posologie.

Efficacité : Nette diminution de certaines métastases, stabilisation des autres, diminution du marqueur (thyroglobuline)..

Les effets indésirables restent souvent relativement légers et supportables : bouche sèche, perte d'appétit, nausées, perte de poids, fatigue, somnolence, difficultés de concentration.

4.2 Si vous n'avez pas d'expérience de ce médicament, et que vous avez connaissance de la littérature, de résultats d'essais, ou de communications, quelles sont selon vous les attentes ou les limites ?

Publication de résultats récents, et encourageants, lors du congrès ASCO 2022 (mai 2022) : https://www.ipsen.com/websites/ipsen_Online/wp-content/uploads/2022/05/27104826/ipsen-ASCO-annual-meeting-press-release-ENG-FINAL.pdf

5. Information supplémentaire

6. Synthèse de votre contribution

La plus grande difficultés du vécu avec la maladie est l'angoisse que crée le fait de se savoir atteint d'un cancer métastasé, inopérable et progressif, surtout quand un premier traitement systémique échoue et que le patient a l'impression d'être « condamné », sans aucune option de traitement.

Le médicament répond aux besoins et attentes des patients : ralentir et parfois stopper, tout au moins temporairement, l'évolution de la maladie, quand un traitement systémique antérieur ne fonctionne plus. Il nous semble très important, pour ces cancers qui restent heureusement assez rares, de disposer d'un arsenal de plusieurs molécules, afin de pouvoir proposer différentes options de traitement aux patients concernés.