



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

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 mars 2024

Sommaire

Introduction	3
NOTE IMPORTANTE	4
Informations administratives (contact, financement) destinées à la HAS.	5
Médicament sur lequel porte cette contribution	6
1. Questionnaire – Partie A	7
1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie	7
1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients	7
1.1.2. Impacts de la maladie sur les proches ou les aidants	8
1.2. Les traitements actuellement disponibles (en dehors du médicament évalué)	8
1.3. Le médicament évalué	11
1.3.1. Vos commentaires sur l'indication demandée par laboratoire	11
1.3.2. Si vous avez une expérience avec le médicament étudié (sinon passez à la rubrique suivante)	11
1.3.2.1. Avantages constatés lors de l'usage du médicament étudié par rapport aux autres traitements utilisés actuellement :	11
1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement	11
1.3.3. Si vous n'avez pas d'expérience avec le médicament évalué : quelles sont vos attentes et vos craintes ?	12
1.3.3.1. Vos attentes pour le médicament étudié dans cette évaluation	12
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	14
2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir	14
2.2.2. Votre avis sur le protocole d'utilisation thérapeutique - Recueil de données	14
3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition	15
4. Questionnaire – Partie D : Synthèse	16
5. Questionnaire – Partie E : Vos autres remarques	17
6. Questionnaire – Partie F : Méthodes	18

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 Patients en Réseau

Site internet :

Association : <https://www.patientsenreseau.fr>

Réseaux privés de l'association :

<https://www.monreseau-cancerdusein.com> depuis 2014

<https://www.monreseau-cancerdupoumon.com> depuis 2017

<https://www.monreseau-cancergyneco.com/> depuis 2019

<https://www.monreseau-cancercolorectal.com> depuis 2020

Adresse postale (le cas échéant) :

Association Patients en Réseau, 15 Rue Gît le Cœur, 75006 PARIS

Nature de la structure :

Association agréée au niveau national

Association agréée au niveau régional

Association non agréée

Autre (préciser) :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Le cas échéant, affiliation à une fédération ou un réseau :

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir).

Médicament sur lequel porte cette contribution

Nom commercial :

KEYTRUDA

Dénomination commune internationale (DCI) :

Pembrolizumab

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

KEYTRUDA en association à une chimiothérapie à base de sels de platine en traitement néoadjuvant, puis poursuivi en monothérapie en traitement adjuvant, est indiqué dans le traitement des patients adultes atteints d'un Cancer Bronchique Non à Petites Cellules (CBNPC) résécable à **haut risque de récurrence**.

Evaluation en vue de l'évaluation d'un **remboursement** pour une extension d'indication.

Cette contribution porte sur une évaluation (cocher la case correspondante ou les deux cases le cas échéant) :

Pour mémoire, cette information figure en regard du nom du médicament sur la page dédiée aux contributions sur le site de la HAS.

En vue du remboursement de droit commun

Pour une demande d'autorisation d'accès précoce

1. Questionnaire – Partie A

1.1. Impacts de la maladie sur la qualité de vie

1.1.1. Impacts de la maladie sur les patients

Quels sont les impacts de la maladie sur les patients ?

En 2023 en France, on estime à **52 777 le nombre de nouveaux cas** de cancer du poumon (33 438 hommes et 19 339 femmes) et ces diagnostics ne cessent d'augmenter, particulièrement chez les femmes. Source Inca <https://www.e-cancer.fr/Professionnels-de-sante/Les-chiffres-du-cancer-en-France/Epidemiologie-des-cancers/Les-cancers-les-plus-frequents/Cancer-du-poumon>

Les cancers bronchiques restent la première cause de mortalité par cancer en France (homme et femme confondus) et plus de 65% des patients atteints de cancer du poumon sont diagnostiqués au stade métastatique. Les patients opérables stades II et III représentent 20 à 30 % des patients diagnostiqués²

Le **cancer bronchique non à petites cellules (CBNPC)** représente 85% de l'ensemble des cancers du poumon, soit près de **45 000 nouveaux patients par an** en France, parmi lesquels environ **5 000** sont diagnostiqués à un **stade résécable à haut risque de récurrence** (stade II, IIIA, IIIB – T3-4 N2 de la 8ème classification TNM)

Même diagnostiqué au stade précoce résécable, le cancer du poumon est un **cancer agressif** avec un **taux de récurrence ou de décès de 62% pour les stades II et 76% pour les stades III**².

Le pronostic est péjoratif puisque que **21% (IIA) à 56% (IIIB) des patients décèdent dans les 2 ans** suivant le diagnostic⁴.

¹ [Données globales d'épidémiologie des cancers - Epidémiologie des cancers \(e-cancer.fr\)](https://www.e-cancer.fr)

² KBP 2010 et source HAS 2013

³ Pignon JP, et al. Lung adjuvant cisplatin evaluation: a pooled analysis by the LACE Collaborative Group. J Clin Oncol. 2008;26(21):3552–3559.

⁴ Chansky K, Detterbeck FC, Nicholson AG, Rusch VW, Vallières E, Groome P, et al. The IASLC Lung Cancer Staging Project: External Validation of the Revision of the TNM Stage Groupings in the Eighth Edition of the TNM Classification of Lung Cancer. J Thorac Oncol. 2017;12(7):1109-21.

⁵ Données de la deuxième analyse intermédiaire présentées à l'ESMO 2023 (Spicer KN 671 IA2 ESMO 2023)

L'impact de la maladie sur ces patients est donc dramatique, car l'annonce d'un cancer du poumon reste encore actuellement une « condamnation à mort », et le peu de lignes de traitements, actuellement disponibles et satisfaisantes, mettent les patients dans un état psychologique catastrophique, d'angoisses et de terreur.

Pour un patient, même en stade localisé, il faut vivre avec une **épée de Damoclès** au-dessus de la tête, avancer dans la terreur, à chaque nouvel examen de contrôle dans l'espoir d'avoir « un bon de vie supplémentaire » pour quelques mois .

Cela impacte, bien entendu les projets de vie, que ce soit professionnels ou sociaux, mais tout particulièrement les projets personnels, de couple et de famille.

C'est également devoir traverser les diverses problématiques liées à une opération lourde, et aux conséquences souvent douloureuses....

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 ?

L'European Organisation for Research and Treatment of Cancer (EORTC) a développé une série de questionnaires pour évaluer la qualité de vie des patients atteints de cancer. On retrouve un questionnaire général (QLQ-C30 version 3), des modules spécifiques à certains types de cancers (dont QLQ-LC13 pour le cancer du poumon).

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

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

Le cancer du poumon est une maladie extrêmement grave qui impacte tous les aspects de la vie. La qualité de vie est impactée par une grande fatigue, des douleurs, un essoufflement, des troubles du sommeil avec pour conséquence des problèmes de concentration et de mémoire. Le rapport à la vie et aux autres est bouleversé.

Les proches-aidants sont directement impactés, d'une part par leur sentiment d'impuissance, mais également par la peur de perdre rapidement leur proche face à la violence de cette maladie.

Ils sont terrorisés face aux douleurs de leur proche, et également face à un être cher qui s'enferme, et qui rentre souvent dans un état dépressif...

Les conjoints se retrouvent à devoir gérer, souvent seuls, le foyer, les enfants et les tâches quotidiennes, le travail... leur charge mentale est majeure et l'atteinte de leur propre santé est souvent rapportée.

Ils doivent également affronter cette épée de Damoclès, et l'incertitude de l'avenir.

Les enfants, et surtout pour ceux vivant dans une localisation éloignée, doivent se réorganiser pour venir aider leur parent malade.

Les proches-aidants vivent dans une incompréhension de leur entourage, car ils ne sont pas malades, et ne sont donc pas reconnus dans leurs souffrances....

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

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

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.

gique,

etc.

Schéma thérapeutique des stades localisés

Trois types de traitements sont utilisés en première intention pour traiter les cancers du poumon : la chirurgie, la radiothérapie et les traitements médicamenteux (chimiothérapie conventionnelle, thérapies ciblées, immunothérapies spécifiques). Ces traitements peuvent être utilisés seuls ou associés les uns aux autres. (Source : INCA, septembre 2023)

La chirurgie constitue le traitement de référence des stades* localisés (I et II) pour les patients dits opérables. L'éligibilité du patient à une chirurgie dépend de la localisation de la tumeur, de sa taille qui conditionne l'extension de la résection chirurgicale anatomique, de l'état général et des comorbidités du patient qui définissent l'opérabilité.

Dans certains cas, une chimiothérapie conventionnelle est réalisée avant l'opération, on parle alors de chimiothérapie néoadjuvante.

Après la chirurgie, une chimiothérapie conventionnelle est prescrite en général pour les stades II. La chimiothérapie repose sur 4 cycles et doit être commencée si possible dans les 4 à 8 semaines suivant l'acte chirurgical. Les principales molécules utilisées sont les sels de platine (cisplatine, carboplatine), la vinorelbine, l'étoposide, la gemcitabine, le pemetrexed et les taxanes (docétaxel, paclitaxel). Leur administration se fait le plus souvent par perfusion intraveineuse, parfois par voie orale (comprimés de vinorelbine ou d'étoposide). Des traitements médicamenteux ou des soins de support peuvent être proposés pour prévenir ou soulager leurs nombreux effets indésirables.

Pour les stades localement avancés (III), le recours à la chirurgie dépend de la possibilité ou non d'enlever complètement la tumeur. Pour les stades IIIA, lorsque la tumeur peut être totalement enlevée et que le patient est opérable, une chirurgie peut être proposée. Une chimiothérapie conventionnelle est en général administrée après la chirurgie, et dans certains cas avant. Si la résection n'a pas été complète, la chirurgie peut être suivie d'une radiothérapie. Pour les stades IIIB, la chirurgie ne s'applique qu'à quelques cas particuliers. (Les traitements des cancers du poumon, INCA 2023).

Même diagnostiqué au stade précoce résecable, le cancer du poumon est un **cancer agressif** avec un **taux de récurrence ou de décès de 62% pour les stades II et 76% pour les stades III**².

Le pronostic est péjoratif puisque que **21% (IIA) à 56% (IIIB) des patients décèdent dans les 2 ans** suivant le diagnostic⁴.

Statut réglementaire et ses analogues

L'AMM européenne pour l'extension d'indication du pembrolizumab a été délivrée le **22 février 2024** après évaluation de son bénéfice/risque.

Pour la France, une **autorisation d'accès précoce** a été **refusée** à la spécialité KEYTRUDA (pembrolizumab) dans la même indication que la demande de remboursement « en association à une chimiothérapie à base de sels de platine comme traitement néoadjuvant, puis poursuivi après la chirurgie en monothérapie comme traitement adjuvant, dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules résecable à haut risque de récurrence » le 21 mars 2024.

Statut réglementaire de ses analogues

L'immunothérapie **OPDIVO (nivolumab)**, dans l'indication « en association à une chimiothérapie à base de sels de platine **comme traitement néoadjuvant, suivi d'OPDIVO**, en monothérapie comme traitement adjuvant après résection chirurgicale, dans le traitement des patients adultes atteints d'un cancer bronchique non à petites cellules résecable » a fait l'objet d'un **refus d'accès précoce** le 20

juin 2024 suite à l'avis de l'ANSM ne pouvant attester d'une forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament.

La CT a octroyé un avis favorable au **remboursement** avec SMR important et un ASMR IV à **OPDIVO (nivolumab)** associé à la chimiothérapie à base de sels de platine dans le traitement **néoadjuvant** des patients adultes, atteints d'un CBNPC résécable à haut risque de récurrence, dont les tumeurs expriment **PD-L1 au seuil $\geq 1\%$** et dont les tumeurs ne présentent pas de mutation sensibilisante de l'EGFR connue, ni de translocation ALK connue. (Avis du 18 octobre 2023)

La CT a émis un **refus d'accès précoce et de remboursement** pour **TECENTRIQ (atezolizumab)** dans l'indication en monothérapie dans le **traitement adjuvant**, après résection complète et chimiothérapie à base de platine, des patients adultes atteints d'un CBNPC avec un risque élevé de récurrence, dont les tumeurs présentent une expression de **PD-L1 $\geq 50\%$** sur les cellules tumorales et qui ne présentent pas de CBNPC avec EGFR muté ou réarrangement du gène ALK (avis du 23 novembre 2022 et du 14 décembre 2022)

Soulignons qu'à ce jour, aucune des approches adjuvantes n'a fait l'objet d'accès précoce par la HAS dans les cancers du poumon alors même que le besoin de stratégie de réduction de risque de rechute est majeur.

Quels sont les avantages des traitements actuellement disponibles ?

Selon les avis de la HAS précédemment cités, « une chimiothérapie néoadjuvante à base de sels de platine suivie d'une chimiothérapie adjuvante à base de sels de platine également peut être utilisée au même stade de la stratégie thérapeutique ». La chimiothérapie conventionnelle avant ou après l'opération fait donc principalement appel aux sels de platine :

- Argument 1 :

Ces thérapeutiques sont **anciennes et bien connues des équipes médicales**, ce qui facilite la prise en charge des toxicités par des médicaments et/ou des soins de supports.

- Argument 2 :

Ces thérapeutiques sont **anciennes et leur manipulation est bien connue** de tous les services susceptibles de prendre en charge ces patients.

Quels sont les inconvénients des traitements actuellement disponibles ?

Argument 1 :

Les **taux de réponse et les données de survie globale** habituellement observés avec la chimiothérapie néoadjuvante à base de sels de platine suivie d'une chimiothérapie adjuvante à base de sels de platine sont **faibles dans l'indication considérée et les récurrences sont très fréquentes**.

Argument 2 :

En cas d'échec des chimiothérapies à base de platine, les **chimiothérapies à base de taxanes** sont indiquées en 2ème ligne. Leur **efficacité est insatisfaisante et les effets secondaires nombreux et invalidants**. Ces chimiothérapies peuvent nécessiter des hospitalisations de jour ou des séjours hospitaliers, des perfusions d'hyperhydratation et entraînent des effets secondaires importants (fatigue, troubles digestifs, troubles rénaux ...).

Argument 3 :

Bien que selon les critères de la CT la chimiothérapie conventionnelle avec sels de platine est un comparateur de l'immunothérapie, du point de vue des patients **ces 2 familles thérapeutiques ne sont pas équivalentes que ce soit par leur tolérance ou par la qualité de vie engendrée** (fatigue, troubles digestifs ...).

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

Les traitements actuellement proposés en tant que comparateurs (sels de platine..) ne sont **pas assez efficaces** pour permettre aux patients atteints d'envisager une survie acceptable. De plus leur administration **altère la qualité de vie et la santé** de ces patients de manière notable.

Les experts le soulignent ainsi « **Le besoin médical est donc actuellement partiellement couvert par les alternatives disponibles. Néanmoins, il persiste un besoin médical à disposer de médicaments améliorant la survie globale et la qualité de vie de ces patients** » (extrait de l'avis de la CT du 7 septembre 2023, demande d'autorisation d'accès précoce pré-AMM).

Les demandes d'accès précoce qui auraient pu permettre le traitement néoadjuvant de **tous les patients** adultes, atteints d'un CBNPC résécable à haut risque de récurrence ont été refusé alors que la CT a émis un avis favorable à la prise en charge de OPDIVO (nivolumab)uniquement des patients **dont les tumeurs expriment PD-L1 au seuil $\geq 1\%$** .

Cette prise en charge par le nivolumab ne concernant pas le traitement néoadjuvant des patients avec un PDL négatif, il existe donc une **perte de chance et un fort risque de récurrence pour les patients avec un PDL $< 1\%$** .

1.3. Le médicament évalué

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.

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 :
- 1.3.2.2. Inconvénients constatés du médicament étudié par rapport aux autres médicaments utilisés actuellement

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

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

Les informations concernant cette nouvelle indication sont extraites des résumés des données de l'essai randomisé de phase 3 auprès de 797 patients (**Keynote 671**) dont 397 ont reçu le pembrolizumab avec près de 25 mois de suivi.

Diminution du risque de récurrence par l'efficacité du traitement

L'amélioration de la réponse complète et de la survie sans progression est rapportée. Augmenter la part de patients qui vont pouvoir guérir de leur cancer du poumon est un enjeu de santé publique important.

Une analyse exploratoire a montré un **bénéfice de survie sans événement** dans le groupe pembrolizumab, que les participants aient eu une réponse pathologique majeure ou une réponse pathologique complète (**62.4% dans le groupe pembrolizumab** and 40.6% dans le groupe placebo).

- Une **réponse pathologique majeure** a été observée chez 120 participants (**30,2 %** ; IC à 95 % : 25,7 à 35,0) dans le groupe pembrolizumab et chez 44 participants (11,0 % ; IC à 95 % : 8,1 à 14,5) dans le groupe placebo (différence, 19,2 points de pourcentage ; IC à 95 % : 13,9 à 24,7 ; $P < 0,0001$; seuil, $P = 0,0001$).
- Une **réponse pathologique complète** est survenue chez 72 participants (**18,1 %** ; IC à 95 % : 14,5 à 22,3) dans le groupe pembrolizumab et chez 16 participants (4,0 % ; IC à 95 % : 2,3 à 6,4) dans le groupe placebo (différence, 14,2 points de pourcentage ; IC à 95 % : 10,1 à 18,7 ; $P < 0,0001$; seuil, $P = 0,0001$).

Le maintien de la qualité de vie par la tolérance

Les effets indésirables liés au pembrolizumab sont maintenant connus car la molécule est utilisée largement. Les patients qui vivent avec ce traitement rapportent une bien meilleure qualité de vie qu'avec les autres traitements conventionnels.

Dans toutes les phases du traitement dans la population traitée, des événements indésirables liés au traitement sont survenus chez 96,7 % des 397 participants du groupe pembrolizumab et chez 95,0 % des 399 participants dans le groupe placebo (tableau 2). Au total, 44,9 % des participants à l'étude sur le pembrolizumab et 37,3 % des participants au groupe placebo ont présenté des effets indésirables liés au traitement de grade 3 ou plus ; et 17,7 % et 14,3 %, respectivement, ont eu des effets indésirables graves liés au traitement.

Aussi une vigilance et une surveillance particulière pour ces patients avec une maladie localisée et dont l'objectif est de guérir est recommandée. Une détection précoce des événements pourrait être améliorée par des suivis des instaurations grâce à un suivi en télésurveillance ou en parcours coordonnés renforcés en fonction du profil du patient.

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 ?

Effets indésirables immunologiques

Le RCP ne mentionne pas d'augmentation du risque d'effets indésirables d'origine immunologique lors de l'association de pembrolizumab avec la chimiothérapie conventionnelle. Cette molécule et ses effets indésirables sont maintenant bien connus des équipes de soins.

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

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

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

2.2.1. Les données et informations qu'il est important de recueillir

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

3. Questionnaire – Partie C : Demande d'audition

Souhaitez-vous être auditionné ?

Oui

Non

4. Questionnaire – Partie D : Synthèse

Le cancer du poumon est une maladie au diagnostic souvent tardif et au pronostic encore très sombre.

Parmi les 20 à 30% des personnes diagnostiquées à un stade opérable, la proportion de patients qui présenteront une **récidive a été estimée entre 34% (stade IA), 62% (stade II) et 76% (stade III)**, avec un impact négatif majeur sur leur chance de survie puisque **21% (IIA) à 56% (IIIB) des patients décèdent dans les 2 ans** suivant le diagnostic !

Le **risque de récurrence** représente donc une **épée de Damoclès** qui a un **impact très important** sur la **qualité de vie** de tous ces **patients** et leurs **proches**.

Il nous semble donc urgent, en tant qu'association de patients, que des solutions thérapeutiques innovantes soient disponibles pour ces patients atteints d'un cancer du poumon précoce et qui n'ont actuellement que très peu d'espoir de survie à long terme avec un tel risque de récurrence.

Le **pembrolizumab en néo adjuvant, et en adjuvant après opération, offre une nouvelle option de traitement prometteuse** pour les patients atteints d'un CBNPC à un stade précoce et à haut risque de récurrence. Il répond **au besoin urgent et majeur de réduire ce risque de récurrence pour augmenter le nombre de personnes qui vont pouvoir guérir de leur cancer du poumon**. C'est un enjeu de santé publique important !

Avec les expérimentations de **dépistage** qui sont en train de se mettre doucement en place sur tout le territoire, l'espoir de diagnostiquer beaucoup plus tôt les cancers du poumon à des stades opérables et de meilleurs pronostics est permis.

Mais face au très haut taux de récurrence dans les cancers pulmonaires localisés, il nous faut anticiper des offres de traitements néo et adjuvants beaucoup plus efficaces.

Soulignons qu'à ce jour, nous déplorons qu'aucune des approches adjuvantes n'ait fait l'objet d'accès précoce par la HAS dans les cancers du poumon alors même que le besoin de stratégie de réduction de risque de rechute est majeur.

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

Selon quelles méthodes avez-vous renseigné les chapitres sur l'impact de la maladie et les traitements actuellement disponibles ?

L'association Patients en Réseau, dans le cadre de son groupe « Accès précoces et Contributions » a rédigé cette partie en utilisant les ressources à sa disposition : RCP, Échanges réguliers avec médecins experts et patients, congrès, recherches sur internet notamment via les sites spécialisés (HAS, INCA, LuCE (Lung Cancer Europe).....).

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

En cette période estivale, nous n'avons pas eu la possibilité de recueillir l'expérience de patients dans l'indication concernée mais cette molécule est utilisée depuis plusieurs années dans de nombreuses indications dont certains cancers du poumon.

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

L'équipe Accès et innovation de Patients en réseau (6 personnes) et particulièrement Leslie Manot et Michael Wingler, co responsables de Mon Réseau Cancer du Poumon.

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

Non, l'association n'a reçu aucune aide extérieure

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

En additionnant les réunions communes par visioconférence et les périodes de rédaction personnelles nous estimons la rédaction à 20 H de travail.

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

Cadre de réponse (vous pouvez agrandir)

Nous avons un certain nombre de suggestions d'amélioration et simplification du questionnaire.

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

