



Paris le 26 juillet 2017

Objet : Recueil par l'Association Française des Malades du Myélome Multiple (AF3M) du point de vue des patients et usagers pour l'évaluation du Revlimid pour le traitement d'entretien en monothérapie du myélome multiple non préalablement traité chez les patients adultes ayant reçu une autogreffe de cellules souches.

Table des matières

| | |
|---|---|
| • Information générale sur l'AF3M | 2 |
| • Approche méthodologique mise en œuvre pour répondre au questionnaire de recueil | 3 |
| • Population concernée par l'enquête..... | 3 |
| • Résumé des principaux enseignements..... | 4 |
| ○ Impact du myélome multiple sur la qualité de vie | 4 |
| ○ Expérience vis-à-vis du Revlimid | 5 |
| • Au regard de votre expérience, quels sont les points non évoqués dans ce questionnaire sur lesquels vous souhaiteriez attirer l'attention de la HAS ? | 6 |
| • Conclusion..... | 7 |

• Information générale sur l'AF3M

L'Association Française des Malades du Myélome Multiple (AF3M), domiciliée au 28 rue Tronchet PARIS 75009, a été créée en septembre 2007 par 27 personnes atteintes de myélome et leurs proches. Elle a adhéré à l'Alliance Maladies rares (AMR) en 2011.

Elle représente les 30 000 malades atteints de cette pathologie en France, dont 5 000 nouveaux cas sont diagnostiqués chaque année, et regroupe aujourd'hui plus de 1600 adhérents et 100 bénévoles.

Reconnue avec un agrément du Ministère de la Santé depuis 2012, l'AF3M se mobilise pour celles et ceux qui sont concernés par cette maladie (directement ou indirectement).

Ainsi, l'AF3M s'est donnée pour missions :

- d'apporter aide et soutien aux malades, de les représenter, de les informer et de les éduquer, notamment au travers d'une journée nationale d'information organisée simultanément chaque année dans 25 villes.
- de promouvoir les partenariats, d'être interlocuteur des autorités sanitaires.
- de soutenir et encourager la recherche notamment au travers du projet essais cliniques et d'un appel à projets annuel.

Elle agit avec son conseil d'administration, son bureau, son réseau de responsables régionaux et de contacts locaux, et son comité scientifique, tous bénévoles.

Consulter le site www.af3m.org

Présidente : Bernadette Isoir Favre bernadetaf3m.isoir@bbox.fr 06 50 06 01 43

Contact pour ce dossier : DELCOUR Vice Président bernarddelcouraf3m@orange.fr; 06 07 35 91 95

Ressources financières : année civile 2016

| Financements publics | |
|---|--|
| Organisations | Montants |
| Caisse Nationale de l'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés (CNAMTS) + Ministère Des Affaires Sociales et de la Santé (DGS) | 100,0 K€ (part 2016 sur subvention totale de 223,0 K€) |
| | |
| Financements privés (industrie pharmaceutique) | |
| Organisations | Montants |
| Laboratoires pharmaceutiques et industriels | 211,8 K€ |
| | |
| Cotisations | |
| Cotisations des adhérents | Montant |
| | 31,1 K€ |
| | |
| Dons | |
| Dons de particuliers spontanés et exceptionnels | Montant |
| | 128,4 K€ |
| | |
| Ressources diverses | |
| Manifestations diverses | Montants |
| | 8,7 K€ |
| Autres produits | 9,9 K€ |

- **Approche méthodologique mise en œuvre pour répondre au questionnaire de recueil**

Les éléments recueillis s'appuient sur les résultats de l'enquête lancée par l'AF3M fin juin 2017 dans le but de **recueillir le point de vue de tous les malades du myélome sur leur vécu, leur parcours de soins et leur qualité de vie**, quant à l'utilisation du Revlimid.

Pour mémoire, cette enquête vient compléter :

- **les résultats de l'enquête réalisée en mars 2017 en vue de recueillir le point de vue de tous les malades du myélome sur les nouveaux médicaments qui sont en cours d'évaluation** : le Ninlaro (ixazomib) mais également le Farydak (panobinostat), le Darzalex (daratumumab) et le Kyprolis (carfilzomib).
- **Les contributions déjà adressées par notre association en date du :**
 - 22 mars sur le Ninlaro développé par le laboratoire Takeda.
 - 19 mai sur **Kyprolis** développé par le laboratoire Amgen et le le Darzalex développé par le laboratoire Janssen.

L'objectif poursuivi a été de recueillir l'expérience des malades ayant bénéficié du Revlimid au travers des essais cliniques et/ ou des ATU, d'être en capacité de recenser et évaluer les attentes de l'ensemble des malades vis-à-vis de l'utilisation de ce médicament en traitement d'entretien, de mieux comprendre l'impact du myélome sur la qualité de vie des malades, et d'être en mesure de rapprocher les résultats de cette nouvelle enquête avec ceux de l'enquête réalisée en mars 2017, de l'étude que l'AF3M a réalisée en 2013 sur le ressenti et le vécu des malades du myélome multiple.

Le questionnaire proposé aux malades a été soumis à l'avis du Comité Scientifique de l'AF3M, voir sa composition : <http://www.af3m.org/l-association/qui-sommes-nous.html> - sous onglet comité scientifique.

Cette enquête a été uniquement mise en ligne sur le Site Internet de l'AF3M du 27 juin au 10 juillet 2017. Afin de faire connaître cette initiative aux malades, un mail a été adressé à l'ensemble de nos adhérents, une information a été mise en ligne sur la *home page* de notre site.

La conception et le traitement du questionnaire et l'analyse des résultats ont été confiées à la société A+A. Cette enquête a été financée sur les fonds propres de l'AF3M.

- **Population concernée par l'enquête**

L'enquête a été réalisée auprès d'un échantillon de 191 malades traités par Revlimid par le passé (53%) ou actuellement (47%), avec une ancienneté moyenne dans la maladie de près de sept ans, chiffre supérieur à celui observé pour l'enquête de mars 2017 (5,8 ans).

L'âge moyen des répondants est de 65,5 ans, un échantillon plus jeune que la population générale des malades du myélome multiple qui est diagnostiquée autour de 70 ans, avec également un profil en écart avec la population générale, notamment en termes de formation initiale et de situation sociale.

100 % des malades concernés par cette étude ont déclaré avoir bénéficié du Revlimid après autogreffe et traitement de consolidation. En moyenne, les malades concernés ont bénéficié du Revlimid durant 24,5 mois, pour un tiers d'entre-eux la posologie n'a pas été modifiée durant le traitement.

Le rapport détaillé de cette enquête est joint à la présente note de synthèse. Les différentes analyses sont conduites en comparaison des observations qui ressortent de l'enquête réalisée en mars 2017, de l'étude réalisée en 2013.

Pour mémoire l'étude conduite en 2013 sur le vécu et le ressenti des malades du myélome multiple avait été également confiée à A+A. Cette enquête avait concerné 349 malades recrutés par l'AF3M et 252 malades recrutés via 48 hématologues.

• Résumé des principaux enseignements

○ Impact du myélome multiple sur la qualité de vie

Comment le myélome multiple affecte-t-il la qualité de vie des malades et de leurs proches ? Quels aspects posent le plus de difficultés ?

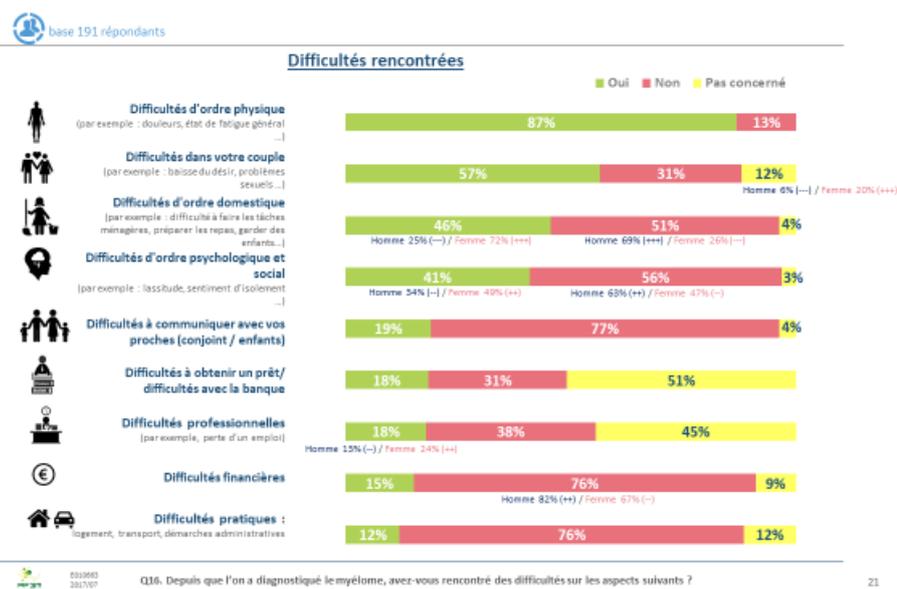
Cette enquête a confirmé dans les grandes lignes les résultats de l'enquête de mars 2017 et de l'étude réalisée en 2013, qui avait montré que pour un grand nombre de malades le myélome est une maladie qui ne laisse jamais tranquille (76% de malades, étude 2013), qui génère très souvent de l'anxiété.

Plus en détail, il ressort que les malades bien qu'affirmant disposer d'une bonne qualité de vie sont confrontés à :

- Des activités quotidiennes fortement limitées pour près de 20% des répondants
- Des douleurs jugées modérées à intenses pour 20% des répondants
- Une fatigue jugée très intense pour près d'un quart des répondants
- Une qualité de sommeil très mauvaise pour près de 20% des répondants (nouvelle donnée)

Parmi les difficultés rencontrées dans la vie quotidienne, l'impact physique reste la première des difficultés rencontrées (87% des répondants), devant les difficultés dans le couple (57%) et les difficultés d'ordre domestique (46%). A noter enfin, que seule la moitié des répondants a mentionné avoir recherché une aide ou un soutien pour faire face à ces difficultés.

La principale difficulté rencontrée est d'ordre physique
Suivie par les difficultés dans le couple et d'ordre domestique (plus marqué chez les femmes)



(base 191 répondants)

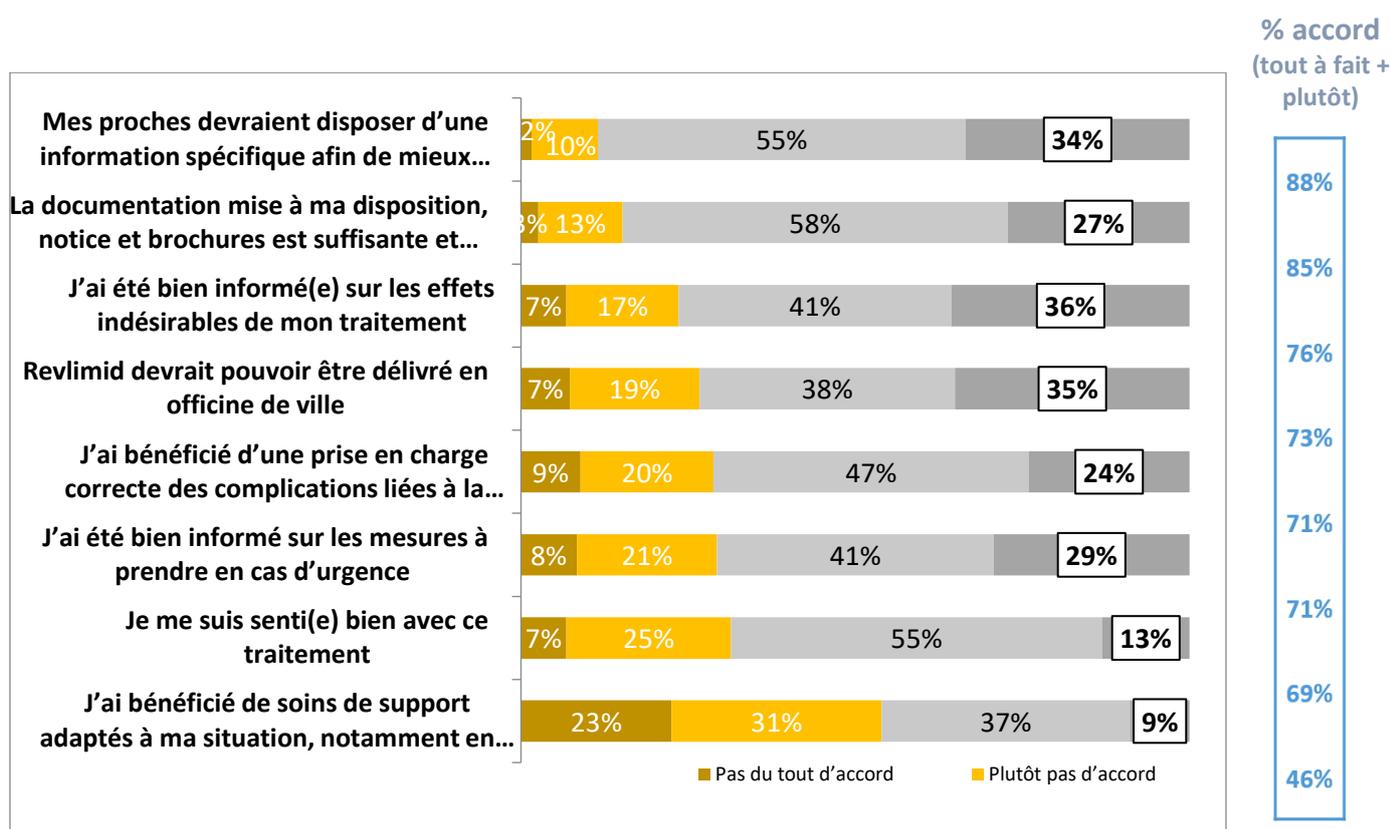
○ Expérience vis-à-vis du Revlimid

Les malades du myélome multiple que nous représentons sont confrontés à une maladie non curable, avec un risque léthal qui reste très significatif, et un grand nombre de malades sont confrontés à des rechutes fréquentes.

L'enrichissement récent de l'arsenal thérapeutique et notamment le développement de nouveaux médicaments de la famille des inhibiteurs du protéasome, des immunomodulateurs (IMiDs) et des anticorps monoclonaux sont pour les malades du myélome très porteurs d'espoir.

En effet, ces développements sont de nature à permettre à la fois un approfondissement et un allongement des réponses, d'où pour les patients des périodes de rémission plus durables, avec l'espoir pour certains d'entre-eux de pouvoir déboucher à terme sur des guérisons dites opérationnelles.

Mis à part l'accompagnement et les soins de support dont à peine la moitié des répondants a bénéficié, le reste des répondants est plutôt satisfait du traitement par Revlimid, avec toutefois une forte attente afin que le Revlimid, qui est un médicament oral, puisse être disponible en officine de ville.



- Au regard de votre expérience, quels sont les points non évoqués dans ce questionnaire sur lesquels vous souhaiteriez attirer l'attention de la HAS ?

171 sur les 191 répondants à notre enquête ont émis des commentaires et suggestions, tous ont souhaité au regard de leur expérience mentionner des points non abordés dans notre questionnaire. Parmi ces commentaires **certains peuvent être considérés comme des points positifs mais la plupart sont aussi très souvent jugés par les malades comme des pistes possibles d'amélioration.**

Concernant le Revlimid, 4% des répondants ont tenu à citer des bénéfices liés à la prise de ce médicament, tandis que 3% ont tenu à faire remonter des difficultés.

Au-delà, **20% des répondants ont tenu à mettre en avant les effets indésirables auxquels ils ont été confrontés** durant leur traitement, sans que l'on soit en mesure d'affirmer que ceux-ci sont imputables au Revlimid. En effet la plupart des malades concernés par l'enquête ont été ou sont traités au travers de bi voire tri thérapies, voire sont concernés par d'autres traitements liés à leur âge.

Parmi les autres points mis en avant, l'on peut citer :

- **Les attentes en termes d'information ressortent à nouveau comme une préoccupation importante, 17% des répondants ont émis le souhait de disposer d'une information plus complète.** Ces attentes portent sur les informations données sur la maladie, les traitements et ses effets secondaires, sur les perspectives d'avenir, mais aussi sur les possibilités d'accompagnement tant psychologique que social. Concernant ce volet communication, il est à noter que la mise en place de brochures / carnets d'information est jugée utile, voire indispensable par une majorité de patients, d'autant plus que les notices officielles sont difficilement lisibles et compréhensibles par ces derniers. Il s'agit là d'un point sur lequel l'AF3M n'a pas manqué d'alerter à plusieurs reprises l'ANSM, pour lequel nous sommes en attente de réponses adaptées et concrètes.
- **Concernant la prise en charge par l'équipe médicale** et notamment les relations de confiance développées avec l'équipe soignante, 21% des répondants ont souhaité mettre en avant des éléments de satisfaction tandis que 13% ont évoqué des manques d'écoute, de disponibilité, d'empathie ;
- **8 % des répondants ont tenu à signaler des difficultés personnelles auxquelles ils sont confrontés** : solitude, anxiété, prise en charge par la sécurité sociale, accès aux prêts, Cela confirme l'importance que revêt pour les malades du myélome de disposer d'une prise en charge globale et non uniquement médicale, de pouvoir accéder à des soins de support adaptés à leur situation.
- **3% des répondants ont évoqué le manque de coordination ville – hôpital, des difficultés d'ordre logistique** alors que 4% ont remonté des points positifs.
- **Enfin, alors que cette question n'était pas évoquée, 3% des répondants ont spontanément évoqué des difficultés concernant l'accès aux nouveaux médicaments**, et notamment concernant le Carfilzomid.

• Conclusion

Comme nous avons déjà pu l'écrire dans un dossier publié dans notre bulletin n° 26 en date de juin 2016, l'AF3M est déterminée à afficher un positionnement responsable, et souhaite montrer qu'au travers des expertises qu'elle a développées elle est en capacité d'intervenir de façon constructive tout au long du processus de développement et de commercialisation des nouveaux médicaments : c'est ainsi qu'elle a estimé devoir prendre part au débat en cours concernant l'évolution des prix des médicaments, notamment en oncologie.

Par ailleurs l'AF3M ne peut que déplorer les lenteurs observées en France dans la mise à disposition des nouveaux médicaments estimés innovants, lenteurs très dommageables pour les malades du myélome dont la maladie est très avancée ou en rechute, et pour lesquels l'accès à ces derniers constitue non seulement une urgence mais surtout une question de survie. La situation actuelle concernant les possibilités d'accès à certains médicaments innovants et notamment au carfilzomib, qui a été évoqué une nouvelle fois indirectement par plusieurs malades au travers de cette enquête, en est une illustration concrète.

Notre conviction est qu'en prenant mieux en compte le point de vue et les attentes des malades telles qu'elles sont ressorties de cette enquête, dans le cadre de l'évaluation en cours conduite par la HAS mais aussi plus largement tout au long du processus de développement des médicaments et notamment dès la phase de design des essais cliniques, l'on sera en mesure :

- De mieux garantir la qualité de vie des malades du myélome
- De développer une approche qui ne se limite pas à traiter la pathologie du myélome, mais au contraire à développer une prise en charge globale qui s'appuie sur une transversalité renforcée, sur des organisations plus efficaces et sur des comportements plus proactifs aussi bien de la part des malades que des professionnels de santé.