

## Critères de substitution (*surrogate endpoints*) dans les essais cliniques de cancérologie digestive

### DEUXIEME TOUR DE L'ENQUETE

Questionnaire  
à retourner à

sous version papier :  
Nicolas Methy  
FFCD – Faculté de Médecine  
7 bd Jeanne d'Arc – BP 87900  
21079 DIJON Cedex

sous version électronique :  
nicolas.methy@u-bourgogne.fr

**NOM**

**PRENOM**

NB : les réponses seront traitées anonymement

Pour chacune des situations suivantes, et selon votre opinion, classez en les numérotant (1, 2, 3 ...) les critères de substitution proposés, du plus pertinent (rang 1) au moins prometteur. Cochez la case *Ne pas étudier* pour ceux que vous ne reprenez pas.

Pour les critères tels que survie sans récurrence ou survie sans progression, précisez si possible les événements que vous considérez, comme le décès et les seconds cancers par exemple.

#### Situation 1. Œsophage - opérable et traitement néo-adjuvant

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	<i>Ne pas étudier</i> (cocher la case)	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Réponse préopératoire <input type="checkbox"/> pCR (% de réponses complètes) <input type="checkbox"/> Degré de réponse histologique (Mandard score)
Chirurgie R0	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse métabolique précoce	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Ratio nb gg envahis / nb gg prélevés	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

#### Situation 2. Œsophage - non opérable, non métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou <i>Ne pas étudier</i> (cocher la case)	
Réponse (évaluation clinico-radiologique)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression métastatique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans dysphagie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse métabolique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

### Situation 3. Œsophage - métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	Ne pas étudier (cocher la case)	
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse métabolique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Taux de réponses (RECIST) <input type="checkbox"/> Réponse maximale à la première ligne de CT (RECIST)
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie + survie sans progression (critère composite)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

### Situation 4. Estomac - non métastatique, opérable et traitement néo-adjuvant

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	Ne pas étudier (cocher la case)	
Chirurgie R0	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Réponse préopératoire <input type="checkbox"/> pCR (% de réponses complètes)

### Situation 5. Estomac - métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	Ne pas étudier (cocher la case)	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie + survie sans progression (critère composite)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Taux de réponses (RECIST) <input type="checkbox"/> Réponse maximale à la première ligne de CT (RECIST)

Situation 6. Foie - petit CHC (critère de Milan)

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Contrôle local	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Réponse	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

Situation 7. Foie - gros CHC (critère de Milan)

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou	
Fonction hépatocellulaire	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Réponse	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

Situation 8. Foie - métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Taux de réponses (RECIST) <input type="checkbox"/> Réponse aux anti-angiogéniques évaluée par imagerie
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie + survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Cinétique évolution alpha FP (si 1)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 9. Pancréas - localisé, opérable, traitement néo-adjuvant

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou <i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Taux de résection R0 R1	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 10. Pancréas - localement avancé, non opérable

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	<i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Réponse complète <input type="checkbox"/> Taux de réponses objectives
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression métastatique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 11. Pancréas - métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Réponse	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans symptôme	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Chute CA19-9 >50%	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Douleurs	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

Situation 12. Voies biliaires - opérable, traitement néo-adjuvant

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Taux de résection R0	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>
Survie sans ictère	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>

Situation 13. Voies biliaires - non opérable, non métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Réponse complète <input type="checkbox"/> Taux de réponses objectives
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans ictère	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 14. Voies biliaires - métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou <i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Taux de réponses objectives	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans hospitalisation	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 15. Lymphomes digestifs - localisé

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	<i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
% de transformation en haut grade / an	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Réponse complète biologique <input type="checkbox"/> Réponse complète histologique <input type="checkbox"/> Taux de réponse
Absence de gastrectomie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 16. Lymphomes digestifs - métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	<i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans maladie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Réponse complète biologique <input type="checkbox"/> Degré de réponse métabolique <input type="checkbox"/> Taux de réponses objectives
Temps jusqu'à rémission	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 17. Côlon - stade II-III, traitement adjuvant

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou <i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie spécifique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 18. Rectum - stades II et III, traitement néo-adjuvant

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	<i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Récidives locales <input type="checkbox"/> Récidives à distance <input type="checkbox"/> Récidives locales + à distance
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Taux de résection complète	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Réponse préopératoire <input type="checkbox"/> pCR <input type="checkbox"/> Degré de réponse histologique
Préservation sphinctérienne	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 19. Côlon-Rectum - métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	Ne pas étudier (cocher la case)	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Temps cumulé sans traitement cytotoxique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Dosage des marqueurs tumoraux précoce à 1 mois	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans traitement d'entretien	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/> Réponse tumorale <input type="checkbox"/> Taux de réponse (RECIST) <input type="checkbox"/> Réponse métabolique
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression + qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Ratio survie globale / durée de chimio	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Taux de résection R0 de métastase	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 20. Anus - localisé

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	Ne pas étudier (cocher la case)	
Taux de conservation sphinctérienne	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans amputation abdominopéritonéale	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	



Situation 21. Anus - localement avancé

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement		Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	<i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Réponse	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans amputation abdominopéritonéale	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans récurrence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Taux de conservation sphinctérienne	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Survie sans symptôme	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	

Situation 22. Anus - métastatique

Critère de substitution de la survie globale pour évaluer l'effet d'un traitement	Classement			Précisions éventuelles
	Rang de pertinence (1, 2, 3 ...)	ou	<i>Ne pas étudier (cocher la case)</i>	
Survie sans progression	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>	
Réponse	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>	
Qualité de vie	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>	
Contrôle de symptômes spécifiques ("clinical benefit")	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>	
Survie sans progression + qualité de vie	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>	
Survie sans symptôme	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>	
Taux de conservation sphinctérienne	<input type="checkbox"/>		<input type="checkbox"/>	