

**Protocole de l'étude : « Vivre avec des médicaments anti-rejet » /  
« L'évaluation de l'expérience des patient.e.s transplanté.e.s vivant avec des  
médicaments anti-rejet »**

---

Une action portée par :



---

Avec l'appui de :



---

Et soutenue par :



Ce protocole a été revu par le Conseil Scientifique d'Intérêt des  
Patients de MoiPatient avant publication de l'étude.

## **Sommaire**

<b>I – Informations clefs sur l'étude</b>	<b>3</b>
1.1 – Les acteurs de l'étude	3
1.2 – Contexte et objectif de l'étude	4
1.3 – Financement de l'étude : Open Society Foundations	6
<b>II – Méthodologie de l'étude</b>	<b>7</b>
2.1 – Schéma général de l'étude	7
2.2 – Population de l'étude	7
2.3 – Construction du questionnaire de l'étude	9
2.4 – Données recueillies pour cette étude	9
2.5 – Calendrier de l'étude	10
<b>III – Comité Scientifique d'Intérêt des Patient·e·s (CSIP) de MoiPatient</b>	<b>10</b>
3.1 – Le rôle du CSIP de MoiPatient	10
3.2 – Les membres du CSIP	10
<b>IV – Modalités du recueil et du traitement des données</b>	<b>11</b>
4.1 – Parcours répondant·e – questionnaire en ligne	12
4.2 – Parcours répondant·e - questionnaire papier	12
4.3 – Hébergement des données	13
4.4 – Analyse des données	13
<b>V – Information des patient·e·s</b>	<b>14</b>
5.1 – Documents présentés aux patient·e·s et circuits de l'information / communication	14
5.2 – Recueil du consentement des patient·e·s	16
5.3 – Lettre d'information adressée aux patient·e·s	16
5.4 – Annexe à la lettre d'information aux patient·e·s	17

## I – Informations clefs sur l'étude

### 1.1 – Les acteurs de l'étude

Rôle	Nom	Coordonnées
Promoteur de l'étude	Renaloo (association de patient·e·s)	29 bis rue Buffon – 75005 Paris <a href="http://www.renaloo.com/">http://www.renaloo.com/</a>
Partenaire associatif du promoteur	France Greffe Cœur et/ou Poumons  Transhépate  Vaincre la Mucoviscidose	<a href="http://www.france-coeur-poumon.asso.fr/">http://www.france-coeur-poumon.asso.fr/</a>  <a href="https://www.transhepate.org/">https://www.transhepate.org/</a>  <a href="https://www.vaincrelamuco.org/">https://www.vaincrelamuco.org/</a>
Mise en œuvre (appui rédaction questionnaire et analyse des données)	CEMKA	43 bd du Maréchal Joffre - 92340 Bourg la Reine
Mise en œuvre (implémentation du questionnaire, recueil des données)	MoiPatient*	29 bis rue Buffon – 75005 Paris
Partenaire de l'étude	Open Society Foundations**	<a href="https://www.opensocietyfoundations.org/">https://www.opensocietyfoundations.org/</a>
Autorité de contrôle nationale	CNIL	3 Place de Fontenoy 75007 Paris

\*MoiPatient est en charge du recueil des données via sa plateforme. MoiPatient garantit un haut niveau de protection quant au respect des données personnelles, qui ne seront jamais partagées et s'appuie sur un conseil scientifique d'intérêt des patients qui valide les études avant publication. MoiPatient est un projet associatif : seules les associations de patient·e·s peuvent entrer à son conseil d'administration/devenir actionnaire de la SAS MoiPatient. Aujourd'hui, l'actionnaire unique est l'association Renaloo.

\*\*Open Society Foundations (OSF). Conformément aux garanties de MoiPatient, OSF n'aura accès qu'aux résultats et en aucun cas aux données personnelles des répondant·e·s.

➔ Responsable de l'étude : Magali Leo, responsable du plaidoyer de Renaloo  
(magali.leo@renaloo.com)

➔ Contact avec les patient·e·s pour exercer leurs droits sur leurs données, poser leurs questions (déléguée à la protection des données) : Manon Molins, responsable de MoiPatient  
(manon.molins@moipatient.fr)

→ Aucun des partenaires n'aura accès aux données personnelles de santé des répondant.e.s. MoiPatient ne les partage pas. Seule l'entreprise Cemka (pour produire les résultats) en tant que prestataire de MoiPatient, disposera d'un accès aux données, pseudonymisées, qu'elle gardera pour une durée limitée, en les hébergeant dans un espace sécurisé agréé. (voir IV – Modalités du recueil et du traitement des données pour plus de détail)

## **1.2 – Contexte et objectif de l'étude**

---

### Nombre de personnes porteuses d'un greffon fonctionnel

En France, plus de 63 000 personnes vivent grâce à un organe greffé<sup>1</sup>. Autant de personnes vivant donc avec des traitements anti-rejet.

### Les médicaments immunosuppresseurs

Lorsqu'une personne est transplantée, son système immunitaire va identifier le greffon comme un corps étranger et se défendre en le détruisant. C'est le mécanisme du rejet. Pour le combattre, on utilise des médicaments immunosuppresseurs (ou encore anti-rejet). Ils ont pour objectif d'abaisser le système immunitaire du/de la patient.e pour le rendre incapable de se retourner contre le greffon, tout en le maintenant à un niveau suffisant pour qu'il/elle puisse continuer à remplir son rôle de protection de l'organisme.

Le traitement devra être maintenu aussi longtemps que le greffon fonctionne.

Plusieurs types de médicaments sont désormais disponibles. La plupart du temps, une combinaison de plusieurs d'entre eux est utilisée. Ces associations de plusieurs molécules ont permis de faire baisser le taux de rejet aigu d'environ 50 % au début des années 90 à environ 15%, voire moins, à l'heure actuelle.

Ces molécules ont leurs propres effets indésirables (effets secondaires délétères) avec lesquels les patient.e.s doivent donc vivre au long cours. Se pose également la question des interactions avec les autres médicaments non immunosuppresseurs. L'un des retours des ateliers du séminaire mené avec des patients lors de la construction de cette étude montrait qu'à un certain moment il devient difficile d'isoler quels sont les traitements à l'origine de la difficulté évoquée.

### L'évaluation des médicaments

Pour la délivrance de leur autorisation de mise sur le marché, la balance bénéfices/risques est évaluée et doit être favorable. Cette évaluation résulte des essais cliniques effectués par les laboratoires pharmaceutiques. Les décisions d'AMM (Autorisation de Mise sur le Marché) sont fondées sur les résultats d'efficacité/performance et de tolérance/sécurité.

---

<sup>1</sup> [https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/pdf/dossier\\_presse\\_jn\\_22\\_juin\\_2019.pdf](https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/pdf/dossier_presse_jn_22_juin_2019.pdf)

Pour être remboursables par l'Assurance Maladie obligatoire, les médicaments doivent ensuite faire l'objet d'une évaluation, par la Haute Autorité de Santé (HAS) :

- du Service Médical Rendu (SMR) : un critère qui prend en compte la gravité de la pathologie pour laquelle le médicament est indiqué et des données propres au médicament lui-même dans une indication donnée :
  - efficacité et effets indésirables ;
  - place dans la stratégie thérapeutique (notamment au regard des autres thérapies disponibles) et existence d'alternatives thérapeutiques ;
  - intérêt pour la santé publique.

En fonction de cette évaluation, le SMR d'un médicament peut être « majeur ou important », « modéré ou faible » ou « insuffisant ». Le SMR peut évoluer dans le temps, notamment lorsque des données nouvelles sur lesquelles son appréciation se fonde sont produites, ou lorsque des alternatives plus efficaces apparaissent.

En principe, le niveau de SMR intervient dans la fixation du niveau de prise en charge par l'Assurance Maladie Obligatoire.

Néanmoins, quel que soit son niveau de SMR, les médicaments prescrits pour le traitement d'une affection de longue durée (ALD), sont pris en charge à 100% par l'Assurance Maladie Obligatoire. C'est notamment le cas des médicaments anti-rejet prescrits aux personnes porteuses d'un greffon.

- de l'Amélioration du Service Médical Rendu (ASMR) qui correspond au progrès thérapeutique apporté par un médicament.

En fonction de l'appréciation, plusieurs niveaux d'ASMR ont été définis : ASMR I (majeure), ASMR II (importante), ASMR III (modérée), ASMR IV (mineure), ASMR V (inexistante lorsqu'il y a absence de progrès thérapeutique).

Le niveau d'ASMR intervient dans la fixation du prix d'un médicament remboursable.

### La qualité de vie des patient.e.s ?

La définition communément citée de la « qualité de vie » est celle publiée par l'OMS en 1993 : "La qualité de vie est définie comme la perception qu'un individu a de sa place dans la vie, dans le contexte de la culture et du système de valeurs dans lequel il vit, en relation avec ses objectifs, ses attentes, ses normes et ses inquiétudes. C'est donc un concept très large qui peut être influencé de manière complexe par la santé physique du sujet, son état psychologique et son niveau d'indépendance, ses relations sociales et sa relation aux éléments essentiels de son environnement" (World Health Organization, 1993).

### Les outils de mesure de la qualité de vie des patient.e.s

De nombreux instruments de mesure de la qualité de vie ont été développés. Les instruments d'évaluation de la qualité de vie (concept multidimensionnel) sont à distinguer des instruments visant à évaluer l'état du patient sur une seule dimension ou des instruments entrant dans le champ des « Patient Reported Outcomes » (PROs), comme l'acceptabilité ou la satisfaction des patient.e.s.

### La prise en compte de la qualité de vie des patient.e.s dans les processus d'évaluation des médicaments

Selon notre analyse, la qualité de vie est insuffisamment prise en compte par les autorités en charge d'évaluer les médicaments, notamment parce qu'il est difficile de fournir des données pertinentes et exploitables sur ce concept hautement complexe.

In fine, le prix des médicaments remboursables est, le plus souvent, fixé indépendamment de l'impact positif ou négatif des médicaments sur la qualité de vie des patient.e.s à qui ils sont destinés.

C'est dans ce contexte que Renaloo, en partenariat avec trois autres associations de patient.e.s greffé.e.s, s'engage dans la présente étude, l'objectif étant d'objectiver et de mettre en évidence l'expérience des patients.e.s vivant avec des médicaments anti-rejet.

➔ L'objectif principal de cette étude est de recueillir l'expérience des patient.e.s transplanté.e.s vivant avec des médicaments immunosuppresseurs afin d'agir auprès des autorités sanitaires pour que la qualité de vie des patient.e.s soit davantage prise en compte dans les processus d'évaluation des médicaments conduisant à la fixation de leur prix.

➔ Les objectifs secondaires sont :

- d'engager des associations de patient.e.s dans des démarches méthodologiques d'évaluation de la qualité de vie ;
- de sensibiliser les patient.e.s sur la valeur de leur retour d'expérience.

### **1.3 – Financement de l'étude : Open Society Foundations**

---

Pour mener à bien ce projet, Renaloo a reçu une subvention d'Open Society Foundations (OSF). OSF est un réseau de fondations créé en 1979 par Georges Soros. L'objectif de ce réseau est de promouvoir la gouvernance démocratique, les droits humains et des réformes économiques, sociales et légales.

Les fondations Open Society sont actives dans plus de 120 pays à travers le monde.

Renaloo et les associations partenaires engagent par ailleurs des ressources propres pour la préparation et le déroulement de l'étude.

## II – Méthodologie de l'étude

### 2.1 – Schéma général de l'étude

---

- Il s'agit d'une étude transversale, principalement fondée sur un questionnaire en ligne, diffusé et accessible sur le site MoiPatient.fr, opéré par la société MoiPatient, dont l'association Renaloo est seule et unique actionnaire.
- De façon à toucher un maximum de patient.e.s greffé.e.s, et de profils diversifiés pour permettre une représentativité des personnes répondantes, l'étude en ligne sera diffusée via les associations de patient.e.s dans leurs communautés et en version papier dans les centres de greffe hépatique.
- Le questionnaire est destiné aux patient.e.s eux/elles-mêmes ou à leurs proches qui pourront répondre en leur nom.
- Des relances seront réalisées pour obtenir l'effectif souhaité : 1200 à 2200 répondant.e.s (voir 2.2 Population de l'étude).
- Le questionnaire a été co-construit par des patient.e.s et proches de patient.e.s. (voir 2.3 Construction du questionnaire de l'étude »)
- Les données recueillies seront hébergées dans un cadre sécurisé (chez un hébergeur agréé de données de santé : ClaraNet) et alimenteront une base de données dont MoiPatient est responsable et qui ne seront jamais partagées à des tiers. L'analyse statistique des données sera réalisée par CEMKA. (voir IV. Modalité du recueil et du traitement des données)

### 2.2 – Population de l'étude

---

#### Critères de sélection des patient.e.s

##### – Critères d'inclusion

Les patient.e.s interrogés rempliront les critères suivants :

- Adultes, hommes, femmes, non binaires, majeurs de tous âges, suivant un traitement anti-rejet suite à une transplantation d'organe ;
- Acceptant de participer à l'étude.
- Les proches peuvent répondre au nom des patient.e.s concerné.e.s si ces dernier.e.s sont en incapacité de remplir eux/elles-mêmes le questionnaire.

##### – Critères d'exclusion

- Patient.e refusant de participer à l'étude
- Personnes mineures au nom desquelles aucun.e proche majeur.e ne peut répondre

## Nombre de sujets nécessaire

Dans une étude descriptive, la taille de l'échantillon nécessaire repose sur la précision attendue des estimations des critères principaux d'évaluation, c'est-à-dire des intervalles de confiance (IC) de ces critères. Dans cette étude, il est souhaité des analyses séparées par type de greffes, mais également en fonction de quelques critères principaux (âge, genre, ancienneté de la greffe) au sein de chaque type de greffe.

Il s'agit d'une étude descriptive qui n'est pas centrée sur un critère principal, mais plutôt sur un ensemble d'éléments relatifs à la qualité de vie des patient.e.s. Différents critères sont donc importants, dont il est difficile d'estimer a priori la fréquence. Dans ce cas, le calcul de la taille de l'échantillon repose sur une proportion observée de 50%, situation où l'étendue de l'intervalle de confiance est maximale. Pour obtenir des résultats descriptifs caractérisés par une précision de +/- 10%, un effectif de 100 questionnaires est nécessaire pour chaque groupe d'intérêt (3 au maximum par type de greffe), donc 300 questionnaires par type de greffe.

Avec cet effectif par type de greffe, l'effectif total de 1200 patient.e.s permettrait d'obtenir une précision de +/- 3% sur l'ensemble des paramètres estimés (toujours dans l'hypothèse la plus défavorable en termes de résultat).

Néanmoins, compte tenu de l'objectif de l'étude de peser dans le plaidoyer des associations pour une meilleure prise en compte de la qualité de vie dans l'évaluation des médicaments et compte tenu du nombre total de patient.e.s greffé.e.s en France sur les 4 organes concernés (environ 65 000 au 31/12/2019 selon l'Agence de Biomédecine), un effectif plus important est souhaité.

## Échantillonnage

Pour prendre en compte la répartition très déséquilibrée des greffes en fonction du type d'organe, nous proposons un échantillonnage stratifié par quota.

L'échantillon souhaité est de 2 200 patient.e.s (minimum 1200), avec la répartition suivante :

	Nombre estimé de malades porteurs d'un greffon fonctionnel au 31/12/2019*	Échantillon souhaité
Rein	42 409	1000
Foie	14 948	600
Cœur	5 093	300
Poumon	2 576 (+157 cœur-poumons)	300
Pancréas	1 027	100

\*Source : Agence de la Biomédecine. Rapport médical et scientifique du prélèvement et de la greffe en France



Deux éléments permettront d'assurer la représentativité de l'échantillon : les quotas fixés en amont et le redressement, au niveau statistique, des résultats observés sur l'échantillon effectivement interrogé, qui consistent à affecter un poids différent à certaines catégories d'individus (afin de sur-représenter les catégories sous-représentées dans l'échantillon comparativement à la population cible).

### **2.3 – Construction du questionnaire de l'étude**

---

Le questionnaire a été co-construit par des patient.e.s et proches de patient.e.s

Ce questionnaire a été co-construit avec des patient.e.s et proches de patient.e.s issu.e.s de quatre associations de patient.e.s greffé.e.s : Fédération Française des Associations de Greffé.e.s du Cœur ou des Poumons, Renaloo, Transhépate, Vaincre la Mucoviscidose.

Ce travail de co-construction du questionnaire, supervisé par le bureau d'étude CEMKA, a été conduit dans le cadre de plusieurs réunions inter-associatives (quatre demi-journées entre avril et novembre 2019) incluant des professionnel.le.s de santé, puis soumis à une communauté d'environ 40 patient.e.s et proches de patient.e.s réunie [en séminaire les 2 et 3 décembre 2019](#).

### **2.4 – Données recueillies pour cette étude**

---

Les questions posées dans le cadre strict de l'étude portent sur :

- « Les caractéristiques de la transplantation » : organe, nombre de transplantations, année de la première transplantation, maladie(s) à l'origine de la transplantation
- « Les médicaments que vous prenez » en rapport ou non avec la greffe : nombre total de comprimés/sachets/gélules, d'injections, d'aérosols...,
- « Vos médicaments anti-rejet »
- « Les effets ressentis des médicaments anti-rejet »
- « L'information reçue sur les médicaments anti-rejet »
- « Les précautions liées aux médicaments anti-rejet »
- « La qualité de vie, humeur, comportement, sommeil »

Les données de profil, nécessaires à l'inscription sur MesData et exploitées dans le cadre de l'étude, sont les suivantes (complétées par les patient.e.s ou leur.s proche.s) :

- Votre « statut » : patient.e, personne en situation de handicap, aidant.e / proche d'un.e patient.e ou d'une personne en situation de handicap, professionnel.le de santé ou autre usager du système de santé
- La/les pathologie(s) ou situation(s) de handicap qui vous concerne ou la personne pour qui vous répondez
- Genre (homme, femme, non binaire)
- Année de naissance
- Lieu de résidence (code postal)
- Niveau d'études

- Activité principale (en emploi, chômage, retraite ou préretraite, homme/femme au foyer, en apprentissage ou stage rémunéré sous contrat, étude ou stage non rémunéré, autre)
- Profession actuelle ou passée
- Contexte de vie (seule, avec un.e aidant.e, en couple avec ou sans enfant, en couple avec un.e/des aidant.e.s, en collectivité)
- Pour les professionnel.le.s de santé, il est demandé de préciser la profession (généraliste, spécialiste, ...)

NB : Les noms et prénoms des répondant.e.s ne sont requis ni pour la création d'un compte sur moi-patient.fr ni pour compléter le questionnaire d'étude. Seul le mail est requis, avec création d'un mot de passe.

## 2.5 – Calendrier de l'étude

Soumission du protocole de l'étude au Comité scientifique d'intérêt des patient.e.s	Janvier 2020 (V1) et Février 2021 (Version finale)
Avis du Comité scientifique d'intérêt des patient.e.s	Février 2020 et Février 2021
Mise en ligne et diffusion sous format papier du questionnaire	Février 2021
Relances des associations de patient.e.s et des centres de greffe	Mars – Avril 2021
Analyse des résultats	Mai - Juin 2021
Rédaction du rapport	Septembre / Octobre 2021
Restitution des résultats dans le cadre d'un séminaire	Novembre 2021

## III – Comité Scientifique d'Intérêt des Patient.e.s (CSIP) de MoiPatient

### 3.1 – Le rôle du CSIP de MoiPatient

Le Comité scientifique d'intérêt des Patient.e.s (CSIP) de MoiPatient est garant des objectifs et de la méthodologie de l'étude, au service de l'intérêt des patient.e.s. Aucune étude n'est publiée sur MoiPatient.fr sans son aval (aval donné par la majorité des membres impliqués avec possibilité de réagir en ligne plusieurs jours après partage du protocole).

### 3.2 – Les membres du CSIP

**Collège des expert.e.s**

Ce collège comprend des expert.e.s et personnalités qualifiées : professionnel.le.s de santé, chercheurs et méthodologistes, spécialistes du numérique en santé, en économie de la santé et en éthique du numérique.

- Dr Mehdi Benchoufi, médecin, co-fondateur d'eOpen et d'Epidemium, fondateur du Club JADE
- Monsieur Jérôme Béranger, chercheur en éthique du numérique, chercheur associé INSERM 1027, université Paul Sabatier de Toulouse
- Yann Bourgueil, médecin, économiste de la santé, chargé de la préfiguration d'une chaire en soins primaires à l'EHESP
- Dr Côme Bureau, néphrologue et assistant spécialiste en réanimation médical, Hôpital Pitié-Salpêtrière (AP-HP)
- Dr Philippe Denormandie, chirurgien orthopédique, directeur des relations santé de MNH Group
- Madame Isabelle Hilali, fondatrice de DataCraft
- Monsieur Jacques Légli, directeur de l'hôpital de Foch, Suresnes
- Pr Alexandre Loupy, néphrologue (Necker, AP-HP), directeur de Paris Transplant Group, directeur de l'équipe de recherche Unité U 970 INSERM PARCC / HEGP
- Dr Didier Mennecier, directeur des Systèmes d'Information et du Numérique au Service de Santé des Armées (SSA)
- Madame Dominique Polton, vice-présidente du conseil stratégique de l'innovation en santé
- Professeur Fabien Reyal, chef du service de chirurgie gynécologique sénologique et reconstructrice (Institut Curie), fondateur du programme Seintinelles
- Dr Alain Tenaillon, médecin réanimateur, administrateur de l'association Renaloo
- Madame Sajida Zouarhi, experte de la technologie blockchain

#### **Collège des Patient·e·s, proches ou aidants**

Ce collège comprend des patient·e·s, membres ou non d'associations de patient·e·s, engagés par ailleurs dans des projets de démocratie sanitaire.

- Madame Béate Bartès, présidente de l'association Vivre sans thyroïde
- Madame Anne Buisson, directrice adjointe de l'association AFA Crohn/RCH France
- Madame Yvanie Caillé, fondatrice de l'association Renaloo
- Madame Catherine Cerisey, co-fondatrice de Patients & Web
- Monsieur Guillaume de Durat, président des universités des déserts numériques et médicaux, consultant en affaires publiques
- Monsieur Laurent di Meglio, administrateur de Renaloo, directeur juridique du groupe COVEA
- Madame Marianne Doz, économiste de la santé, administratrice de l'association Renaloo
- Monsieur Fabrice Pilorgé, directeur de l'Association Française des Hémophiles

## **IV – Modalités du recueil et du traitement des données**

Cette étude relève de la méthodologie de référence MR004 et est soumise à une déclaration de conformité auprès des autorités compétentes conformément à la loi en en vigueur.

#### **4.1 – Parcours répondant·e – questionnaire en ligne**

---

Les personnes qui souhaiteront participer à l'étude en ligne devront y accéder via le site MoiPatient.fr. Le lien vers la page de l'étude sur MoiPatient.fr sera indiqué dans les communications des associations (voir 5.1 Circuit de l'information / Communication).

Une fois connectées à la page de l'étude sur MoiPatient.fr, les personnes qui cliquent sur le bouton « Participer » seront dirigées vers l'espace de connexion/d'inscription.

- Si les personnes ont d'ores et déjà créé un compte personnel sur MoiPatient.fr (spontanément ou à la faveur d'une précédente étude), elles sont invitées à s'identifier et peuvent participer à cette étude si leur questionnaire de profil est complet (dans le cas contraire, elles sont invitées à compléter leur questionnaire de profil).

- Si les personnes ne disposent pas encore de compte personnel sur MoiPatient.fr, elles sont invitées à s'inscrire en renseignant deux champs (adresse mail et mot de passe) et à consentir aux Conditions Générales d'Utilisation (CGU) et à la politique de confidentialité de MoiPatient.fr. Après activation d'un lien reçu par mail, les personnes disposeront d'un compte personnel MoiPatient. Elles sont invitées à se connecter et dès cette première connexion peuvent remplir un « questionnaire de profil » comprenant des questions relatives à leur situation. Après avoir consenti à l'utilisation de leurs données de profil selon les finalités énoncées, elles voient la liste des études ouvertes et peuvent facilement retrouver l'étude en question puis cliquer sur « Participer ». Il s'agit de la procédure classique d'accès à la plateforme MoiPatient.

- Les personnes répondent ensuite aux questions de l'étude. Le consentement propre aux finalités de l'étude est recueilli à deux moments : 1) au cours du questionnaire lorsqu'elles cliquent sur sauvegarder pour y revenir plus tard 2) à la fin du questionnaire pour finaliser leur participation. (MoiPatient a fait le choix de demander le consentement à la fin pour s'assurer que les personnes ont bien vu toutes les questions qui leur sont posées)

➔ voir détail des finalités 5.2 – Recueil du consentement des patient·e·s

#### **4.2 – Parcours répondant·e - questionnaire papier**

---

Transhépate diffusera des questionnaires sous format papier auprès des patient.e.s et leurs proches concerné.e.s par la greffe hépatique via, notamment, les centres de greffe.

Le questionnaire sera transmis avec la lettre d'information patient.e ainsi qu'une enveloppe T, pré-affranchie.

Les réponses au questionnaire papier seront à transmettre, sous lettre T pré-affranchie à CEMKA (43 boulevard du Maréchal Joffre – 92 340 Bourg-la-Reine), qui se chargera de les saisir numériquement sur MoiPatient et de les analyser (voir 4.4 Analyse des données).

### **4.3 – Hébergement des données**

---

Le questionnaire requiert des données personnelles de santé. C'est donc dans un cadre hautement sécurisé que les réponses sont collectées et administrées par MoiPatient en tant que responsable du traitement des données.

Les réponses des personnes ayant participé à l'étude en ligne seront recueillies via MoiPatient.fr et hébergées chez un hébergeur agréé de données de santé (Claranet, 2 rue Bréguet, 75011, Paris).

→ Les données recueillies par MoiPatient seront conservées 15 ans (entrepôt de données de santé : assurer la pérennité de la communauté de patient.e.s, permettre aux patient.e.s de se connecter à leurs comptes et de retrouver les études auxquelles ils/elles ont participé).

Les réponses des personnes ayant participé à l'étude sous format papier seront saisies informatiquement par CEMKA sur MoiPatient.fr avec un accès sécurisé (login et mot de passe). Ces données seront ainsi hébergées dans les mêmes conditions que celles qui auront été recueillies directement via la participation en ligne à l'étude (par un hébergeur agréé de données de santé) de façon à pouvoir procéder à une analyse globale de l'ensemble des données. En revanche, les données recueillies via le questionnaire papier ne seront pas associées à un compte personnel (mail et mot de passe).

→ Les données traitées par CEMKA seront conservées 2 ans après la remise du rapport final puis détruites après accord de Renaloo, en même temps que les bases statistiques contenant les données individuelles.

### **4.4 – Analyse des données**

---

La société MoiPatient est responsable du traitement des données de santé. En tant que promoteur de l'étude, Renaloo est également responsable du traitement des données. Les associations (Renaloo – promoteur) et (France Greffe cœur et/ou Poumons, Transhépate et Vaincre la Mucoviscidose – partenaires) n'auront pas accès aux données brutes.

Pour l'analyse statistique des données, le bureau d'étude CEMKA, aura accès à des fichiers .csv pseudonymisés (un fichier informatique de type tableur, dont les valeurs sont séparées par des virgules) extraits de la base de données. Cet accès se fera de manière sécurisée :

- Cemka met à disposition de MoiPatient un lien de dépôt du fichier .csv sécurisé.
- MoiPatient extrait les données de l'étude depuis sa base, stocke/héberge le fichier sur son serveur personnel (ordinateur), déverse le fichier via le lien transmis par Cemka, puis supprime le fichier de son serveur personnel.

- Cemka peut ensuite télécharger le fichier, il sera alors directement stocké chez son hébergeur agréé de santé. Pendant la période d'analyse, les données individuelles seront sauvegardées sur le serveur de Cemka (hébergeur de données de santé – Asplenium, 7 rue Petit 92110 Clichy).

Les analyses statistiques seront réalisées sous le logiciel SAS 9.4. Le statisticien aura en charge le data-management des données et la création d'éventuelles variables dérivées.

L'analyse statistique sera descriptive. Elle inclura une analyse des répondant.e.s et de leur représentativité par rapport aux données nationales (par type de greffe et profil socio-démographique). Si le nombre de répondant.e.s souhaité par organe n'est pas obtenu, un redressement statistique pourra être réalisé. Les analyses seront descriptives. Elles intégreront une analyse complète de l'ensemble des items du questionnaire, sur l'ensemble des répondant.e.s et par type de greffe ; elles seront complétées par des analyses croisées selon les principales caractéristiques des personnes (âge, genre et ancienneté de la greffe). Des tests statistiques adaptés (au type de critères analysés) seront utilisés pour la comparaison de groupes de patient.e.s.

Un rapport présentera les principaux résultats de l'étude. L'ensemble des résultats statistiques réalisés seront joints en annexe.

Un séminaire interassociatif sera organisé en novembre 2021 pour présenter les résultats de l'analyse statistique des données à une communauté de patient.e.s concerné.e.s, à des professionnel.le.s de santé et à plusieurs acteurs/trices institutionnels impliqué.e.s dans les processus d'évaluation des médicaments.

## **V – Information des patient.e.s**

### **5.1 – Documents présentés aux patient.e.s et circuits de l'information / communication**

Le lien vers la page de l'étude sur MoiPatient.fr sera indiqué dans la communication :

- dans la lettre d'information et dans les mails et posts diffusés via les différentes associations de patient.e.s partenaires du projet impliquées dans la co-construction du questionnaire (France Greffe cœur et/ou Poumons, Renaloo, Transhépate et Vaincre la Mucoviscidose).
- D'autres associations de patient.e.s présenteront, si elles le souhaitent, l'étude aux patient.e.s concerné.e.s via leurs divers outils de communication (newsletters, mailing, etc.). Elles pourront relayer l'information auprès de leur communauté de patient.e.s, à partir du modèle de la lettre d'information susmentionnée, adaptable selon leurs souhaits.
- Les professionnel.le.s exerçant au sein des centres de greffe hépatique présenteront, s'ils/elles le souhaitent, l'étude aux patient.e.s concerné.e.s grâce à des supports d'informations dédiés (flyers, fiches d'information qui seront mises à leur disposition par les quatre associations impliquées dans la co-construction du questionnaire)

→ Questionnaire papier : les lettres d'informations seront par ailleurs adressées aux centres de greffes en même temps que les questionnaires papier.

Relances :

- des relances seront réalisées auprès des patient.e.s par le biais des associations de patient.e.s.
- des relances ciblées pourront en outre être réalisées, en fonction de l'avancement de l'étude et des premiers retours analysés par CEMKA (par ex. si le nombre de participant.e.s paraît insuffisant au regard du taux de réponse cible ou dans le cas d'une répartition déséquilibrée selon le type d'organe greffé des répondant.e.s).
- Les questionnaires papiers porteront un code permettant de renseigner le centre de greffe via lequel les participant.e.s auront reçu le questionnaire, permettant de cibler les relances (double numérotation, N° de centre, N° de patient.e).

Publication des résultats :

- Les répondant.e.s recevront un mail de MoiPatient leur indiquant que les résultats sont publiés. Ils seront librement accessible sur la page « les études terminées » de MoiPatient.
- Un séminaire sera organisé en novembre 2021 pour présenter les résultats à une communauté de patient.e.s greffé.e.s et aux insitutions chargées de l'évaluation des médicaments.

Le patient.e dispose de deux textes :

- Le protocole de l'étude.

Le présent protocole sera mis en ligne sur MoiPatient.fr, facilement accessible pour les répondant.e.s et pourra être adressé à l'ensemble des patient.e.s et professionnel.le.s de santé intéressé.e.s par l'étude qui en feront la demande.

- Lettre d'information aux patient.e.s (voir 5.3) / Texte de présentation de l'étude

Le texte de présentation de l'étude sur la page web de l'étude reprend les grandes lignes de la lettre d'information aux patient.e.s. Les mentions sur les droits relatifs aux données personnelles sont bien visibles sur le site MoiPatient.

La lettre d'information explique le déroulé et contenu de l'étude et rappellera notamment les droits des patient.e.s selon la réglementation européenne (RGPD - Règlement UE 2016/679 du Parlement Européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données) et mentionnera les coordonnées du DPO (Data Protection Officer) de MoiPatient.

## 5.2 – Recueil du consentement des patient·e·s

---

Le·la patient·e·s est renseigné·e tout au long de son parcours sur MoiPatient.fr :

- A la création du compte sur MoiPatient : [CGU](#) et [politiques de confidentialité](#).
- Au remplissage de son questionnaire de profil : cases à cocher avec finalité de la collecte :
  - J'accepte que Moipatient stocke et traite mes données de santé selon cette première finalité : *MoiPatient pourra créer des résultats d'études par type de publics (par exemple mettre à jour des inégalités, mettre en avant des résultats selon certaines situation de vie, etc)*
  - J'accepte que Moipatient stocke et traite mes données de santé selon cette seconde finalité : *"MoiPatient pourra vous informer par mail des études ouvertes qui vous concernent."*
- A la participation à l'étude : cases à cocher avec finalité de la collecte :
  - J'accepte de participer à cette étude de Renaloo/Vaincre la Mucoviscidose/France Greffe Coeur Poumons/Transhépate et donc que Moipatient stocke et traite mes données de santé selon la finalité suivante : *produire des résultats de recherche afin d'agir pour que l'évaluation des médicaments par les autorités de santé tienne compte de l'impact qu'ils ont sur la qualité de vie des patient·e·s.*
  - J'ai compris [les garanties](#) que m'offrait MoiPatient quant à la collecte de mes données personnelles : aucune de mes données ne sera jamais partagée à des tiers ; je dispose de droits sur mes données ; elles sont hébergées de manière sécurisée...

Dans le cadre du questionnaire papier : la lettre d'information aux patient·e·s est jointe au questionnaire.

## 5.3 – Lettre d'information adressée aux patient·e·s

---

Bonjour à toutes et tous,

Une grande étude visant à l'évaluer l'expérience des patient.e.s transplanté.e.s vivant avec des médicaments anti-rejet est lancée à l'initiative de plusieurs associations de patient.e.s (France Greffe cœur et/ou Poumons, Renaloo, Transhépate et Vaincre la Mucoviscidose).

Vous êtes transplanté.e, vous savez mieux que personne ce qu'est la vie avec des immunosuppresseurs. Le partage de votre expérience ? peut être extrêmement utile pour contribuer à améliorer les connaissances sur l'impact de ces médicaments sur votre vie.



Cette étude propose à chacun.e d'entre vous de faire entendre votre voix, d'agir pour que l'évaluation des médicaments tienne compte de l'impact qu'ils ont sur votre qualité de vie.

Le questionnaire a été co-construit collectivement par nos quatre associations avec l'aide de plusieurs professionnel.le.s (professionnel.le.s de santé, chercheurs en sciences sociales, méthodologiste) puis relu et complété par une quarantaine de patient.e.s transplanté.e.s.

Il s'agit donc d'un projet 100% associatif, développé PAR ET POUR LES PATIENT.E.S !

Pour y participer, il vous suffit d'aller sur [MoiPatient.fr](http://MoiPatient.fr) d'où vous pourrez créer un compte pour accéder au questionnaire.

Vous êtes proches d'un.e patient.e qui n'est pas en mesure de répondre lui/elle-même au questionnaire : vous avez la possibilité de répondre en son nom.

Deux mois pour répondre ! Mis en ligne fin février 2021, le questionnaire sera accessible jusqu'en avril 2021.

Vous souhaitez être supporter actif/active de cette étude ? Parlez-en autour de vous, de vos proches transplanté.e.s car plus nous serons nombreux/ses à répondre, plus nous serons fort.e.s et mieux nous serons écouté.e.s !

Magali LEO, responsable de l'étude, est à votre disposition pour toute question relative à cette étude ([magali.leo@renaloo.com](mailto:magali.leo@renaloo.com)).

Cher.e.s ami.e.s, à vos claviers, à vos stylos !

Solidairement,

#### **5.4 – Annexe à la lettre d'information aux patient.e.s**

---

##### 1] Votre intérêt passe avant tout.

- La méthodologie de l'étude a été validée par le Comité scientifique d'intérêt des Patient.e.s de MoiPatient.
- Les participant.e.s à l'étude recevront les résultats en priorité.
- Inscrit.e sur MoiPatient, chacun.e disposera d'un compte personnel lui permettant de rejoindre une communauté de patient.e.s engagée en faveur de la recherche citoyenne destinée à améliorer la qualité de la prise en charge des patient.e.s : votre consentement sera requis lors de votre création de compte et à chaque étude.

##### 2] Vos données de santé sont protégées. MoiPatient en est responsable.

- Vos données seront uniquement utilisées dans le but fixé par cette étude. Elles ne seront jamais transmises à une autre organisation, seuls les résultats des analyses sont partagés.

- Vos données sont hébergées par un hébergeur agréé de données de santé et ne feront l'objet d'aucun transfert hors de France.
- Elles sont conservées 15 ans par MoiPatient pour assurer la pérennité de la communauté de patient.e.s (par exemple pour que vous puissiez vous connecter à votre compte MoiPatient et retrouver les études auxquelles vous avez participé) et 2 ans par Cemka pour réaliser l'analyse/rédiger le rapport final (elles seront ensuite détruites).
- Cette étude relève de la méthodologie de référence MR004 et est soumise à une déclaration de conformité auprès des autorités compétentes conformément à la loi en en vigueur.

### 3] Vos droits sont respectés.

- Vous pouvez exercer vos droits à tout moment directement sur MesData.fr ou auprès de Manon Molins, DPO - data protection officer de MoiPatient (manon.molins@moiPatient.fr).
- L'ensemble des intervenant.e.s agissant dans le cadre de cette étude est soumis au secret professionnel. Les informations vous concernant sont confidentielles et seront associées à celles des autres patient.e.s participant à cette étude à des fins d'analyses statistiques.
- Votre participation à l'étude est totalement volontaire. Tout refus de participation sera sans conséquence sur votre prise en charge médicale. Elle ne changera ni votre suivi ni votre relation habituelle avec votre association ou votre professionnel.le de santé.

Rappel : vos droits au titre de la réglementation européenne (règlement (UE) 2016/679 du parlement Européen et du conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données :

- Droit à l'information : vous pouvez recevoir des informations concernant le traitement de vos données.
- Droit de rectification de vos données : vous êtes en droit de demander de rectifier, toutes ou certaines informations détenues à votre sujet
- Droit à l'effacement (« droit à l'oubli ») de vos données : vous êtes en droit de demander de supprimer toutes les informations détenues à votre sujet.
- Droit à la limitation de l'utilisation de vos données : vous pouvez demander que certaines de vos données ne soient pas traitées.
- Droit d'opposition au traitement de vos données : vous pouvez vous opposer à ce que des données vous concernant fassent l'objet d'un traitement.
- Droit d'accès à vos données : vous êtes en droit de demander à accéder à toutes les informations détenues à votre sujet recueillies dans cette étude.
- Droit à la portabilité de vos données : vous pouvez faire transmettre vos données entre vos différents fournisseurs de services ou demander à récupérer vos informations dans un format lisible par des machines.

Les acteurs de l'étude :

Rôle	Nom	Coordonnées
Promoteur de l'étude	Renaloo (association de patient·e·s)	29 bis rue Buffon – 75005 Paris <a href="http://www.renaloo.com/">http://www.renaloo.com/</a>
Partenaire associatif du promoteur	France Greffe Cœur et/ou Poumons  Transhépate  Vaincre la Mucoviscidose	<a href="http://www.france-coeur-poumon.asso.fr/">http://www.france-coeur-poumon.asso.fr/</a>  <a href="https://www.transhepate.org/">https://www.transhepate.org/</a>  <a href="https://www.vaincrelamuco.org/">https://www.vaincrelamuco.org/</a>
Mise en œuvre (appui rédaction questionnaire et analyse des données)	CEMKA	43 bd du Maréchal Joffre - 92340 Bourg la Reine
Mise en œuvre (implémentation du questionnaire, recueil des données)	MoiPatient	29 bis rue Buffon – 75005 Paris
Partenaire de l'étude	Open Society Foundations	<a href="https://www.opensocietyfoundations.org/">https://www.opensocietyfoundations.org/</a>
Autorité de contrôle nationale	CNIL	3 Place de Fontenoy 75007 Paris