

PLAIDOYER ASSOCIATIF :

Agir pour que les médicaments d'aujourd'hui et de demain soient évalués en prenant en compte la perspective patient

Enseignements de l'étude sur l'évaluation de l'expérience des patients transplantés vivant avec des médicaments anti-rejet



Edito politique :

Mise à mal par la crise sanitaire, la démocratie en santé est amenée à trouver un nouveau souffle à travers le renforcement de l'engagement des usagers dans la recherche et l'évaluation des produits de santé.

En l'état, la valeur apportée par les patients aux processus de recherche et d'évaluation passe par une prise en compte de la perspective patients, une notion qui rassemble l'expérience patient, la qualité de vie et la préférence patient. Cette prise en compte constitue un levier culturel et organisationnel fort pour notre système de santé mais elle peine à s'appliquer, notamment en raison de difficultés à établir des indicateurs pertinents, à produire des données de qualité et interprétables par les autorités.

C'est dans ce contexte qu'intervient l'étude à l'initiative de Renaloo, en partenariat avec France Greffe Cœur et/ou Poumons, Transhépate et Vaincre la Mucoviscidose, portant sur l'évaluation de l'expérience des patients transplantés vivant avec des médicaments antirejet.

De cette démarche découle la conclusion qu'une prise en compte de la perspective patient dans l'évaluation des médicaments est non seulement souhaitable, mais possible. Elle peut en effet s'appuyer sur les résultats obtenus par et pour les patients.

La réalisation de ce projet est la preuve qu'il est aujourd'hui possible de dépasser le paradigme du patient « représentant » pour aboutir à une réelle implication des usagers, acteurs de bout en bout dans les processus de recherche et d'évaluation des technologies de santé.

Le chemin est encore long pour envisager la systématisation de ce type de démarche et l'acculturation du système de santé à leur prise en compte. Ce plaidoyer propose une série d'actions concrètes à déployer pour accompagner ce changement et contribuer à apporter un nouveau souffle à la démocratie en santé.

Cosignataires

I. FAVORISER L'IMPLICATION DES PATIENTS DANS LA RECHERCHE CLINIQUE POUR REpondre PLUS FINEMENT A LEURS BESOINS ET ATTENTES

a) [Les patients dans la recherche, où en sommes-nous ?](#)

L'importance de l'implication des patients dans la recherche clinique est aujourd'hui bien reconnue pour améliorer la qualité, la quantité et l'efficacité des études.

Certains programmes témoignent de cette reconnaissance, à l'instar des actions menées par le Collège des relecteurs de l'Inserm en lien avec le pôle de recherche clinique. Des dizaines de patients, membres du Collège, peuvent y formuler des propositions pour améliorer les documents de recherche et les protocoles. **Ce modèle produit des résultats concrets et positifs pour l'ensemble des acteurs** : une meilleure information des patients, qui renforce leur relation et leur confiance envers les équipes de recherche, un recrutement facilité et consolidé par la relation de confiance, et un gain de temps dans les processus de relecture par les différents comités du collège.

Ces dernières années, d'autres initiatives ont marqué des avancées fortes sur les partenariats entre la recherche médicale et les patients : en 2014, le prestigieux British Medical Journal (BMJ) annonçait sa « révolution des patients », garantissant leur implication de manière précoce dans les travaux de recherche, le choix des thématiques, le design des études tout en documentant leur participation en tant que contributeurs ou co-auteurs. Le comité éditorial du journal a d'ailleurs fait le choix d'impliquer systématiquement des personnes malades dans toutes ses décisions internes, ainsi qu'aux congrès du BMJ.

Pour autant, il reste encore de nombreuses étapes et limites à franchir pour intégrer pleinement les patients dans les processus de planification, de mise en place et de surveillance des études cliniques.

La recherche médicale est fortement internationalisée, ce qui complexifie son approche et sa compréhension par les patients. Le coût, la technicité et les méthodes appliquées à la recherche limitent également la capacité des patients et des usagers à contribuer ou à s'impliquer directement dans les protocoles.

Dans cet esprit, et en pleine connaissance de ces obstacles, notre action collective a été menée par les patients et pour les patients, tout au long de la chaîne de production de l'étude – de l'élaboration du questionnaire à sa diffusion et son remplissage.

b) [Les enseignements de l'étude : les associations de patients peuvent concourir à la production de données de perspective patient pour la recherche](#)

A travers la démarche collaborative et partenariale portée par France Greffe Cœur et/ou Poumons, Renaloo, Transhépate et Vaincre la Mucoviscidose, plus de 850 patients ont participé à l'étude sur la plateforme MoiPatient.fr.

Au-delà de l'utilisation de leurs ressources propres, les associations ont démontré **une capacité à convaincre et rassembler des soutiens financiers et humains, publics et privés** : Open Society Foundations, l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé et la Caisse nationale de l'Assurance Maladie nous ont accompagnés tout au long du projet.

Dans le respect des exigences méthodologiques et au service de l'intérêt des patients, le questionnaire a été construit en s'appuyant sur l'expertise d'une quarantaine de patients, issus des quatre associations partenaires, et validé par le comité scientifique de MoiPatient : le Conseil Scientifique d'Intérêt des Patient (CSiP).

Une étude transversale sur la base d'un questionnaire coconstruit avec :



France Greffes
Cœur Pouxmons

VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE

Renaloo
ASSOCIATION DE PATIENTS
Maladies rénales, greffe, dialyse

TRANSPLANTE



Environ 40 patients réunis en séminaire (2-3/12/2019)



Des professionnels de santé, experts en sciences sociales et méthodologistes

- Démarche règlementaire MR004
- Questionnaire accessible sur **la plateforme en ligne MoiPatient**
- Diffusion via les réseaux sociaux et communication des associations



MoiPatient

c) [Cette expérience nous a amenés à identifier plusieurs leviers d'action pour contribuer à améliorer la capacité des patients à s'impliquer dans la recherche clinique](#)

1. **Encourager la multiplication des partenariats entre associations de patients et équipes de recherche**, à l'image des programmes menés par le Collège des relecteurs de l'Inserm, ou encore la mise place du Comité de patients en Recherche Clinique en Cancérologie de la Ligue contre le cancer.
2. **Identifier de nouvelles sources de financements destinés aux études menées par les associations de patients** : par exemple en mettant à disposition des enveloppes dédiées dans les futurs « Programmes et équipements prioritaires de recherche » (P.E.P.R.) prévus dans le 4^{ème} plan d'investissement d'avenir (PIA4).
3. **Développer des programmes de formation aux exigences techniques et méthodologiques de la recherche clinique à destination des associations** et sous l'égide du ministère de la Santé et du ministère de la Recherche. Cette initiative permettrait de désacraliser la recherche, d'informer et de former les patients pour leur permettre de travailler aux côtés des chercheurs.

II. RENFORCER LA PRISE EN COMPTE DE LA PERSPECTIVE PATIENT POUR OBJECTIVER LA VALEUR DES PRODUITS DE SANTE

a) [Les patients dans l'évaluation des technologies de santé, où en sommes-nous ?](#)

Depuis plusieurs années, les autorités évaluatrices s'attachent à associer les patients dans leurs instances. La composition des trois commissions règlementées de la HAS (Commission de la transparence (CT), Commission nationale d'évaluation des dispositifs médicaux et des technologies de santé (CNEDIMTS) et Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) s'est ainsi successivement enrichie de membres choisis parmi les adhérents d'associations agréées de patients. En outre, la HAS sollicite la participation de patients pour la constitution de groupes de travail ou de lecture pour certaines évaluations, mais également lors de consultations publiques, ou d'entretiens dans le cadre du dispositif de « rencontres précoces » entre la HAS et un industriel en amont des évaluations.

Ces efforts résultent de la mise en œuvre de l'axe stratégique 2019-2024 de la HAS pour « Faire de l'engagement des usagers une priorité ». Après consultation des associations et des industriels, la HAS a récemment présenté sa feuille de route pour « Renforcer l'engagement des usagers dans l'évaluation des technologies de santé » en consolidant la participation des patients aux évaluations, dans les processus d'accès précoce des médicaments, mais également en améliorant la formation et l'information des partenaires associatifs.

En lien avec cette stratégie, la réforme de l'accès précoce prévoit depuis le 1^{er} juillet 2021 d'assortir les décisions d'autorisations d'accès précoce aux médicaments d'un protocole d'utilisation thérapeutique – recueil de données. Dans ce cadre, des procédures de consultation sont dorénavant mises en place pour les associations de patients afin d'assurer la prise en compte de la perspective patient dans l'accès précoce des futurs médicaments.

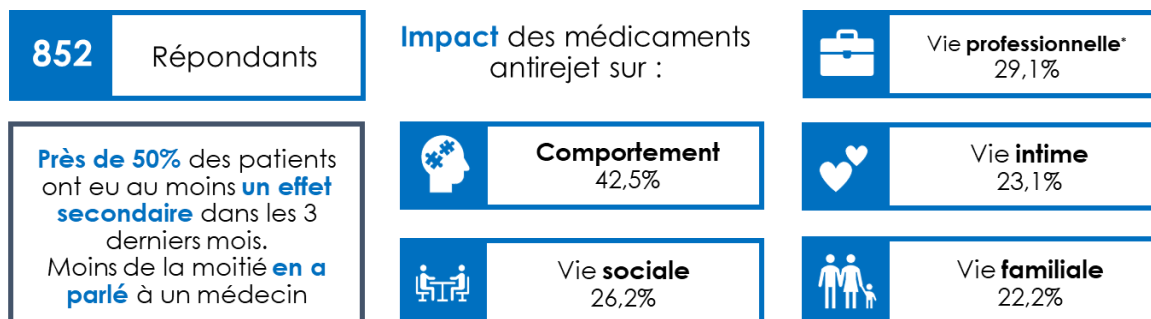
Dans l'attente de la mise en œuvre concrète de cette feuille de route, l'implication des patients dans les processus d'évaluation reste encore, le plus souvent, une logique de représentation, et ce malgré la systématisation du dispositif d'appel à contribution des associations d'usagers.

En outre, les critères d'évaluation définis par les autorités ne comprennent pas encore la notion de Perspective Patient. Dès lors, les laboratoires de recherche, sans prise en compte de cette notion dans la définition du taux de remboursement ou de la fixation des prix, ne sont pas incités à recueillir et analyser ce type de données.

b) [Les enseignements de l'étude : les données d'expérience patient apportent un regard neuf sur l'impact et la valeur des technologies de santé mais leur prise en compte dans l'évaluation reste insuffisante](#)

Si l'évaluation du service médical rendu (SMR) par la Haute Autorité de Santé se base sur l'efficacité et les effets indésirables des traitements, le degré d'atteinte à la qualité de vie du patient, son expérience et ses préférences sont insuffisamment pris en compte et les critères actuels sont jugés inadaptés. Ici intervient la contribution des études fondées sur l'expérience patient, à l'instar de l'étude sur **l'évaluation de l'expérience des patients transplantés vivant avec des médicaments antirejet**. Dans le cas des médicaments antirejet, elle conclut à certaines conséquences négatives du traitement sur les patients transplantés. Elle souligne en particulier son caractère contraignant pour 28,1% des patients (horaires fixes, faible flexibilité).

En outre, 22,2% des répondants font état d'un impact sur la vie familiale et 23,1% relèvent un impact sur la vie intime ou sexuelle. De plus, pour 29,0% des patients transplantés, les médicaments antirejet ont un impact négatif fort sur la reprise d'une activité professionnelle normale.



Une meilleure prise en compte de ces résultats dans les processus d'évaluation des médicaments immunosuppresseurs présenterait un intérêt pour l'ensemble des parties prenantes :

- Les industriels seraient incités à réorienter positivement le cadre de leurs recherches dans l'innovation en visant, à bénéfice clinique égal, à améliorer l'expérience des patients par rapport aux traitements existants.
- Les évaluateurs et les payeurs y trouveraient un nouvel outil d'objectivation de la valeur apportée par les produits de santé
- Les patients transplantés accèderaient à des traitements répondant plus finement à leurs besoins et attentes.

c) [Pour valoriser les résultats des études réalisées par les associations de patients, notre collectif propose une transition concrète d'une logique de représentation à la prise en compte d'un véritable critère patient dans l'évaluation](#)

1. **Capitaliser sur la feuille de route « Renforcer l'engagement des usagers dans l'évaluation des technologies de santé » de la HAS pour proposer la création d'un nouveau « critère patient »** dans l'évaluation qui permettrait de rassembler et mesurer objectivement la qualité de vie, l'expérience et la préférence des patients dans leur prise en soins et leurs traitements. Ce dispositif constituerait un terreau fertile à l'émergence de nouvelles plateformes et programmes de recherches à l'initiative des associations et soutenus par les parties prenantes du système de santé.
2. **Croiser les données obtenues par les patients avec les données existantes dans les bases publiques**, en particulier, les données administratives, génomiques et hospitalières centralisées au sein du Health Data Hub (HDH). Initié en 2019, le HDH pourrait être un instrument particulièrement pertinent pour faire émerger des données complémentaires de qualité de vie et de perspective patient.

III. AMÉLIORER LES PARCOURS DE SOINS GRÂCE AUX REMONTÉES DE L'EXPÉRIENCE PATIENT

a) Le rôle de l'expérience patient dans l'amélioration des parcours, où en sommes-nous ?

Les enjeux liés à la transformation du système de santé, notamment dans l'amélioration de la qualité des soins, en termes de résultats et de pertinence, incitent à intégrer le point de vue du patient dans les démarches d'évolution des parcours. Au cœur de ces changements, les outils digitaux de communication et de recueil de données sont de plus en plus performants, les patients et les aidants s'informent de plus en plus et se mobilisent pour améliorer **la prise en compte de leur expérience et de leurs préférences tout au long de la trajectoire de soins**.

La mesure de l'expérience des patients dans les parcours fait appel à la fois aux éléments factuels des épisodes de soins et à la perception des patients à l'égard de la qualité de son accompagnement et des services reçus. Ce mode d'approche, intégré à la démarche qualité de certains établissements de santé, représente une modalité d'analyse des parcours « patient » complémentaire aux méthodes déployées, du type « patient traceur ».

A l'image des Hospices Civiles de Lyon (HCL) qui impliquent leurs patients dans leur parcours à travers le dispositif PEPS (Partenariat et expérience patient en santé), l'administration hospitalière a fait le choix d'intégrer l'expérience des patients pour construire des réponses adaptées. Les connaissances et les compétences des patients sont considérées comme une réelle opportunité pour l'hôpital, qui doit apprendre à construire ses projets et ses prises en charge pour et avec eux.

Cette mise en place de partenariats entre des équipes des HCL et des patients-partenaires permet de maximiser l'impact de l'expérience patient pour améliorer la qualité des parcours de soins.

En lien avec cet exemple, plus les parcours seront ajustés au vécu et à l'expérience du patient et plus ils seront à même de favoriser :

- i. **Une meilleure qualité de vie**
- ii. **Une meilleure efficacité de la prise en charge thérapeutique** (abaissement des résistances, adhésion au traitement)
- iii. **Une meilleure pertinence** conduisant à une organisation plus fluide et plus transversale des parcours de soins

b) Les enseignements de l'étude : l'expérience patient peut accompagner la transformation des parcours

Au-delà de l'impact du traitement sur la qualité de vie du patient, l'étude menée par le collectif apporte un éclairage sur la qualité de vie du patient greffé au regard de son parcours, incluant son rapport à l'information et à son équipe soignante. Elle conclut par exemple à un **manque d'information sur les événements indésirables associés au traitement antirejet** : 40,2% des patients estiment ainsi avoir été insuffisamment informés par leur médecin sur les effets indésirables associés aux médicaments immunosuppresseurs, et ce malgré un niveau d'information élevé de la population de l'étude.

Par ailleurs, ce projet a démontré que la perspective patient n'est pas seulement apte à fournir un critère d'évaluation pour de nouveaux médicaments, mais constitue également un critère essentiel pour l'évaluation en vie réelle des médicaments et des parcours de soins.

Pour aller plus loin, le développement des études en vie réelle dans les parcours devrait s'enrichir davantage de la perspective patient, en particulier dans le cadre réformé de l'accès précoce du 1^{er} juillet 2021 et des autorisations conditionnelles.

c) [Notre collectif est convaincu que l'expérience patient doit être mise au service d'innovations organisationnelles pour transformer les parcours. Cela pourrait se traduire dans l'application d'une série de mesures concrètes](#)

1. Renforcer les programmes visant à inclure l'expérience patient, tant dans le cadre de la certification des établissements que dans l'évaluation des parcours, en particulier dans le cadre du virage ambulatoire alors que le patient est amené à être vecteur de la coordination ville-hôpital.

2. Injecter l'expérience patient dans l'élaboration des modes de rémunération forfaitaires des professionnels de santé. Cette mesure permettrait d'organiser une incitation à l'amélioration des parcours en lien avec la stratégie du Gouvernement.

3. Travailler avec le comité technique du conseil stratégique de l'innovation en santé chargé des expérimentations article 51 pour inclure par défaut le critère d'expérience patient dans les modalités d'évaluation des projets en vue de leur rentrée dans le droit commun.

4. Organiser une réflexion avec la Haute Autorité de Santé pour construire les futurs parcours de soins au regard des données d'expérience patient. Cette mesure pourrait débiter par la réalisation systématique de *focus groups* auprès des patients et l'identification des points de rupture des parcours selon leur vécu et leurs expériences.

5. Développer un module spécifique de formation sur la Décision Médicale Partagée (DMP) dans les enseignements délivrés aux professionnels de santé sur l'*Evidence Based Medicine* (EBM). Aujourd'hui absent des programmes, ce module permettrait de discuter avec les étudiants de la valeur que peut avoir la perspective patient dans un processus de DMP fondé sur l'information complète et éclairée des patients mais aussi sur la co-construction de la décision. A l'image des résultats obtenus sur l'enquête portée par le collectif, cette décision partagée est particulièrement attendue par les patients notamment à l'initiation d'un traitement ou lors de son ajustement en cas d'effets secondaires ou indésirables.