

SYNTHÈSE DU SÉMINAIRE

Mettre l'expérience des patients au cœur de l'évaluation des traitements et des parcours de soins

Présentation des résultats de l'étude
« Vivre avec des médicaments anti-rejet »

Vendredi 24 septembre 2021

Un évènement inter associatif organisé par :



PRÉSENTATION DE MOIPATIENT



Laurent Di Meglio
Président de MoiPatient

*« Grâce à la plateforme **MoiPatient**, nous passons progressivement d'une posture d'utilisateur du système de santé à une posture d'acteur de ses évolutions. »*



MoiPatient est né du constat **qu'il manquait dans le paysage de la recherche un outil de recueil des données de santé à disposition des patients et des associations.**

Créé à la fin de l'année 2019 à l'initiative de Renaloo, le projet a été soutenu et encouragé par les pouvoirs publics et plus spécifiquement par l'ARS Ile-de-France. **L'outil a désormais vocation à ouvrir ses instances à d'autres associations de patients pour devenir un outil commun.**

La plateforme poursuit **deux objectifs** :

- 1) Elle offre un outil sécurisé, « Mes Data », pour recueillir les données des patients dans le cadre d'enquête protocolisées
- 2) Elle met à la disposition de l'ensemble des usagers une cartographie et les évaluations des établissements de soins à des fins d'information et d'orientation, « Mes Soins »

MoiPatient se positionne comme un tiers de confiance auprès des associations, des pouvoirs publics et des usagers, en mettant en œuvre un certain nombre de garanties.

Son pilotage par les associations repose sur **une gouvernance attentive aux démarches de co-construction**. Cette démarche s'accompagne de fortes exigences méthodologiques, puisque les questionnaires d'enquête sont systématiquement construits par les patients eux-mêmes. Le conseil scientifique d'intérêt des patients de MoiPatient, le CISP, composé de médecins, d'experts et de patients, valide systématiquement les études conduites au sein de MoiPatient sur les plans scientifique et éthique. Enfin, la plateforme a fixé un très haut niveau de protection des données personnelles des patients, en lien avec la CNIL.

Fort de ce positionnement éthique et scientifique, sa vocation est désormais d'être mise à disposition de l'ensemble des acteurs du monde de la santé pour le recueil des données, pour et avec les patients.

Mot d'introduction des associations



« Dans cette période où la parole scientifique est au cœur des débats, la voix des patients doit pouvoir contribuer à l'expertise en santé. Cette étude va dans ce sens, et démontre que les patients sont riches d'une connaissance et d'une expérience. »

Christian BAUDELLOT, Vice-président de Renaloo



« De façon particulièrement accessible, l'étude exprime les voix des patients sur un problème quotidiennement vécu. Surtout, elle permet de rétablir un équilibre entre la relation parfois asymétrique entre patient et soignant, médecin et malade. »

Thierry GESSON, Premier Vice-président de France Greffes Cœur et ou Poumons



« Cette étude et ce séminaire ne sont qu'une étape vers la reconnaissance de la perspective patient dans l'évaluation des produits de santé et des parcours. Reste à établir une feuille de route pour engager les parties prenantes dans cette démarche. »

Eric BULEUX-OSMANN, Vice-président de Transhépate



« L'étude est l'aboutissement d'un important travail collectif autour de l'expérience des patients greffés. Elle est riche de sa démarche de co-construction avec les patients. »

Anne-Sophie DUFLOS, adjointe à la direction médicale de Vaincre la Mucoviscidose

Synthèse - Table ronde 1

LA PRISE EN COMPTE DE L'EXPÉRIENCE ET DE LA QUALITÉ DE VIE DES PATIENTS DE LA RECHERCHE À L'UTILISATION DES PRODUITS DE SANTÉ EN VIE RÉELLE : OÙ EN SOMMES-NOUS ?

1. **Claire MACABIAU**, *présidente de l'association France Greffe Cœur et ou Poumons*
 - Mot d'introduction
2. **Pr Olivier CHASSANY**, *professeur de thérapeutiques, Hôpital Hôtel-Dieu - URC-ECO*
 - Le développement des Patient Reported Outcomes (PROs) et de leur prise en compte dans l'évaluation des médicaments au cours des 20 dernières années
3. **Dr Olivier AUBERT**, *néphrologue, Hôpital Necker, Paris Transplant Group*
 - La transplantation, un champ de recherche pour la personnalisation des soins, au plus près des besoins des patients
4. **Christelle RATIGNIER-CARBONNEIL**, *directrice générale de l'ANSM*
 - Quel rôle de l'ANSM dans la promotion des tests en conditions réelles d'utilisation ?
5. **Pr Pierre COCHAT**, *président de la Commission de la Transparence de la Haute Autorité de Santé*
 - Comment et dans quelle mesure la HAS tient-elle compte de l'expérience et de la qualité de vie des patients dans ses évaluations ?



Mot d'introduction



Claire Macabiau
Présidente de l'association
France Greffe Cœur et/ou
Poumons



Greffée du cœur depuis 1998, Claire Macabiau vit depuis avec des médicaments antirejet, « avec des bas, beaucoup de hauts, et une conscience aigüe de ce qu'elle doit à son donneur » mais aussi, a fortiori, à ses traitements.

Elle rappelle le caractère ambivalent de la relation des patients avec les médicaments antirejet : « Les patients doivent tellement à leurs médicaments qu'ils acceptent à peu près tout de leur part ». Selon l'étude en effet, seule une faible proportion de patients rencontrant des effets indésirables en parlent à leur médecin. Pour la présidente de l'association France Greffe Cœur et ou Poumons, **c'est en raison du caractère vital de ces médicaments que les patients peuvent être réticents à en rapporter les événements indésirables.**

La participation à une étude comme celle sur l'expérience des patients vivant avec des médicaments antirejet, portée par Vaincre la Mucoviscidose, Renaloo, Transhépate et France Greffes Cœur ou Poumon, relève parfois pour les patients greffés de l'intime. **Néanmoins, ils ont aussi conscience qu'en partageant leurs vécus, leurs perspectives et leurs préférences, ils deviennent capables de produire des savoirs précieux sur la tolérance et les produits de santé, au bénéfice de l'ensemble des patients inscrits dans ces parcours de soins.**

*« Pour que les autorités
sanitaires ne nous
perçoivent plus comme
des patients qui patientent
mais comme des
personnes qui participent à
la recherche »*



Pr Olivier CHASSANY

Professeur de thérapeutiques, Hôpital Hôtel-Dieu

Ancien président du Comité de protection des personnes d'Ile-de-France, Oliver Chassany est professeur à l'université Paris Diderot. Son enseignement et ses travaux de recherche portent sur les *Patient-Reported Outcomes*.

Il est également professeur de thérapeutiques à l'unité de recherche clinique en économie de la santé de l'Hôtel Dieu, dont il est le responsable scientifique.

« Les données rapportées par les patients (PRO) ne sont pas là pour remplacer les autres critères pertinents mais pour compléter la connaissance que l'on a d'une thérapeutique et de son bénéfice. »

1. Grâce à la mobilisation des associations de patients, les *Patient Reported Outcomes* (PRO) sont aujourd'hui reconnus dans la recherche et l'évaluation.

Les PRO peuvent se définir simplement comme l'ensemble des concepts qui sont ressentis par les patients et rapportés directement par eux. Depuis 20 ans, on constate une évolution dans leur reconnaissance et ces dernières années marquent un tournant dans leur prise en compte par les tutelles :

- 1999 marque la première grande étape du développement des données rapportées par les patients, avec les premières réflexions de la FDA américaine sur la mesure des PRO dans les essais cliniques.
- Dix ans plus tard, en 2009, la FDA publie une *guideline* sur la manière de reconnaître les PRO comme un critère d'évaluation.
- Lui succède en 2014 le *Reflection paper* de l'Agence européenne du médicament sur l'usage des PRO dans les études sur l'oncologie. Elle y distingue trois critères majeurs en vue d'un remboursement : mortalité, morbidité et qualité de vie.

A la suite de ces étapes, on assiste à un changement de paradigme pour les *Patient Reported Outcomes*. Perçus initialement comme un outil de marketing, leur absence dans les dossiers doit désormais s'accompagner d'une justification.

2. Aujourd'hui reconnues, les données de PRO restent insuffisamment exploitées par les agences évaluatrices nationales.

Dans les évaluations pour l'accès au marché, les agences d'évaluation comme la FDA ou l'EMA prennent en compte les données PRO. A l'inverse, les agences nationales, à l'instar de la HAS, font une utilisation mesurée de ces données dans les dossiers de remboursement. En effet, les indicateurs PRO ne répondent pas encore pleinement aux standards méthodologiques de la HAS (en l'absence d'aveugles ou de randomisation) et restent à ce titre difficiles à interpréter par cette autorité.

La reconnaissance de l'expérience patient dans l'évaluation en vue d'un remboursement se heurte ainsi à plusieurs défis, parmi lesquels :

1) Le manque d'harmonisation des agences d'évaluation. A ce titre, le développement du projet de *joint clinical assessment* marquerait une première étape vers une évaluation européenne commune des dossiers de remboursement. La convergence des standards européens en matière de données cliniques exigées entre les agences nationales participerait en effet à la prise en compte et la valorisation homogènes des données PRO entre les Etats membres.

2) La pleine prise en compte des outils PRO dans la pratique clinique par les professionnels de santé, qui restent à intégrer dans les systèmes informatiques et les dossiers patients.



Dr Olivier AUBERT

Néphrologue, Hôpital Necker, Paris Transplant Group

Le Docteur Aubert est néphrologue au département de néphrologie et transplantation rénale de l'hôpital Necker, à Paris. En 2012, il a rejoint le Paris Transplant Group.

Ses travaux de recherche se concentrent sur les critères d'attribution des greffes de rein, la greffe utilisant des reins provenant de donneurs à critères élargis, ou la stratification du risque à l'aide d'algorithmes multidimensionnels et de *machine learning*.

« L'objectif final de la recherche est de servir le patient. Elle doit pour ce faire appréhender sa nature unique, avec toutes les caractéristiques qui le définissent. »

1. Les données de qualité de vie sont encore insuffisamment prise en compte en médecine prédictive.

La recherche en population **a évolué vers la prédiction individuelle**, par l'utilisation de statistiques et d'algorithmes de *machine learning* permettant de fournir, pour chaque personne transplantée, la probabilité de rejet, de perte de greffon, de décès. Elle permet d'adapter la thérapeutique à l'individu.

En transplantation, le développement d'un score pour prédire la perte de greffon très tôt après la greffe est intéressant, tant pour la pratique clinique, que pour la recherche thérapeutique. **La qualité de vie reste néanmoins absente de ce score, en premier lieu car elle reste difficile à mesurer.**

En cause, la difficulté d'accès à l'information résulte de la faible fréquence et de la courte durée des consultations avec le médecin traitant. En outre, **le patient peut éprouver des difficultés à communiquer avec son médecin, alors que certains sujets restent tabous, à l'instar de la sexualité.** Des biais de mémorisation interviennent également lors d'un recueil rétrospectif de l'information et compliquent le retour d'expérience (mémoire sélective : le patient privilégie les événements récents, ou négatifs).

Les outils digitaux permettent a contrario d'obtenir une transmission continue de l'information. Une meilleure interaction et une fréquence accrue des évaluations avec les patients participent à la réduction du biais de mémorisation.

2. Les scores prédictifs doivent aujourd'hui intégrer ces données.

Investi dans le développement d'une application au sein de l'Inserm et de l'APHP, le docteur Aubert a développé un outil patient et outil médecin pour une transmission plus continue de la perspective patient, dont **l'objectif est de prendre en compte dans les scores prédictifs les données de qualité de vie des patients.**

La première étape pour la prise en compte de la qualité de vie est la conduite, via cet outil, d'une étude randomisée avec population témoin pour mesurer l'amélioration de l'observance, de la qualité de vie et de l'anxiété.

Dans un second temps ces résultats devront être intégrés dans la recherche sur la prédiction individuelle. Le développement de scores pronostics permettra de prédire le ressenti du patient, en termes d'observance et d'effets secondaires. **Ces scores permettront d'arbitrer entre deux traitements différents (à probabilité de rejet et de mortalité égale).**

Ces données n'ont pas vocation à remplacer les critères définis, mais à s'y ajouter, selon la notion d'« épidémiologie intégrative » qui consiste en effet à mettre en regard les différents déterminants (critères biologiques ou génétiques, critères de qualité de vie, critères d'observance) intervenant dans le développement d'une pathologie.



Christelle RATIGNIER CARBONNEIL

Directrice générale de l'ANSM

Docteur en immunohématologie et directrice de L'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé qui **a pour mission principale d'évaluer les risques sanitaires présentés par les médicaments et les produits de santé**, Christelle Ratignier Carbonneil a exercé des fonctions liées à l'évaluation clinique des médicaments au sein de l'ANSM entre 2002 et 2010. Depuis son arrivée en tant que directrice générale adjointe, le 1er décembre 2016, **elle s'est notamment attachée à "mieux intégrer l'expertise des patients et des professionnels de santé dans les décisions de l'agence."**



« Dans le cadre de la présidence française de l'UE en janvier 2022, l'ANSM souhaite porter la thématique des données de vie réelle. »

1. Le savoir expérientiel du patient est une dimension à part entière et essentielle tout au long des phases de vie du médicament.

Pour l'ANSM, le savoir expérientiel du patient est tout aussi important que l'information clinique. Dès les phases d'accès précoce des médicaments, dont le cadre a été récemment réformé, **le partage de données d'expérience patient recueillies au cours d'essais cliniques ou d'un accès compassionnel antérieur est fondamental.**

En vie réelle, tout au long du vécu des patients avec leur pathologie et avec le médicament, le calcul du rapport bénéfice/ risque prend en compte des critères « durs » mais aussi des critères qualitatifs. **Il faut toutefois aller plus loin dans le recueil de ces données.**

A titre d'exemple, une fois l'Autorisation de Mise sur le Marchée (AMM) accordée, l'expérience patient est très utile pour la déclaration d'événements indésirables (EI). **L'étude présentée sur les médicaments antirejet interpelle à ce titre puisque près de la moitié des patients ressentant des EI n'en parle pas à leur médecin.** Les données de pharmacovigilance permettent aussi, dans la relation entre le patient et le professionnel de santé d'aboutir à une prescription éclairée, la transmission de bonnes informations et une réduction des risques iatrogènes.

Véritables tiers de confiance pour l'ANSM, les associations de patients peuvent contribuer, avec ce type d'enquête, à **acquérir une connaissance plus fine de l'utilisation d'un médicament et de pouvoir l'adapter à l'environnement dans lequel il est utilisé.**

2. L'Agence prend en compte l'expérience patient dans son calendrier de travail

L'ANSM s'attache à intégrer la dimension patient le plus tôt dans ses évaluations et ses analyses des produits en vie réelle.

Dans le cadre de ses instances, les Comités scientifiques permanents intègrent les patients au même titre que les professionnels de santé. L'ANSM s'appuie sur les avis de 15 comités scientifiques permanents relevant d'une ou plusieurs spécialités médicales. Leurs recommandations éclairent ses processus de décision, en particulier au regard de l'utilisation en vie réelle des produits de santé. A ce titre, la participation des patients dans ces groupes d'experts est primordiale pour l'identification et la prise en compte de leurs enjeux dans le cycle de vie du médicament.

Par ailleurs, **EPI-PHARE**, le groupement d'intérêt scientifique constitué par l'ANSM et la Cnam, apporte une expertise publique en épidémiologie des produits de santé. Dans la période covid, le recueil des données issues du SNDS a permis de réaliser des analyses à grande échelle pour mieux comprendre les facteurs de risques. Une réflexion pourrait être menée pour intégrer les données de perspective patient dans les travaux du groupement.

Enfin, dans le cadre de la présidence française de l'UE en janvier 2022, l'ANSM souhaite positionner le sujet des données de vie réelle à travers des réunions thématiques au niveau européen, sous l'égide de l'Agence européenne du médicament.



Pierre COCHAT

Président de la Commission de la Transparence de la Haute Autorité de Santé

Pierre Cochat est pédiatre, Professeur des universités – praticien hospitalier aux Hospices civils de Lyon. Il a occupé plusieurs postes universitaires, de coordinateur ou de responsable de structures en lien avec la greffe et les maladies rénales, notamment chez l'enfant.

Il préside depuis 2020 la Commission de la Transparence de la HAS. Il insiste depuis sur la rigueur méthodologique nécessaire à l'exploitation des données de qualité de vie.

« Il faut acculturer l'écosystème de l'évaluation à une démarche de coopération précoce dans la mise en place des essais cliniques, entre équipes de recherche, industriels et patients. »



1. La HAS intègre les patients à chaque phase de l'évaluation.

Le rôle des usagers dans les instances de la HAS est présent tout au long du cycle de vie du médicament et de son évaluation.

Dès le niveau de l'accès précoce, le rôle des patients est primordial. Les associations de patients sont en effet auditionnées pour l'élaboration du PUT-RD, Protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données.

Patients et associations de patients viennent également enrichir les évaluations de la HAS :

Dans l'évaluation du service médical rendu (SMR) intervient en effet le facteur « intérêt de santé publique » (ISP), auquel les patients contribuent fortement puisqu'il s'agit d'apprécier la commodité d'emploi ou encore l'allègement du poids thérapeutique.

Dans l'amélioration du service médical rendu (ASMR), la composante qualité de vie est essentielle, et c'est dans ce cadre qu'interviennent également les patients.

Post-inscription, les patients contribuent aussi aux études en vie réelle, représentant à ce titre un public beaucoup plus large que le public sélectionné pour la seule étude.

2. L'obstacle principal à la prise en compte des contributions patients est d'ordre méthodologique.

Dans les avis concernant les médicaments, les contributions patients augmentent et représentent plus de la moitié des cas. Depuis 2020, il en est fait systématiquement mention dans les avis.

Les données de vie réelle sont intégrées aux essais cliniques dans 42% des cas seulement ; sur ces 42%, 25% seulement sont issues d'un instrument de mesure conforme aux attentes de la Commission de la Transparence.

Seulement 10% de ces données sont recueillies avec un critère de jugement à valeur démonstrative, soulevant la question de la qualité des données fournies.

Un des problèmes est d'ordre méthodologique : il faut absolument améliorer la méthodologie des études cliniques lorsqu'elles incluent la qualité de vie. Elle doit être systématisée dans ces études, mais aussi obéir à la même rigueur que les autres données.

La HAS a récemment renforcé son expertise sur l'analyse des études qualitatives, avec **l'arrivée d'un nouveau méthodologiste** dont l'expertise permettra de renforcer la capacité de la HAS à analyser des études qualitatives.

Synthèse - Table ronde 2

QUELLE PRISE EN COMPTE DE L'EXPERIENCE ET DE LA QUALITE DE VIE DES PATIENTS **TOUT AU LONG DE LEUR PARCOURS ?**

1. **André Le Tutour**, *vice-président de l'association Transhépate*
 - Mot d'introduction
2. **Dr Dominique Martin**, *médecin conseil national de l'Assurance Maladie*
 - Les propositions de l'Assurance Maladie pour prendre en compte l'expérience des patients dans les parcours de soins
3. **Stéphanie Combes**, *directrice du Health Data Hub*
 - Comment les données de santé peuvent-elles être mobilisées pour renforcer la portée de l'expérience et de la qualité de vie des patients ?
4. **Catherine Cerisey**, *patiente experte, administratrice d'Europa Donna et Etincelle, enseignante de la perspective patient*
 - État des lieux et pistes d'amélioration des parcours de soins : exemple de la prise en compte de la perspective patient dans le champs du cancer

Mot d'introduction



André Le Tutour

**Vice-président de l'association
Transhépate**



La multiplicité des acteurs et des structures ne facilite pas la coordination. Elle peut au contraire être à l'origine de ruptures dans le parcours qui ne sont pas sans conséquence sur l'état de santé du patient. Ce dernier peut être acteur de son parcours de soins, mais tous les patients n'ont pas cette capacité.

Une approche centrée sur l'usager et qui prend en compte l'ensemble de ses besoins est donc une nécessité.

Cette approche passe par le juste choix d'indicateurs, parmi lesquels doit figurer le point de vue patient.

L'émergence de tels parcours, centrés sur les besoins du patient, est freinée par les modes de financement actuels, lesquels ne valorisent que l'acte, et donc la quantité au détriment de la qualité. Ils ne permettent également pas d'accompagner les prises en charge pluridisciplinaires. Or, les temps de coordination et de concertation, d'écoute et d'accompagnement sont absolument indispensables au suivi au long court des patients greffés. Autant de considérations à prendre en compte dans la perspective d'intégrer la perspective patient aux outils d'amélioration des parcours.

*« Le seul capable
d'avoir une vision
globale de son
parcours, c'est le
patient ! »*



Dominique MARTIN

Médecin conseil national de l'Assurance Maladie

Docteur en médecine, psychiatre, ancien interne des hôpitaux de Paris, Dominique Martin a commencé sa carrière au sein de Médecins sans frontières. Pendant 9 ans, de 2002 à 2011, il a dirigé l'Office national d'indemnisation des accidents médicaux, des affections iatrogènes et des infections nosocomiales (Oniam) avant de rejoindre la Cnam en qualité de directeur de la branche risques professionnels.

Après avoir dirigé l'ANSM depuis 2014, il est nommé médecin-conseil national de la CNAM le 1^{er} décembre 2020.



« L'Assurance Maladie n'est pas qu'un payeur : elle a l'ambition d'être bien autre chose. Sa participation à ce type d'études est le fruit de son évolution. »

1. L'évolution de l'Assurance Maladie vers la prise en compte de l'expérience patient est récente.

L'Assurance Maladie n'a entamé que récemment sa trajectoire de prise en compte de l'expérience patient dans le cadre de la mise en place des parcours.

La réforme de 2004 à l'origine des parcours de soins coordonnés et du médecin traitant a mis en place la prévention personnalisée et les protocoles de soins pour affection longue durée (ALD). **Essentiellement guidée par des préoccupations économiques, elle a constitué une étape intermédiaire dans la reconnaissance de l'expérience patient, car le patient était abordé à travers son médecin traitant qui restait le principal médiateur.**

L'année 2010 a vu la mise en place progressive de programmes propres à l'Assurance Maladie et dédiés aux patients. Ce sont les exemples du programme SOFIA pour les patients diabétiques, et du programme PRADO initialement pour la maternité, et ensuite décliné à de nombreuses pathologies. Ces programmes marquent l'orientation de la Cnam vers une prise en compte plus personnalisée des trajectoires des patients.

En outre, des évolutions sur le plan conventionnel, avec la rémunération forfaitaire du médecin traitant et la consultation longue visent à établir un rapport au patient permettant une prise en compte de son expérience. Plus récemment, les contrats passés avec les structures de soins coordonnés (ACI) contribuent à la prise en compte de ces activités, qui dépassent le champ de la prise en charge thérapeutique.

2. Il s'agit désormais de développer des parcours de soins sur un mode nouveau par rapport à 2004.

Les nouveaux parcours doivent prendre en compte la globalité de l'expérience patient sur des pathologies données : de l'aval (prévention primaire et secondaire visant à éviter l'hospitalisation) à l'amont avec le retour à domicile.

Dédiés au patient, **ces programmes doivent être également tournés vers leur mode de vie. C'est à ce titre qu'est intervenue l'Assurance Maladie en créant un parcours insuffisance rénale chronique, centré sur le patient.**

Les structures d'exercice coordonné et les outils SI (systèmes d'information), dont le dossier médical partagé (DMP) et l'Espace Numérique en Santé (ENS), constituent des opportunités pour ces parcours. Les nouvelles modalités de financement explorées par l'Assurance Maladie sont autant de modes de valorisation de ces nouveaux parcours. Ils fixent le mouvement vers la prise en compte de l'expérience des patients dans les parcours de soins de manière irréversible.



Stéphanie COMBES

Directrice du Health Data Hub (HDH)

Stéphanie Combes a d'abord rejoint l'INSEE pour la création de l'activité Big Data. Il y a quelques années, en tant que cheffe de la mission d'administration des données de santé à la DREES, elle a été nommée responsable de la mise en place du Health Data Hub, qu'elle dirige aujourd'hui. Le HDH est un groupement d'intérêt public dont l'objectif est de faciliter l'accès aux données de santé pour la recherche et l'innovation.



« Les associations de patients sont les mieux placées pour le recueil des données d'expérience patient, mais toutes ne sont pas équipées pour le faire. »

1. A travers la direction citoyenne, le HDH agit pour stimuler la recherche pour et avec les patients

Au niveau du Health Data Hub, la direction citoyenne se veut le garant de la transparence sur les projets utilisant des données de santé. A ce titre, elle fournira d'ici quelques semaines la possibilité de partager les résultats des études SNDS. Celles-ci sont produites dans le cadre du Système National des Données de Santé (SNDS), qui permet de chaîner les données de l'Assurance Maladie, les données des hôpitaux, les causes médicales de décès et les données relatives au handicap.

Le rôle de la direction citoyenne est ainsi de mettre à disposition des patients ces études qui proviennent directement de leurs propres données. Elle diffuse ainsi une culture de la science ouverte, poussant les acteurs à ouvrir leurs données et leurs sources, facteurs de réussite pour la R&D mais aussi pour la diffusion de la connaissance au citoyen et au patient.

Les associations de patients, comme le grand public, pourront ainsi s'adresser au service de requête à la demande d'ici la fin de l'année 2021, début de l'année 2022. Il a vocation à fournir des informations issues des données de santé sans nécessairement qu'elles aient vocation à figurer dans des projets de recherche. Elle met toutefois en relation les porteurs de projet qu'elle accompagne avec les associations de patients.

La direction citoyenne participe également à un travail d'écoute, par exemple lors d'une e-consultation dans le cadre de travaux européens menés par la Commission européenne pour recueillir la perception des citoyens vis-à-vis du partage des données de santé et pour réutiliser les données de santé afin d'améliorer les parcours.

2. Le Hub noue des partenariats concrets avec les associations de patients sur les données de santé.

Répertoire public pour tous les projets réalisés en France sur les données de santé, le Health Data Hub forme des partenariats avec les associations de patients sur les données de santé, en les accompagnant dans leurs projets de recherche et dans leur accès à l'information en santé. Il accompagne ainsi la Fédération Française des Diabétiques dans l'accès aux données pour la conduite de leurs études.

Le HDH intervient ainsi en termes d'appui à la chefferie de projet, dans le cadre d'un partenariat avec les associations de patients sous l'égide de France Assos Santé sur le thème « vivre avec le Covid 19 ».

De plus, avec la Société Française de Pathologie, le Health Data Hub a travaillé récemment sur un data challenge autour de lames virtuelles de lésions épithéliales du col utérin. A la suite de la compétition, le HDH a mis en ligne les données du programme gagnant. Ce type d'initiative est voué à se multiplier dans les années à venir.

Enfin, **le HDH s'engage à organiser une réunion de travail avec les associations partenaires de l'étude sur les médicaments antirejet afin d'identifier d'éventuelles pistes de collaboration ou de soutien.**



Catherine CERISEY

Patiente experte, administratrice d'Europa Donna et Etincelle, enseignante de la perspective patient

Catherine Cerisey est une ancienne patiente. Elle s'est battue au début des années 2000 contre un cancer et a partagé son expérience sur son blog, « Après mon cancer du sein », créé en 2009. Elle s'est ensuite rapprochée du milieu associatif, et a récemment intégré les conseils d'administration d'Europa Donna, d'Etincelle, rebondir avec un cancer, et de Coopération Patients. En 2012, elle cofonde l'agence de conseil Patients et web, et enseigne la perspective patient à l'université Paris XIII.

« Il est temps de réellement mettre en œuvre la démocratie en santé, tant au niveau des droits et du parcours individuels des patients que des actions collectives des associations. »

1. En cancérologie, la prise en compte de la perspective patient a connu des avancées majeures.

La première mobilisation des patients en cancérologie remonte aux premiers Etats généraux de la ligue contre le cancer, en 1998/1999, autour du thème de l'annonce. L'objectif était alors de rendre « plus humain » cet instant, décisif dans la vie du patient atteint de cancer. Suivant cette impulsion, le premier plan cancer a lancé en 2001 un dispositif d'annonce plus encadré.

La cancérologie a également bénéficié du haut niveau d'information des patients, notamment sur les effets thérapeutiques et effets indésirables des traitements. Cette connaissance approfondie a poussé les cancérologues à graduellement prendre en compte l'expérience et la volonté des patients dans le choix des options thérapeutiques.

Sur le plan de la recherche, l'action des associations de patients permet de mettre à l'agenda des recherches cliniques des thèmes émergeant directement des besoins des patients. Ainsi le réseau hospitalier Unicancer appuie les chercheurs en soins oncologiques dans leurs études sur les soins de support, pour lesquels les données manquent actuellement (ces soins de support sont d'ailleurs inexistantes dans d'autres pathologies).

En matière de prise en soins, la mobilisation des associations débouche sur des résultats tangibles, comme en atteste la décision de remboursement d'un panier de soins de support en ville à hauteur de 200 euros en cancérologie, alors qu'il ne concernait que l'hôpital. L'accès à une nouvelle thérapie, en septembre 2021, pour le cancer du sein triple négatif est également l'aboutissement de la mobilisation et du plaidoyer de l'association des Triplettes.

2. La perspective patient doit contribuer à l'amélioration des parcours de soins pour la lutte contre le cancer et les autres maladies.

Dans le champ du cancer, la perspective patient est représentée par une multitude d'associations qui s'engagent sur la pathologie. Les parcours doivent venir s'enrichir de l'apport de chacune d'entre elles, et non des seules plus visibles. Ainsi, les plus petites associations ne sont pas systématiquement en mesure de répondre aux sollicitations de la HAS. Cet aspect doit être pris en compte pour intégrer de manière exhaustive l'expérience patient dans le champ du cancer.

En outre, s'agissant de l'accès aux soins, la perspective patient permet d'éclairer les enjeux spécifiques liés à l'insuffisance de prise en charge de certains soins et actes. Elle fait à ce titre remonter des enjeux liés au remboursement des soins de support. Aujourd'hui réservé à l'après-cancer, le panier soins de support doit être désormais élargi au cancer métastatique. La question du reste à charge pour les patients atteints de cancer est une autre de ces problématiques, notamment dans le cas de la reconstruction mammaire. De plus, l'écoute des associations de patients permet d'être attentif à l'égal accès au remboursement des traitements permettant de lutter contre les effets secondaires : l'exemple des traitements contre la ménopause induite, non remboursés, illustre un axe d'amélioration nécessaire.

Enfin, la prise en compte de la perspective patient revient également au partage des retours d'expérience. Ils s'avèrent essentiels pour les personnes vivant avec un cancer, et permettent de s'intéresser à leurs problématiques spécifiques, comme le problème du maintien dans l'emploi.

Synthèse - Table ronde 3

UNE MEILLEURE PRISE EN COMPTE DE L'EXPERIENCE ET DE LA QUALITÉ DE VIE DES PATIENTS : UN ENJEU DE DEMOCRATIE SANITAIRE

1. **Eric Buleux** , président de l'association Transhépate et **Magali Leo** responsable du plaidoyer chez Renaloo – représentants des associations partenaires et cosignataires du plaidoyer
 - Présentation du plaidoyer « Agir pour que les médicaments d'aujourd'hui et de demain soient évalués en prenant en compte la perspective patient » de Renaloo, France Greffe Coeur et/ou Poumons, Transhépate et Vaincre la mucoviscidose
2. **Dr Jean-Pierre Thierry**, représentants des usagers à la Commission de la Transparence de la HAS
 - Le point de vue des représentants des usagers à la Commission de la Transparence de la HAS
3. **Caroline Izambert**, ex-représentante des usagers à la CEESP de la HAS
 - Le point de vue des représentants des usagers à la Commission d'évaluation économique et de santé publique de la HAS
4. **Christian Saout**, président du conseil pour l'engagement des usagers de la Haute Autorité de Santé
 - L'engagement des usagers, un levier pour améliorer la qualité des soins

PRÉSENTATION DU PLAIDOYER INTERASSOCIATIF

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



AXE 1

Favoriser l'implication des patients dans la recherche clinique pour répondre plus finement à leurs besoins et attentes

- Encourager la multiplication des partenariats entre associations de patients et équipes de recherche
- Identifier de nouvelles sources de financements destinés aux études menées par les associations de patients
- Développer des programmes de formation aux exigences techniques et méthodologiques de la recherche clinique à destination des associations

AXE 2

Renforcer la prise en compte de la perspective patient pour objectiver la valeur des produits de santé

- Créer 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 leurs prises en soins et leurs traitements.
- 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.

AXE 3

Améliorer le parcours de soins grâce aux remontées de l'expérience patient

- Renforcer les programmes visant à inclure l'expérience patient (certification des établissements, évaluation des parcours...).
- Injecter l'expérience patient dans l'élaboration des modes de rémunération forfaitaires des professionnels de santé.
- Inclure par défaut le critère d'expérience patient dans les modalités d'évaluation des projets article 51.
- Construire, avec la HAS, les futurs parcours de soins au regard des données d'expérience patient.
- Développer un module spécifique de formation sur la Décision Médicale Partagée (DMP) dans les enseignements délivrés aux professionnels de santé.

Accès au plaidoyer complet en suivant [ce lien](#)





Jean-Pierre THIERRY

Représentant des usagers à la Commission de la
Transparence de la HAS

Médecin spécialisé en santé publique et en informatique de la santé, Jean-Pierre Thierry est expert de l'évaluation des technologies médicales et de l'organisation des systèmes de santé.

Il est conseiller médical de France Assos Santé et membre de la Commission de la Transparence de la HAS en tant que représentant des usagers.

HAS

HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

1. Le critère de qualité de vie appartient à l'heure actuelle à la catégorie des critères secondaires et exploratoires.

La prise en compte de la perspective patient doit répondre à deux impératifs sur le plan méthodologique :

Le premier relève de la pertinence des indicateurs sur laquelle baser l'efficacité d'un médicament. Si le critère principal reste aujourd'hui l'augmentation de la durée de vie, **l'amélioration de la qualité de vie devrait en être un au même titre.**

Toutefois, la qualité de vie des patients reste encore difficile à mesurer dans le cadre du développement clinique des médicaments. En effet, la mise en évidence d'une amélioration statistiquement significative de la qualité de vie fait toujours prendre le risque d'une prolongation du temps de recherche au détriment du temps d'accès aux patients. Le bon équilibre doit être trouvé en s'appuyant sur les ressources des associations de patients et leur capacité à produire de la connaissance sur ce type de données.

Le deuxième a trait à une meilleure représentativité et donc reproductibilité des résultats des études cliniques évaluées par la Commission de la Transparence.

« Tout ce qui permet d'améliorer la qualité de vie doit être mieux évalué et valorisé. »

2. Les mécanismes d'accès précoce renforcent la nécessité d'inclure l'expérience patient dans les données de vie réelle.

Dans un contexte d'accélération des innovations et des délais de mise sur le marché des médicaments, la Commission de la Transparence rend des avis qui pourraient être remis en cause au terme d'une période d'observation de vie réelle.

Dans ce cadre, la collecte de données pour alimenter les nouveaux mécanismes d'accès précoce prévoit d'impliquer les patients, notamment dans la prise en compte systématique de PROM et lorsque la collecte du ressenti des patients est indispensable.

Après la mise sur le marché des médicaments, leur évaluation en vie réelle prend une importance considérable rendant indispensable la prise en compte de la perspective patient, de ses préférences, de son expérience et l'évolution de sa qualité de vie.



Caroline IZAMBERT

Ex-représentante des usagers à la CEESP (Commission d'évaluation économique et de santé publique) de la HAS

Ancienne enseignante d'histoire-géographie et docteure de l'EHESS, Caroline Izambert a soutenu sa thèse sur l'accès aux soins des étrangers en France. Elle a été directrice du plaidoyer de AIDES, association de lutte contre le VIH et les hépatites. Récemment, elle a rejoint la ville de Paris en tant que chargée de mission santé auprès du secrétariat général, après avoir été représentante des usagers à la Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) de la HAS, chargée de rendre un avis économique sur les produits de santé.

« Garder notre capacité d'indignation et de colère ne nous interdit rien en matière de rigueur et de production de savoir : les associations doivent se situer sur cette ligne de crête pour maintenir et développer leur place dans les instances. »

1. Sur la méthodologie, un compromis est nécessaire entre les associations de patients et les agences d'évaluation.

La prise en compte de l'expérience patient est absolument pertinente dans les débats qui apparaissent en commission d'évaluation économique et de santé publique, notamment pour les médicaments onéreux en oncologie, où les coûts doivent être mis en balance avec la qualité de l'allongement de la vie. Pour autant, la perspective patient y est insuffisamment représentée.

En CEESP, les engagements de confidentialité ne permettent pas le dialogue entre les représentants des usagers et les associations de patients, ce qui constitue une difficulté pour relayer leurs problématiques. En outre, les avis sont rédigés dans un langage hautement technique, en particulier au niveau des calculs d'efficacité (afin de déterminer le ratio coût-résultat). Cela les rend difficilement accessibles même pour des associations de patients fortement professionnalisées.

Le seul horizon possible pourrait être la capacité des associations de patients à s'insérer dans cette méthode et à s'approprier le langage de l'essai clinique, pour la Commission de la Transparence (CT), et le langage de l'efficacité, pour la CEESP. Une autre solution consisterait à l'inverse à ce que ce travail méthodologique ne repose pas uniquement sur les associations mais aussi sur les autorités sanitaires. La mobilisation des associations de patients vise à imposer un rapport de force permettant ce compromis entre les autorités d'évaluation et les associations, sur le plan méthodologique.

2. La négociation des prix constitue une boîte noire pour la représentation des patients.

Si la prise en compte de la perspective patient dans les avis de la Commission de la Transparence et de la CEESP demeure perfectible, **sa marge de progression est sans commune mesure avec celle qui concerne la négociation du prix.** Au niveau du Comité économique des produits de santé (CEPS), qui a pour rôle de fixer un tarif et un prix au produit avant sa prise en charge par l'Assurance Maladie, la perspective patient n'est pas prise en considération, ne serait-ce au niveau minimal de la représentation des usagers.

La négociation du prix est pourtant une étape stratégique, et reste le chaînon manquant dans la représentation des patients le long de la chaîne d'évaluation et d'accès. Les négociations intègrent pourtant, au-delà des critères légaux (valeur ajoutée thérapeutique du produit, ASMR, prix de produits comparables et conditions prévisibles d'utilisation), des enjeux industriels. Il existe ainsi un décalage entre l'intention de transformation du système de santé par la prise en compte de la perspective patient et la boîte noire finale de la négociation du prix.

Dans le contexte d'augmentation du prix des médicaments, la représentation des patients et la prise en compte de l'expérience reste à conquérir sur cette étape décisive de la négociation des prix.



Christian SAOUT

Président du conseil pour l'engagement des usagers de la Haute Autorité de Santé

Après avoir été Président de la Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP), Christian Saout préside aujourd'hui le conseil pour l'engagement des usagers à la HAS. Magistrat de profession, il a un long parcours de militant, à la fois chez AIDES et en tant que fondateur du Collectif interassociatif sur la santé (Ciss). En 2014, il publie le livre *Santé, citoyens !*.

« Introduire les éléments qualitatifs dans l'essai clinique est aussi produire un discours qui améliore la communication avec les patients, pour une décision médicale partagée. »



1. Les critères issus des « sciences dures » restent surreprésentés dans les évaluations, au détriment des critères d'expérience patient.

Les processus d'évaluation restent dominés par les critères issus des sciences dures, de la biologie à la statistique. Le mouvement actuel tend au rééquilibrage au profit des sciences sociales, vecteurs du savoir expérientiel des patients. La Haute Autorité de Santé a ainsi mis en œuvre des modules PREMs (Patient-reported experience measures) et PROMs (Patient-reported outcomes measures) pour prendre en compte ces données, en particulier lors des études en vie réelle. Le 1^{er} octobre 2021, elle a également lancé un appel à projets pour la mise en œuvre des PREMs et des PROMs, avec une vigilance particulière pour que les projets prennent en compte la contribution des associations de patients. La reconnaissance des données PROMs et PREMs constitue ainsi un véritable enjeu, en particulier pour la phase de vie avec les traitements. Si les initiatives se développent au niveau de la HAS pour les intégrer aux évaluations, les données de sciences dures restent surreprésentées, occultant les données issues des sciences sociales.

L'intégration dans la grille d'évaluation des données produites par les sciences humaines et sociales par rapport aux données de la biostatistique reste ainsi un défi. L'INESSS au Québec, organisme conseil du ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS) québécois, a proposé un modèle d'évaluation multicritères dans lequel les sciences sociales sont prises en compte à égalité avec les critères cliniques. Ce modèle sert de base de réflexion aux projets visant à intégrer les données produites par les sciences sociales dans les évaluations.

2. Il faut à présent favoriser l'émergence d'une évaluation multicritères.

6 propositions sont à mettre à l'agenda afin de favoriser la prise en compte des critères d'expérience patient dans les processus d'évaluation.

- 1) Réduire les obstacles dans le recours aux bases de données
- 2) Renforcer la capacité des patients et des associations à fournir des données.
- 3) Recourir aux financements publics sur des préoccupations bien repérées : (i) sur des problématiques de santé susceptibles de dégager des enseignements sur des risques sensibles et (ii) sur des milieux réceptifs à l'inclusion des PREMs et des PROMs.
- 4) Utiliser les moyens d'actions existants auprès des institutions concernées. S'agissant de la HAS, ces leviers sont nombreux. Le service des usagers ou le service d'amélioration de la qualité des soins constituent des acteurs à privilégier pour la mise à l'agenda des thématiques de perspective patient.
- 5) Approfondir le dialogue entre les pouvoirs publics et les institutions de recherche pour améliorer les échelles de qualité de vie en y intégrant les préoccupations relevées par les associations de patients. Encourager les contributions et la co-construction des critères avec les usagers du système de santé est à ce titre primordial.
- 6) Mobiliser l'opinion publique autour de la prise en compte de l'expérience patient, en fournissant des outils de visibilité. L'étude présentée lors du séminaire pourrait constituer un baromètre de qualité pour sensibiliser l'opinion sur le sujet.

Mot de CONCLUSION



Alain Coulomb

Administrateur de Renaloo et
président de Coopération
Santé

*« Le contexte est plus que jamais favorable
à l'émergence de la prise en compte des
savoirs de l'expérience patient. »*

Ex Directeur de la Haute Autorité de Santé et grand témoin de cette journée de séminaire, Alain Coulomb a retenu deux points essentiels lors des débats et de la présentation de l'étude sur l'expérience des patients vivant avec des médicaments antirejet :

- 1) Les résultats de l'enquête démontrent la capacité des associations à produire des données sur l'expérience patient. La mise en œuvre d'une telle étude illustre la transition du rôle des patients qui s'opère, **d'une position de participants à une position d'experts.**
- 2) La production de connaissance permet de réduire l'asymétrie d'information entre le patient et le soignant. Par cette étude, les associations de patients se positionnent comme **des interlocuteurs légitimes des autorités d'évaluation.**

Cette posture d'indépendance par rapport à l'ensemble des groupes de pression ne peut s'exercer sans moyens. Il est donc plus que jamais nécessaire de dégager des financements publics pour encourager les travaux de recherche menés par les associations de patients et évaluer ces travaux sur la qualité des données recueillies. Enfin, un travail de sensibilisation devra être mené auprès des futurs décideurs publics sur la période 2022-2027 afin de capitaliser sur ces récentes évolutions et ancrer dans les réflexions de nos dirigeants l'absolu nécessité de la prise en compte de la perspective patient dans notre système de santé.