

Plaidoyer pour une

RECONNAISSANCE DE LA PERSPECTIVE PATIENT DANS L'ÉVALUATION DES PRODUITS DE SANTÉ

LEVIER D'UNE TRANSFORMATION
CULTURELLE ET ORGANISATIONNELLE
DU SYSTÈME DE SANTÉ

Une réflexion menée avec la participation de Madame **Laurence CARTON**, Monsieur **Jean Michel CHABOT**, Monsieur **Robert LAUNOIS**, Madame **Magali LEO**, Madame **Dominique POLTON** et Monsieur **Gérard VIENS**

à l'initiative du Laboratoire PFIZER



Objectifs du document :

- Présentation synthétique des réflexions menées par un groupe d'experts sur la place de la Perspective Patient dans l'évaluation des produits de santé,
- Formulation de propositions pour améliorer la prise en compte de la Perspective Patient dans l'évaluation des produits de santé,
- Elargissement du périmètre de la réflexion via la présentation de ces réflexions à des parties prenantes externes au groupe.

PARTICIPANTS

- **Laurence CARTON**, Membre du CA de l'AFLAR (Association Française de Lutte Anti-Rhumatismale) ;
- **Jean-Michel CHABOT**, Professeur de Santé Publique ;
- **Robert LAUNOIS**, Professeur des facultés de sciences économiques, Président de REES France ;
- **Magali LEO**, responsable du plaidoyer de l'association de patients Renaloo ;
- **Dominique POLTON**, Présidente de l'Institut National des Données de Santé ;
- **Gérard VIENS**, Professeur d'Economie de la Santé à l'ESSEC et ancien membre de la CT à la HAS ;

SOMMAIRE

I/ POURQUOI VALORISER LA PERSPECTIVE PATIENT DANS L'ÉVALUATION DES PRODUITS DE SANTÉ ?	5
A. Pour entrer en résonance avec les attentes sociétales, soulignées par la crise sanitaire.....	5
B. Pour renforcer la pertinence de la recherche en santé (clinique, vie réelle, santé publique)....	5
C. Et en finalité... pour améliorer la qualité et l'organisation des soins.....	5
II/ DANS QUELLE MESURE LA PRISE EN COMPTE DE LA PERSPECTIVE DES PATIENTS DANS L'ÉVALUATION PEUT-ELLE ÊTRE FAVORISÉE ?	6
A. En assurant le recueil et la valorisation des données de perspective patient.....	6
B. En encourageant la qualité et en reconnaissant les contributions Patients	6
C. En inscrivant le recueil de la perspective patient avant et après l'évaluation.....	6
D. En favorisant la reconnaissance de la perspective patient par l'ensemble des acteurs du système de santé.....	7
III/ QUELLE PLACE POUR LA MISE EN PLACE D'UN CRITÈRE PATIENT CONTRIBUANT À ÉVALUER LES PRODUITS DE SANTÉ ?	7
A. Un critère patient dans l'évaluation : éléments de définition.....	7
B. Les sources permettant d'alimenter ce Critère Patient	7
C. Il est temps de concrétiser la création et l'usage d'un véritable critère d'évaluation prenant en compte la qualité de vie, l'expérience et les préférences des patients	8
Temps d'échange pour aller plus loin : Quelques questions à développer lors du plan de rendez-vous	Erreur ! Signet non défini.

« Il est temps d'acculturer notre système de santé à une véritable prise en compte de la perspective des patients dans l'évaluation des soins et des produits de santé »

Dans cette réflexion, **la perspective Patient** recouvre trois types d'instruments : **les échelles de qualité de vie** (appelées également PROM ou mesures de l'impact de la maladie sur la qualité de vie du patient), **les préférences patients** (MDC modèle de choix discrets) et les **Expériences Patient stricto sensu** (PREM)

Inscrite au cœur de la notion de « Perspective Patient », l'Expérience Patient correspond à l'ensemble des interactions et des situations vécues par une personne au cours de son parcours de santé. Elle allie une composante objective liée aux péripéties du patient au sein du système de soins, à une composante subjective caractérisée par les relations interpersonnelles du patient avec les équipes soignantes et les aidants. Au-delà de cet aspect individuel, **l'expérience patient revêt également une dimension collective**, qui s'exprime dans les interactions entre les usagers du système de santé, et l'expression de la démocratie en santé.

Depuis plusieurs années, les autorités de santé cherchent à mieux appréhender et prendre en compte l'expérience des patients au regard de leurs traitements. A ce titre, les adhérents d'associations de malades et d'usagers ont fait leur entrée au sein de la Commission de transparence de la HAS en 2015. Depuis 2016, la HAS a mis en place une procédure de contribution des associations de patients pour chaque produit de santé, via un questionnaire.

Aujourd'hui, les **PREMs** (Patient-Reported Experience Measurement) et les **PROMs** (Patient-Reported Outcomes Measurement)¹, modèles héritiers des PRO (Patient Reported Outcomes, conçus et testés il y a plus de 10 ans), permettent de formaliser l'expérience des patients. Ces outils ont pour vocation de permettre l'amélioration de la qualité des soins, l'observance des traitements, le développement de la relation médecin-patient, ou encore la détection des complications.

Comment valoriser la Perspective Patient dans le cadre de l'évaluation ? Quels sont les prérequis pour une meilleure reconnaissance de la perspective patient ? La création d'un critère patient serait-elle de nature à rénover l'actuel paradigme de l'évaluation des produits de santé ?

Afin d'apporter des éléments de réponse à ces questions, nous vous proposons un document qui s'articule en trois temps :

- Les raisons pour lesquelles il convient de reconnaître et valoriser le point de vue du patient dans l'évaluation des produits de santé
- Les modalités de reconnaissance et de valorisation du point de vue des malades
- Une analyse de l'application d'un « Critère Patient » dans l'évaluation des produits de santé.

¹ Raj Verma, ACI (Agency for Clinical Innovation), https://www.aci.health.nsw.gov.au/__data/assets/pdf_file/0003/253164/Overview-What_are_PROMs_and_PREMs.pdf

**LA RECONNAISSANCE DE LA PERSPECTIVE PATIENT DANS L'ÉVALUATION DES PRODUITS DE SANTÉ :
Levier d'une transformation culturelle et organisationnelle de notre système de santé**

I/ POURQUOI VALORISER LA PERSPECTIVE PATIENT DANS L'ÉVALUATION DES PRODUITS DE SANTÉ ?

A. Pour entrer en résonance avec les attentes sociétales, soulignées par la crise sanitaire

- ⇒ **L'autonomisation du patient, sa responsabilisation et une connaissance plus grande de sa maladie apparaissent comme une attente sociale de plus en plus forte.** Prendre en compte ces évolutions dans le cadre de l'évaluation des produits de santé est un souhait formulé depuis plusieurs années par les représentants de patients. Étant donné l'expérience de sa maladie, le patient est le plus à même d'en parler, d'évaluer les changements et les bénéfices octroyés par un traitement.
- ⇒ **La recherche de nouveaux traitements et vaccins, particulièrement médiatisée ces derniers mois,** a mis en lumière auprès du grand public les méthodologies employées et les biais associés aux Essais Cliniques Randomisés (patients jeunes, masculins, en bonne santé ...).
- ⇒ **La crise COVID** a mis en lumière une parole publique presque exclusivement initiée par des experts et des « sachants », alors même que l'expérience des patients s'avère particulièrement utile pour caractériser la maladie – ex : détection de l'anosmie plus rapide dans le cadre du COVID.

B. Pour renforcer la pertinence de la recherche en santé (clinique, vie réelle, santé publique)

- ⇒ **L'arrivée des nouvelles technologies permet aujourd'hui à la Recherche clinique de s'enrichir de nouvelles pratiques comme le recueil de données produites par les patients (qu'elles soient objectives ou de l'ordre du ressenti).** La digitalisation du recueil de données, même avec des outils simples comme un smartphone, s'accélère, permettant d'établir un relevé quotidien de données médicales, inclure un très grand nombre de patients dans une étude pour un faible coût et obtenir une pluralité de données.
- ⇒ **La prise en compte de la perspective des patients comme outil participant à l'évaluation des produits de santé orientera positivement le cadre de la recherche.** En effet, sa reconnaissance entraînera les promoteurs de la recherche (dont les industriels) à mieux prendre en compte cette expérience, qui viendrait enrichir les études de phase III et post-AMM, en renseignant les besoins exprimés par les patients. Dès lors, une réorientation de la recherche pour mieux répondre à ces besoins sera possible.

C. Et en finalité... pour améliorer la qualité et l'organisation des soins

L'amélioration de la qualité et de l'organisation des soins grâce à une meilleure utilisation de la perspective patient se ferait ressentir à trois niveaux :

- 1) **A l'échelon de la relation soignant-soigné :** Une meilleure prise en compte de la perspective patient et des préférences individuelles permet de favoriser une décision médicale partagée. Dans ce cadre, le choix du traitement devra être adapté aux besoins et aux contraintes individuelles de chaque patient.
- 2) **A l'échelon des établissements de santé :** le recueil et la valorisation des données de perspective patient permettent une amélioration continue de la qualité des soins dans les établissements. La problématique des modes de rémunération « à la qualité » peut en effet être posée. La présence de nouveaux éléments de performance générera l'apparition de systèmes d'informations pour les évaluer et donc plus d'attention des professionnels à ces critères.

- 3) **A l'échelon du système de santé :** La traduction de la Perspective Patient en indicateurs issus des PREMs, des PROMs et des modèles de choix discrets offrent aux régulateurs de nouveaux outils de comparaison entre les différentes offres de soins. Cela suppose de pouvoir choisir une meilleure qualité de services pour des coûts moins importants.

*Les modèles de choix discrets supposent que le comportement d'un individu n'est pas nécessairement en accord avec le modèle standard de la rationalité

II/ DANS QUELLE MESURE LA PRISE EN COMPTE DE LA PERSPECTIVE DES PATIENTS DANS L'ÉVALUATION PEUT-ELLE ÊTRE FAVORISÉE ?

A. En assurant le recueil et la valorisation des données de perspective patient

- ⇒ **Un certain degré de représentativité des données patients est un objectif à atteindre :** la représentativité est à considérer comme un idéal vers lequel il faut tendre le plus possible. Une tolérance sur le manque de représentativité pourra être acceptable dès lors que les promoteurs des études seront parfaitement clairs et transparents sur l'échantillon utilisé et sur les limites de l'enquête présentée à l'autorité compétente.
- ⇒ **La collecte de la diversité du vécu des patients et la valorisation d'une donnée robuste sont conciliables :** il convient de distinguer l'éventail des caractéristiques prises en compte par les patients, c'est-à-dire la diversité de leurs critères de jugement qui peuvent être recueillis dans le cadre d'entretiens semi structurés conduits sur des échantillons empiriques en recherchant la diversité maximale des personnes interrogées, la hiérarchie des priorités des patients à établir sur la base d'un échantillon représentatif.
- ⇒ **Le recueil des données de perspective patient par les entreprises du médicament peut être systématisé** dès lors que ces données sont reconnues comme susceptibles de peser dans l'évaluation et le prix du médicament ou des dispositifs médicaux.

B. En encourageant la qualité et en reconnaissant les contributions Patients

- ⇒ **Une meilleure sensibilisation et la formation des membres de la Commission de transparence à la notion de perspective patient,** leur permettraient de recevoir et mieux interpréter les contributions des patients à leurs juste valeur.
- ⇒ **L'accompagnement des associations de patients dans la rédaction de leurs contributions permettront de les renforcer et ainsi de mieux répondre aux exigences méthodologiques de la HAS.** Tout l'enjeu pour les associations de patients est d'apporter des données objectivables et exploitables pour les autorités de santé et ainsi apprendre à parler « le même langage » pour être compris et valorisé.

C. En inscrivant le recueil de la perspective patient avant et après l'évaluation

- ⇒ **L'introduction dans les Essais Cliniques Randomisés d'un indicateur clinique du ressenti du patient avant l'évaluation** du médicament permettrait de favoriser la prise en compte de la perspective patient dans le cadre de l'évaluation.
- ⇒ **Il conviendra de donner plus d'importance aux données de vie réelle et aux données, de qualité de vie et d'expérience Patient après l'évaluation** dans la mesure où elles permettent de corriger les biais des ECR et de fournir une meilleure représentativité du quotidien (patients polymédiqués et âgés par exemple).

D. En favorisant la reconnaissance de la Perspective Patient par l'ensemble des acteurs du système de santé

- ⇒ **L'acculturation de l'ensemble du système de santé a été identifiée comme nécessaire pour travailler à un critère orienté patient dans l'évaluation des produits de santé.** Les soins et traitements sont efficaces et de qualité dès lors qu'il y a une satisfaction de toutes les parties prenantes, et en particulier des patients. Le critère patient fait donc pleinement partie de la qualité du soin et donc par définition également de l'évaluation de tous les moyens, au premier rang desquels on trouve l'évaluation des produits de santé.
- ⇒ **Le soutien des professionnels de santé à cette démarche semble primordial à son aboutissement.** Il est très probable que les professionnels de santé souhaitent s'engager dans des approches centrées sur les besoins et attentes des patients.
- ⇒ Néanmoins, ces approches sont complémentaires de la démarche clinique et de l'expertise médicale. Pour tirer parti de cette complémentarité, il conviendrait de co-construire les projets et enquêtes de qualité de vie afin d'y intégrer une vision scientifique et professionnelle. Cela suppose donc d'allier le travail en équipes pluriprofessionnelles (avec des personnels dédiés au recueil, à l'analyse et à l'exploitation des données de perspective patient), l'informatisation et l'évolution des modes rémunération. La Perspective patient peut être un vecteur d'enrichissement à la fois complémentaire et liée à l'évaluation scientifique des données cliniques.

*Répondre à l'ensemble de ces prérequis ouvre la possibilité de mettre en place **un Critère Patient**, dont l'ambition est de formaliser la Perspective patient dans l'évaluation des produits de santé.*

III/ QUELLE PLACE POUR LA MISE EN PLACE D'UN CRITERE PATIENT CONTRIBUANT A EVALUER LES PRODUITS DE SANTE ?

A. Un critère patient dans l'évaluation : éléments de définition

- ⇒ **La création d'un nouveau critère permettant de rassembler et mesurer objectivement la qualité de vie, l'expérience et la préférence des patients face à leurs prises en charge et leurs traitements** est un possible levier de reconnaissance de la perspective patient par les décideurs publics et par les entreprises promotrices d'innovations en santé.
- ⇒ Plus particulièrement, **l'Intérêt de Santé Publique (ISP) a été identifié comme un vecteur pertinent de sa reconnaissance.** Les critères de l'ISP sont en effet proches de ceux orientés sur le patient et sont liés à leurs expériences et leurs préférences. Pour rappel, l'ISP a pour objectif d'appréhender le bénéfice apporté par le médicament à la collectivité, en termes de santé publique, eu égard à celui des alternatives thérapeutiques déjà présentes sur le marché. Différentes dimensions peuvent permettre l'appréciation de l'ISP, notamment : l'impact potentiel supplémentaire du médicament sur l'état de santé de la population considérée en termes de morbidité et/ou de mortalité et l'impact sur l'organisation des soins ou l'amélioration du parcours de santé et de la qualité de vie pour le patient ou son entourage.
- ⇒ **La création du Critère Patient formaliserait un cadre qui permettrait de mieux recueillir et exploiter les données relatives à la perspective des patients,** au service d'une amélioration de leur prise en charge et de leur accès aux traitements les mieux adaptés. Cela serait particulièrement pertinent dans le cadre de l'évaluation de produits de santé dans les maladies rares.

B. Les sources permettant d'alimenter ce Critère Patient

⇒ **Deux sources principales ont été identifiées pour fournir les données qui viendraient nourrir les indicateurs de perspective patient :**

- **La production de données fournies par les associations de patients** via des questionnaires, construits avec et pour les patients. Ces questionnaires devront être capables, de prendre en considération la capacité d'arbitrage laissée au patient pour qu'il puisse lui-même trouver, et selon son expérience, le juste compromis entre ses priorités. Ces questionnaires pourraient être complétés par la mise en batterie des PREMs et des PROMs encore à développer. En effet, ce sont eux qui reflètent à ce jour le mieux la globalité de la perspective patient, la spécificité de sa pathologie et la diversité de son vécu. Par ailleurs, la production de données par les associations suppose i) une acculturation de ces associations à la valeur objective critère patient et ii) la mise à disposition de moyens (financiers, humains et techniques).
- **L'utilisation de données déjà existantes dans les bases publiques**, en particulier, les données administratives, génomiques et hospitalières centralisées au sein du Health Data Hub, dont l'objectif est de croiser les bases de données existantes à des fins de recherche médicale. Initié depuis 2019, le HDH pourrait être un instrument particulièrement pertinent pour faire émerger des données qualitatives de perspective patient.

Par la suite, il conviendra de croiser ces deux sources d'information afin d'obtenir des résultats robustes et objectifs. Le critère patient présente aujourd'hui toutes les caractéristiques psychométriques qui en permettent d'en faire un instrument de mesure reproductible, exact et sensible au changement de l'état de santé des malades mis sous traitement.

C. Il est temps de concrétiser la création et l'usage d'un véritable critère d'évaluation prenant en compte la qualité de vie, l'expérience et les préférences des patients

⇒ **Différentes initiatives et actualités laissent à penser que l'écosystème de la santé en France est déjà sensibilisé à la reconnaissance des données en vie réelle et à leur utilisation en vie publique.** Le débat a notamment été posé au grand public dans le cadre de l'utilisation de l'application « Tous Anti Covid ». Il est également porté par la HAS dans son récent rapport sur l'engagement des usagers du système de santé. Par ailleurs, la réforme de l'évaluation des produits de santé attendue depuis plusieurs années pourrait être l'occasion de mieux prendre en compte les données patients.

⇒ **Le groupe, n'ayant pas nécessairement la légitimité pour développer toutes les modalités techniques d'application et de définition d'un Critère Patient, appelle-la HAS à réunir les parties prenantes clefs pour y travailler.** Plus particulièrement, ce board pourrait réfléchir aux supports à apporter pour permettre une systématisation de la production des savoirs expérientiels des patients, au développement et au partage de prototypes d'outils pertinents pour capter et analyser les différentes facettes du savoir Patient, à l'homogénéisation des méthodes de saisie et d'analyse des données Patient ou encore à la formulation de recommandations pour optimiser l'implication opérationnelle des représentants de patients à la commission de transparence.

⇒ **Prendre en compte la Perspective Patient dans l'évaluation des produits de santé est donc une grande ambition, collective au système de santé, à la recherche publique et aux industries, engagés ensemble dans l'émergence d'une médecine adaptée aux besoins et attentes des patients.**