

PATIENT-REPORTED MEASURES

Actes de la 17^e Matinée thématique du 4 avril 2019

SOMMAIRE

TABLE RONDE 1

Regards croisés sur les PROMs & PREMs	
■ Arnould Benoit	3
■ Anne-Gaëlle Le Coroller-Soriano	4
■ Bruno Falissard	6
■ Caroline Guillot	8

TABLE RONDE 2

Retours d'expérience et travaux de recherche	
■ Roberte Aubert	10
■ Anne Buisson	12
■ Bruno Detournay	13
■ Gérard de Pouvourville	16

LE MOT DU PRÉSIDENT

La production du système de santé : le mauvais rôle de l'économiste

Le graal de l'économiste de la santé est la fonction de production du système de santé. Dans un monde idéal sa caractérisation permettrait d'allouer de façon optimale les ressources qui lui sont attribuées par la communauté nationale. Certains s'y sont attelés, indirectement tout au moins, en cherchant à évaluer le coût d'opportunité des sommes investies dans le système de santé. Les travaux de Claxton *et al.* en Grande Bretagne en constituent un exemple récent célèbre. Ces travaux avaient pour objectif affiché d'interroger le système de santé, et plus spécifiquement le NICE dans le cas britannique, sur la pertinence de certaines

dépenses du NHS, pharmaceutiques notamment.

Ces travaux ont beaucoup fait parler d'eux dans la communauté des économistes de la santé. Ils ont été dupliqués pour d'autres systèmes de santé, pas en France jusqu'à présent d'ailleurs. Ils ne semblent pourtant pas avoir eu de répercussions majeures. Au-delà des fragilités méthodologiques, inhérentes à ce type de travaux, et qui constituent naturellement des freins à leur acceptabilité, comment peut-on expliquer

(Suite page suivante)

ÉDITORIAL

Si le système de santé a pour finalité de prendre en charge les patients en fonction de leurs besoins identifiés, leur rôle a longtemps été cantonné à celui d'individus recevant des soins selon des décisions prises sans leur participation. Priés d'être observants des traitements prescrits tels des fidèles suivant une parole sacrée, les patients n'avaient pas vraiment voix au chapitre jusqu'à une date récente. Protestant d'une telle situation, des associations de patients ont conduit à initier, en France comme dans d'autres pays développés, des réformes relevant d'une logique de démocratie sanitaire.

Cette évolution est manifeste d'abord dans la participation des patients aux décisions individuelles concernant leurs propres soins. Elle l'est aussi dans l'implication des usagers du système de santé à l'élaboration et la mise en œuvre des politiques de santé. Outre la présence de représentants de patients dans les instances et la contribution des associations, les processus d'évaluation des stratégies thérapeutiques et de la qualité des soins s'ouvrent progressivement à la prise en compte de la voix des patients.

Ce recentrage passe par le développement d'outils permettant d'obtenir des données directement issues des patients, sans inter-

prétation par un tiers, généralement un professionnel de santé. On peut en particulier utiliser les mesures de résultats rapportés par les patients (les *Patient-Reported Outcome Measures* – PROMs) de façon à compléter l'information fournie par des indicateurs de résultats cliniques en vue d'une évaluation plus complète d'une intervention de santé quelconque. Mais une appréciation plus complète de la qualité des soins nécessite également l'intégration de mesures d'expériences (*Patient-Reported Experience Measures* – PREMs) à même d'appréhender la satisfaction des patients vis-à-vis du processus de soins.

Le Collège des Economistes de la Santé a voulu consacrer une matinée thématique à l'examen de ces mesures qui ne peuvent qu'éveiller l'attention des spécialistes d'une discipline fondée sur les notions de bien-être et d'utilité. Et si les PROMs et les PREMs peuvent relever d'approches quantitatives ou qualitatives, ils sont fondés sur des outils dont il faut discuter la validité et la pertinence. Ce fut l'objet d'une première table ronde de réunir des représentants de différentes approches pouvant être mobilisées pour développer ou questionner ces instruments. Et pour mieux

(Suite page suivante)

Collège des économistes de la santé

CESP – Équipe 1 – Hôpital Paul Brousse
Bâtiment 15/16
16, avenue Paul Vaillant Couturier
94807 Villejuif cedex

Tél.: 06 67 52 04 16

E-mail: sg@ces-asso.org

Site internet: www.ces-asso.org

Directeur de rédaction:

Jérôme Wittwer,
assisté de Denis Raynaud
et Bruno Detournay

Secrétariat de rédaction:

Claire Maugé

IRDES Conception maquette:

Franck-Séverin Clérembault (Irdes),
Anne Evans (Irdes)

Mise en pages:

Franck-Séverin Clérembault (Irdes)
Damien Le Torrec (Irdes)

ISSN: 2266-7857

Tous droits réservés. Les reproductions des textes, graphiques ou tableaux sont soumises à autorisation écrite et préalable du Collège des économistes de la santé.

l'échec de ces travaux à influencer les arbitrages en œuvre dans nos systèmes de santé ?

La première raison tient au caractère macroéconomique des travaux conduits, il ne suffit pas de connaître le coût d'opportunité d'1 euro pour savoir précisément où investir (même si l'on devrait savoir où ne pas investir !). L'autre raison tient bien évidemment aux intérêts particuliers des acteurs du système de santé. Les enjeux économiques et de pouvoir attachés à l'allocation des ressources dans le système de santé sont considérables. Les processus de décision sont complexes, conflictuels et au final peu perméables aux considérations sur l'efficacité globale du système de santé.

La troisième raison, et c'est celle-ci qui m'intéresse présentement, c'est que les acteurs du système de santé ne sont pas tous d'accord sur la façon de mesurer la production du système. L'unité généralement utilisée dans les travaux d'évaluation économique est l'année de vie corrigée de la qualité de vie. Outre les

questions de mesure, complexes et perpétuellement en débat, la question de l'agrégation ou encore de la priorisation des gains individuels en santé est mal acceptée. A tel point que pour certains acteurs il n'y pas de sens à comparer les gains individuels ; en d'autres mots, il ne ferait pas sens de mesurer la production du système de santé. On mesure l'ampleur des désaccords.

Le choix collectif comme mécanisme sacrificiel touche à son expression la plus brutale en économie de la santé puisqu'il s'agit, quand on parle d'efficacité du système de santé, de choisir in fine entre la santé de l'un contre la santé d'un autre. On comprend que le sujet soit contourné, évité et finalement refoulé. Nous avons le mauvais rôle de le remettre sur la table sans relâche avec le manque de tact, mais le sens de la mesure, qu'on nous connaît. ■

Jérôme Wittwer

Président du Collège
des économistes de la santé

ÉDITORIAL, suite...

appréhender les enjeux de l'élaboration et de la mobilisation des *patient-reported measures*, il nous a semblé nécessaire d'organiser une seconde table ronde sur la capacité et les limites de tels outils à restituer la voix des patients, et sur les utilisations possibles. Nous avons pris le parti pour cela de combiner le point de vue des patients eux-mêmes à travers des représentantes d'associations et la réflexion d'économistes engagés dans la construction et l'utilisation de ce type de mesures.

Que les contributeurs à ces tables rondes, dont l'essentiel des interventions est restitué dans les pages qui suivent, soient remerciés de stimuler ainsi notre intérêt pour un sujet dont le traitement ne patiente plus. ■

Pierre Levy

Maître de conférences en sciences économiques LEDa-LEGOS,
université Paris-Dauphine, PSL university

Cette Matinée thématique du Collège a été organisée en partenariat avec GlaxoSmithKline le jeudi 4 avril à la Maison des Mines (270 rue Saint-Jacques, 75005 PARIS).



L'ÈRE "PATIENT-CENTRIC" : LE PATIENT EXPERT ET LE PATIENT REPRÉSENTANT

Arnould Benoit

Expert en évaluation centrée sur le patient - MAPI

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :
http://www.ces-asso.org/sites/default/les/ces_4_avril_2019_benoit_arnould_1.0.pdf

Mettre le patient au centre du système de soins implique de procéder à des changements à tous les niveaux. Parmi ces changements, l'un des plus frappants a été de permettre au patient de jouer un rôle d'expert et de porte-parole.

En 2014, les parents d'enfants atteints de la myopathie de Duchenne ont décidé de prendre les choses en main et ont développé leurs propres recommandations. Ils ont dit à la FDA : « On s'en occupe, on va vous dire ce qu'il faut faire ». Le résultat : la publication en 2018 de recommandations finales en collaboration avec la FDA. Il y a deux décennies, qui aurait pensé cela possible, ni même souhaitable ?

Cet évènement remarquable est emblématique des initiatives en cours pour le recentrage des systèmes de santé sur le patient. L'autorité de régulation du médicament aux États Unis, la *Food and Drug Administration* (FDA) a joué un rôle crucial dans la reconnaissance de l'importance du patient. En 2012, elle a initié un mouvement "*patient-focused development*" qui met le patient au centre de la recherche clinique. Elle a invité des patients à exposer leurs priorités et leurs besoins, au cours d'audiences publiques. Les pathologies prises en compte étaient aussi diverses et variées que l'addiction aux opioïdes, l'angio-oedème héréditaire, l'autisme, ou les transplantations d'organes ; pathologies qui représentaient des enjeux importants aux États Unis. Ces audiences ont été suivies par la publication de rapports et de recommandations pour la conduite d'essais cliniques qui prenaient en compte l'expertise du patient sur sa propre maladie.

Cette évolution de fond ne se limite pas à l'activité des autorités réglementaires. Un certain nombre d'institutions représentant les organismes payeurs en Europe, en Asie, en Amérique du Nord et du Sud, intègrent à différents niveaux la voix du patient dans les décisions de remboursement des médicaments, dans leurs représentations et débats. Pour cela, ces organismes font le plus souvent appel à des représentants de patients ou des patients-experts.

Le travail accompli pour accompagner cette révolution « centrée sur le patient », est indispensable et formidable, mais intégrer des patients-experts dans les processus décisionnels n'est pas suffisant. Il faut aussi mener une recherche clinique et épidémiologique qui intègre le point de vue du patient, avec des règles scientifiques.

Aujourd'hui, on sait comment faire et ce savoir-faire se retrouve clairement dans l'évaluation du médicament. En effet, la prise en compte de la perspective du patient dans la recherche clinique est bien structurée d'un point de vue méthodologique et bien cadrée d'un point de vue réglementaire. L'évaluation du médicament par les patients participant à la recherche clinique se fait avec des instruments de mesure développés et validés dans les règles de l'art. Cependant, il reste beaucoup à faire : aujourd'hui encore, on s'aperçoit qu'il y a une majorité de médicaments arrivant sur le marché sans qu'aucun élément d'évaluation par le patient ne soit rapportée dans la documentation officielle diffusée par les autorités, que ce soit la FDA ou l'autorité Européenne (EMA). Même si les autorités disent être entrées dans la nouvelle ère d'un système de santé « centré sur le patient », moins d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) sur deux aux États-Unis et en Europe sur la période 2013-2017 justifie la décision d'AMM en s'appuyant – au moins en partie – sur des données évaluant un bénéfice perçu par le patient. Cela ne veut pas dire que les informations qui viennent des patients ne sont pas utilisées dans leur décision, mais cela montre que la FDA et l'EMA estiment que le niveau de fiabilité, d'intérêt et de pertinence de ces informations ne sont pas suffisantes pour être inscrites dans le document officiel d'AMM.

Or, le cadre méthodologique offert par la psychométrie est clair et consensuel. Son application en recherche clinique met en jeu tout un ensemble d'activités que ce soit de la stratégie, du conseil, du développement d'instruments de mesure ou d'échelles et de leur validation (quantitative ou linguistique) et d'analyses statistiques. Ce cadre est facilement transposable à des questions d'évaluation en pratique courante. Cependant, en ce qui concerne la vie réelle, d'autres questions se présentent, et donc le besoin d'autres outils de mesure se fait sentir. Pour le passage de l'évaluation de la perspective patient du contexte de la recherche vers la vie réelle, il nous faut aller au-delà de l'évaluation des produits ou services innovants et évaluer en routine des services, des hôpitaux et d'autres spécialités.

Aujourd'hui, un des éléments et des intérêts essentiels de l'évaluation en vie réelle, ce n'est pas de tester une hypothèse (« le traitement innovant apporte-t-il un bénéfice perçu additionnel ? » par exemple), mais de décrire et comparer. C'est là un point important de différence entre ce que l'on sait faire en recherche et ce que l'on voudrait faire pour que la voix du patient soit utilisée dans l'éva-

luation des soins et pour orienter l'évolution des services de santé.

Prenons l'exemple d'un instrument, le questionnaire Accept, développé et utilisé dans les études en vie réelle pour évaluer les traitements pris par des patients atteints de maladies chroniques. Ce questionnaire est un instrument générique d'évaluation de l'acceptation du traitement par les patients. L'utilisation au cours d'une évaluation transversale portant sur plusieurs milliers de patients a permis de classer les maladies en fonction du niveau d'acceptation du traitement pris, sur une échelle d'acceptation globale de 0 (très faible) à 100 (très forte). Ce n'est pas seulement le score brut qui nous intéresse ici, mais aussi la comparaison entre maladies, entre groupes de patients, car cela permet d'identifier des priorités. Par exemple, à une extrémité du spectre où sont situés les niveaux d'acceptation de traitement les plus élevés, on trouve les patients soignés pour le diabète de type 1 (DT1) et à l'autre extrémité du spectre, on trouve des patients souffrant de fibromyalgie qui ont un niveau d'acceptation très faible, mais continuent souvent de prendre les traitements prescrits car ils n'ont pas d'autre option. Alors que $\frac{3}{4}$ des patients DT1 ont un niveau d'acceptation de leur traitement supérieur à 50, $\frac{3}{4}$ des patients fibromyalgiques ont un niveau d'acceptation de leur traitement inférieur à 50 ! On voit ici l'intérêt de l'évaluation standardisée en vie réelle pour identifier les besoins prioritaires des patients. La même étude nous permet également de constater qu'il y a des maladies où l'acceptation globale du traitement est assez homogène (comme par exemple l'épilepsie), tandis que pour d'autres elle est plus hétérogène (comme par exemple la bronchopneumopathie chronique obstructive). Dans le deuxième cas, il faut aller plus loin qu'une simple description : l'explo-

ration des raisons qui font que le traitement est difficile à accepter pour certains patients nous indique ce que nous devons améliorer dans l'offre de solutions thérapeutiques.

Nous assistons à une révolution extrêmement importante, à laquelle il faudrait que les spécialistes de la mesure, trop absents aujourd'hui, participent plus et mieux. Tandis que les activités de recherche et de développement peuvent se pratiquer au sein de groupes très spécialisés, nous avons absolument besoin de transversalité pour permettre d'appliquer l'évaluation par les patients dans la vie réelle, des produits et services de santé.

Il y a un certain nombre d'initiatives locales ou globales qui s'intéressent à l'évaluation standardisée et systématique des soins par les patients eux-mêmes. ICHOM propose notamment dans ses "core outcomes set", des instruments de mesure à compléter par les patients. Récemment, en 2019, l'OCDE a lancé une initiative globale qui a pour but le développement d'un ensemble d'indicateurs permettant d'évaluer l'ensemble des maladies chroniques et leur prise en charge à travers les 34 pays membres. Cette initiative s'appelle *PaRIS* : *Patient Reported Indicators Survey*. *PaRIS* fournira des informations sur ce qui compte le plus pour les patients et sur l'expérience vécue par les patients dans leur parcours de soins. L'enquête *PaRIS* est en cours de développement. Le choix des mesures aura un impact important : l'OCDE ambitionne que *PaRIS* soit à la santé ce que Pisa est à l'éducation. Les enjeux sont énormes parce que les résultats de cette enquête vont déterminer quelles décisions devront être prises dans les années qui viennent pour adapter, organiser et financer les services de soins et les produits de santé... ■

PROMs ET PREM's : LE REGARD D'UNE ÉCONOMISTE

Anne-Gaëlle Le Coroller-Soriano
Economiste de la santé au SESSTIM

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :
http://www.ces-asso.org/sites/default/les/proms_prem's.pdf

Les PROMs, *Patients Reported Outcomes Measure*, sont une mesure de l'état de santé du patient mesurée directement par ce dernier, sans l'interprétation du médecin ou d'une tierce personne. Cette mesure comprend les symptômes, l'état fonctionnel, l'état émotionnel, l'état psychologique, le rôle social, la spiritualité, etc. Ces domaines étaient auparavant regroupés dans ce que l'on appelait la qualité de vie, puis la qualité de vie liée à la santé.

Les PREM's, *Patients Reported Experience Measure*, sont une mesure de l'expérience vécue par le patient des soins qu'il reçoit. Cette mesure comprend la satisfaction

vis-à-vis des soins, le délai d'attente, les relations avec les professionnels de santé, etc.

Les PROMs peuvent être génériques comme le SF36 ou le *Nottingham Health Profile*, ou spécifiques à une maladie comme le QLQ-C30 ou le FACT (spécifique au cancer) ou à un traitement comme le FACT-BMT (spécifique à la greffe de moelle osseuse chez les patients atteints de cancer). On retrouve des échelles spécifiques dans un grand nombre d'affections aiguës ou chroniques. Ces échelles relèvent d'une troisième catégorie de PROMs qui provient de l'économie et sont les préférences des patients. Ces préférences étaient auparavant séparées

des deux autres catégories qui relèvent plutôt de la psychométrie. Tout comme les PROMs d'origine psychométriques, ils peuvent être génériques ou spécifiques.

Dans le cadre de l'évaluation économique de type coût-efficacité l'efficacité est fréquemment mesurée en ayant recours au QALY (années de vie ajustées sur la qualité de vie). Ce QALY pondère la survie des patients par un coefficient qui exprime les préférences de ces derniers pour leur état de santé, souvent appelé coefficient d'utilité. Pour révéler ces coefficients d'utilité, il existe des méthodes directes de révélations des préférences et des méthodes indirectes.

Les méthodes directes de révélation des préférences sont : l'équivalent probabiliste qui repose sur la théorie de l'utilité espérée, l'arbitrage temporel qui provient de la théorie de l'utilité de Hicks ou encore l'analyse des choix discrets qui provient de la théorie de l'utilité aléatoire. Les économistes s'accordent à préférer l'équivalent probabiliste d'un point de vue théorique, car c'est une méthode qui propose un choix au patient qui prend en compte une certaine prise de risque. Elle pose cependant des problèmes de compréhension de la part des individus interrogés. C'est une des raisons qui a mené au développement de l'équivalent probabiliste, plus « intuitif » pour les individus, mais qui reste encore difficile à mettre en œuvre, sur un nombre important d'individus. Plus récemment, la méthode des choix discrets a été « importée » de l'économie du marketing, plus intuitive et simple à mettre en place, elle pose de nouvelles difficultés, en particulier d'ancrage puisqu'elle mesure une différence d'utilité. Pour toutes ces méthodes, il arrive de rencontrer une réticence des cliniciens et une acceptabilité « éthique » parfois difficile lorsqu'on propose des choix aux patients sur la valorisation de leur état de santé alors qu'ils sont en train de vivre leur maladie et leur traitement.

Les méthodes indirectes de mesure des coefficients d'utilité des QALYs sont obtenues en interrogeant les patients sur leur état de santé à l'aide d'un questionnaire économique de qualité de vie. L'économiste va ensuite appliquer une valeur qui a été déterminée au préalable par un échantillon représentatif de la population générale.

En interrogeant la population générale pour l'obtention des valeurs d'utilité, les méthodes indirectes permettent de donner le point de vue de la collectivité qui, en France, est le payeur des soins. On peut citer plusieurs méthodes indirectes de révélation des préférences : les modélisations d'utilité multi attribut (HUI2/3), les questionnaires génériques obtenus par modélisation économétrique (EQ-5D, QWB, SF-6D), ou encore les questionnaires spécifiques obtenus par modélisation économétrique : EORTC-8D, AQL-5D.

L'EQ-5D est la méthode la plus utilisée actuellement et elle a été réalisée dans sa forme initiale à l'aide de l'arbitrage temporel (*Time-trade-off*).

Comment fonctionne l'EQ-5D? On demande aux patients de sélectionner en l'entourant l'état de santé dans lequel ils se trouvent. On va avoir 243 états de santé à valoriser, à l'aide d'une fonction de pondération, qui est une fonction d'utilité et qui a été déterminée par un arbitrage temporel auprès de 450 personnes issues de la population générale. Ainsi, il y a 24 états de santé qui ont été valorisés directement et les autres états de santé ont été obtenus par des modèles de régression à effet aléatoire. On arrive à avoir ensuite une grille qui affecte, pour chaque état de santé, un coefficient de pondération des années de vies gagnées permettant d'établir le QALY.

Actuellement, l'EQ-5D est recommandé par le NICE et la HAS. Quelles que soient les critiques qu'on peut en faire, avant l'EQ-5D il était difficile de calculer des QALYs, soit les chercheurs avaient recours à des techniques longues et complexes de mesure directe des préférences, soit ils utilisaient des valeurs disponibles dans la littérature, valeurs plus ou moins adaptées au contexte de leur étude. A ceux qui pensent que c'est le NICE qui a « fait » le QALY on peut opposer que l'EQ-5D y a largement eu sa part.

Il est préférable que la même mesure détermine l'utilité des QALY dans un cadre d'allocation budgétaire des ressources, l'EQ-5D est ainsi une mesure générique. Elle est ainsi insuffisamment sensible au changement d'état de certains patients comme les patients atteints du cancer par exemple. En effet, la cancérologie utilise des échelles spécifiques (localisation et traitement) pour mesurer la qualité de vie. Dans le domaine du cancer, on utilise des PROMs spécifiques aux cancers et spécifiques à certaines localisations du cancer, voire à un certain traitement du cancer. Lorsqu'on a un questionnaire qui traite de la leucémie aiguë et même de la greffe de moelle osseuse dans la leucémie aiguë, on est sur un niveau de précision extrêmement fin. On assiste depuis quelque temps au développement d'index spécifiques, mais ils ne sont pas recommandés par la HAS puisqu'on est dans le cadre d'un outil de programmation de santé publique. On peut ainsi s'interroger sur le cadre de décision dans lequel on se trouve lorsqu'on a recours à des index multi attributs spécifiques.

En créant une grande famille (les PROMs) qui regroupe à la fois des instruments psychométriques de qualité de vie et des index économiques de mesure de l'utilité, il faut rester attentif à la distinction nécessaire entre ces deux notions pour éviter de voir fleurir des utilités calculées directement à partir de questionnaires psychométriques, n'obéissant ainsi pas à l'axiomatique minimale exigée pour pouvoir prétendre être un coefficient de pondération d'un QALY.

Les PREMs sont une notion différente des PROMs et peuvent en être totalement déconnectés. On peut ainsi avoir un très bon résultat d'état de santé et un très mauvais vécu de l'expérience de ses soins. En permettant d'interroger les patients sur la valeur qu'ils accordent

aux soins qu'ils ont reçus, ils peuvent néanmoins être très utiles pour le développement d'une partie du financement lié à la qualité des soins comme celui qui est proposé depuis le début de l'année 2019.

Il est intéressant de voir apparaître cette notion d'expérience des soins de la part des patients, car elle ressemble de très près à ce que les économistes, en particulier

ceux qui se sont intéressés à l'analyse des choix discrets, appellent l'utilité de la procédure (*process utility*). S'il semble difficile de faire apparaître au numérateur du ratio coût-efficacité cette notion d'utilité de la procédure, c'est finalement dans le cadre de l'analyse coût-bénéfice, ou dans celui du calcul du bénéfice net qu'il sera le plus cohérent d'intégrer cette notion de PREM's pour les économistes. ■

LES FRAGILITÉS DES PROs

Bruno Falissard

Pédopsychiatre, biostatisticien et directeur du CESP

Sur un plan académique, il y a une crise dans le monde des PROs, pas une crise au sens où ça va mal mais une crise au sens où il y a un changement assez radical. Il y a 20-30 ans, à leur arrivée, la plupart des collègues considéraient les PROs (à l'époque on disait mesures de qualité de vie) comme des gadgets politiquement corrects pour faire croire aux gens qu'on les écoutait. Globalement, petit à petit, ces instruments ont cependant pénétré le monde de la recherche médicale et aujourd'hui leur image s'est améliorée même si l'on voit encore des essais en hémato-oncologie sans mesure de qualité de vie. Bien que les PROs ne soient pas toujours considérés comme des mesures très scientifiques, les professionnels savent que ces instruments sont devenus incontournables. Cela est vrai pour l'usage, pour la recherche, c'est très différent.

Pour l'immense majorité des PROs, le *background* méthodologique relève de la psychométrie. Cela signifie en pratique que la méthodologie d'évaluation de la qualité de vie, de la dépression, de la fatigue, etc. provient à l'origine de la méthodologie de mesure de l'intelligence telle que développée en 1904 par Pearson. Le problème c'est que la psychométrie est une discipline en voie d'apoptose. Vous avez sûrement remarqué que dans le monde de la psychologie, la psychologie cognitive s'est étendue considérablement, tandis que la psychométrie a disparu et la psychologie différentielle, qui se nourrissait de psychométrie, a quasiment disparu aussi. Il y a des disciplines qui naissent et d'autres qui meurent. On pourrait dire que la clinimétrie a pris le relais, puisque nous faisons des mesures cliniques plus que psychologiques. Mais bien qu'il y existe des livres dans ce domaine, la clinimétrie n'est pas née.

Aujourd'hui, quand on valide un instrument de mesure de la qualité de vie, le plus souvent on va calculer un coefficient de Cronbach et on va faire une analyse factorielle, donc de la psychométrie. Il y a de façon sous-jacente l'hypothèse forte que les items du PRO ont une propriété d'unidimensionnalité. L'analyse factorielle existe depuis plus de 100 ans, ça fait donc un peu ringard d'utiliser un outil aussi ancien. Les chercheurs ont de ce fait déve-

loppé des alternatives que l'on regroupe sous le terme de modèles de réponse à l'item. Ces modèles conduisent à des mesures académiquement parfaites mais qui ne marche pas du tout dans la réalité, en tous cas en santé ; car en santé la dépression, la qualité de vie, etc. ont une structure dimensionnelle trop complexe. Toutes ces sophistications technologiques des modèles de réponses à l'item sont donc plus ou moins des impasses.

On l'oublie trop souvent, il n'y a pas que la psychométrie pour faire des PROs, il y a aussi l'approche utilitariste. Depuis 30 ans, le monde des PROs est donc clivé avec les psychométriciens d'un côté et les utilitaristes de l'autre. La plupart des psychométriciens ne savent même pas que le théorème de Von Neumann et Morgenstern existe. La plupart des spécialistes de l'utilité ne connaissent pas la propriété d'indépendance locale, qui permet de justifier l'existence des PROs psychométriques.

On a ainsi deux mondes de mesures complètement différentes épistémologiquement. Les hypothèses utilitaristes ne reposent pas sur une hypothèse unidimensionnelle. En effet, l'utilité n'est pas unidimensionnelle et c'est justement la force de ce modèle de mesure : la possibilité d'agréger plusieurs dimensions à partir de méthodes de révélations de préférence.

Aujourd'hui, l'utilité de ces PROs est relativement incontestée. Poser des questions aux gens, savoir s'ils vont plus ou moins bien en fonction de leur traitement est indispensable. Lorsqu'on a une nouvelle chimio, par exemple, qui nous permet d'avoir trois mois de survie mais qu'à côté ça va très mal, il est important de le savoir et de chercher un compromis entre quantité et qualité de vie. Tout le monde est à peu près d'accord là-dessus.

Si l'on approfondit les choses, on se rend compte que comme toujours c'est plus compliqué. Par exemple, lorsqu'on mesure la qualité de vie de patients qui viennent d'avoir une transplantation hépatique, leur qualité de vie est supérieure à la qualité de vie en population générale, à âge, sexe et niveau socio-économique identique. Ces patients ont vécu des choses tellement difficiles,

qu'ils goûtent davantage la vie qu'ils ont, même si cette dernière n'est pas si facile. Cela pose bien sûr un problème d'évaluation : on ne va pas proposer de faire une transplantation hépatique à tout le monde pour améliorer la qualité de vie. Les psychométriciens ont vu là un problème méthodologique qu'ils ont nommé : *response shift*. Ce mot bizarre signifie juste que les humains ne sont pas les mêmes au cours de leur vie, qu'ils peuvent changer. En effet, vivre avec une maladie grave peut changer beaucoup notre regard sur la vie et de ce fait provoquer des paradoxes. Il y a eu des travaux pour essayer de limiter cet effet, en utilisant notamment la notion linguistique de *semantic primes*. On va considérer ainsi que les PROs ne sont valides que quand leurs items sont des atomes de sens. Il semble en effet que dans tous les langages humains, il y a des mots qui sont des atomes de sens (*semantic primes*) et lorsqu'on interroge une personne sur certaines de ses caractéristiques qui correspondent à des *semantic primes* alors il a beaucoup moins de difficultés à se représenter la réponse qui correspond à ce qu'il est.

On l'oublie trop souvent, répondre à une question (à l'item d'un PRO) ça ne va pas de soi. Donner la parole au patient (l'étymologie de PRO) c'est bien, cela tombe d'ailleurs sous le sens : de fait, c'est le patient qui vit sa maladie. Pourtant en pratique on se rend compte que ça ne marche pas si bien. Il y a des données manquantes et parfois les patients répondent de façon bizarre. C'est en réalité bien compréhensible. Si l'on demande à une personne s'il ou elle est satisfait(e) de sa sexualité, cette personne doit faire l'effort de se demander ce qu'est sa sexualité, ce qu'elle souhaiterait de sa sexualité, il faut ensuite accepter de dire ce que l'on pense si tant est que l'on a réussi à avoir une réponse. En fait, en médecine, le patient n'est pas nécessairement le mieux placé pour répondre sur sa qualité de vie, pour les psychiatres c'est parfois une évidence.

Au total, le monde de la psychométrie, le monde des PROs s'interroge. Il y a même un chercheur en psychométrie très réputé qui a expliqué que la psychométrie ne sert à rien, que les scores ne valent rien et que pour comprendre la complexité des réponses à un PRO il ne faut plus faire des scores globaux. Il faut faire des analyses en réseaux (réseau des liens statistiques entre les réponses aux items). Pour évaluer des produits de santé ça ne facilite cependant pas la vie des méthodologistes.

On observe d'autres percées méthodologiques, comme le traitement automatique du langage. On pose des questions ouvertes aux patients et grâce à des techniques statistiques *ad-hoc* on analyse les réponses. On n'a donc pas de score global, mais plutôt une évaluation semi-quantitative à l'aide d'un corpus ouvert. Dans la même lignée il y a aussi les études qualitatives qui ont un avenir prometteur pour l'évaluation des soins y compris des médicaments. L'idée c'est de faire parler les patients sur leur expérience, sur leur vécu de la maladie et du soin. Par exemple, pour la dépression, un chercheur a demandé : « Qu'est-ce que ça fait de prendre un antidépresseur ? ». Un patient a expliqué : « avant les émotions s'accrochaient à moi, maintenant c'est comme s'il y avait une vitre insonorisée entre les gens et moi. ». Les méthodologies qualitatives permettent de faire des synthèses de réponses de ce type. Les résultats sont donc bien différents de ceux de PROs qui indiquent eux si le patient est plus ou moins symptomatique.

A l'heure de la médecine personnalisée, les PROs, qui sont avant tout des outils statistiques représentant des sujets moyens, devront peut-être laisser un peu de places à des évaluations subjectives elles aussi personnalisées. ■

REGARD SOCIOLOGIQUE SUR L'EXPÉRIENCE PATIENT ET LE RÔLE DES ASSOCIATIONS DE PATIENTS

Caroline Guillot

Sociologue, Responsable du Diabète LAB, Fédération française des Diabétiques

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :
http://www.ces-asso.org/sites/default/les/040419_ces_expepatient.pdf

Le Diabète LAB est le service de la Fédération Française des Diabétiques qui a pour vocation de produire de la connaissance sur l'expérience patient.

Comment une association de patients peut-elle renforcer sa légitimité pour parler des patients et au nom des patients ?

La Fédération Française des Diabétiques a notamment choisi une approche scientifique. Comprendre et restituer les expériences de chacun, à travers des études sociologiques, valorisant l'écoute et l'observation. Cette démarche nous assure non seulement d'être reconnu expert auprès des autres acteurs de santé, mais aussi de porter avec force et rigueur la voix des patients.

Plus précisément, le Diabète LAB a trois vocations :

- Tout d'abord, il permet d'appuyer le plaidoyer de la Fédération, notamment dans le cadre du remboursement de dispositifs médicaux.
- Ensuite, il s'inscrit dans une démarche de « pharmacovigilance sociale », en sensibilisant et en alertant l'ensemble des acteurs concernés. On va écouter les patients, regarder leurs pratiques et usages des dispositifs médicaux, et voir s'il y a des détournements, et/ ou des contournements, ou même des comportements à risques.
- Enfin, le Diabète LAB vise à favoriser l'empowerment du patient. Pour cela, en novembre 2017, une plateforme a été mise en place grâce aux outils d'une société spécialisée dans les solutions numériques pour la recherche clinique afin de permettre aux patients, aux proches et professionnels de santé de s'enregistrer et de participer, en direct et *via* internet, à des projets de recherche.

Ce sont des enquêtes sur le vécu et la qualité de vie ou des études longitudinales. Des enquêtes qualitatives par entretiens individuels, focus groupes, observations ethnographiques, ou des enquêtes par questionnaire. Un patient peut s'inscrire de manière sécurisée et fournir des données sur son profil de santé. Il reçoit périodiquement des emails qui lui font part des événements portés par la Fédération et correspondant à son profil. La plateforme a en effet été pensée avec les patients et continue de se développer comme une expérimentation sur l'éducation thérapeutique et la participation patient à des projets de recherche en « vraie vie ».

Comment, au sein du Diabète LAB, recueillons-nous, apprécions-nous et restituons-nous l'expérience patient ?

Prenons l'exemple d'un dispositif médical, celui des dispositifs de mesure en continue du glucose. Il évite au patient de se piquer le bout du doigt plusieurs fois par jour pour obtenir la mesure de sa glycémie. Cette fois-ci, pour obtenir sa glycémie, le patient possède un capteur sur le bras, il se scanne, grâce à un lecteur qu'il place à quelques centimètres du capteur. La Haute Autorité de Santé a demandé d'évaluer les effets de ce dispositif médical sur la qualité de vie des patients. Pour apporter des réponses, nous avons ainsi interrogé les patients directement. Cependant l'expérience patient est complexe, non univoque, et surtout elle est plurielle. Pour restituer ces expériences patients nous nous sommes attachés à deux précieuses dimensions :

- La première dimension de l'expérience patient ce sont les contraintes afférentes à la prise en charge de la maladie. Dans le cadre de cette étude sur le lecteur de glucose en continu, on a observé s'il y avait un allègement, ou un renforcement des contraintes physiques, matérielles, spatiales et organisationnelles, sociales et symboliques, cognitives et temporelles. Cette dimension permet d'obtenir des indications sur les effets et les usages du dispositif médical sur la vie du patient et la prise en charge de sa maladie.
- La deuxième dimension de l'expérience patients, ce sont les conditions d'utilisation, d'acceptation ou d'employabilité d'un dispositif, c'est-à-dire ce qui fait que le patient construit une confiance pour utiliser le dispositif médical lui garantissant une utilisation pérenne de son dispositif médical. De cette dimension émerge des indications de l'impact des usages du dispositif médical sur la connaissance de soi et de sa maladie (autonomisation des patients, montée de l'expertise, adaptation efficace de son traitement...).

Le Diabète LAB, dans le cadre de cette étude, a conclu que d'une part ce dispositif permettait de réduire une majorité de contraintes liées à la prise en charge de la maladie, mais parfois au prix d'un « travail redoublé » du patient. D'autre part, elle a démontré et expliqué comment ce dispositif médical permettait d'accroître l'autonomie du patient : il permet de mieux se connaître soi-même et d'avoir une adaptation plus efficace de ses doses d'insuline.

En conclusion de ce premier exemple, les études du Diabète LAB sont complémentaires des études cliniques qui visent, quant à elles, essentiellement à démontrer les effets sur l'équilibre glycémique (sur l'hémoglobine glyquée). Cet exemple sur le lecteur de glucose en continu illustre le fait que l'évaluation du service rendu d'un dispositif médical implique de ne pas s'en tenir à la seule notion de résultat médical et nécessite d'aborder les dimensions de l'expérience patient. L'appréciation du service rendu dira s'il a un « bénéfice » pour le patient qui dépend de l'expérience. Ce bénéfice n'est pas objectivé par le patient mais par le sociologue grâce aux observations des usages et leur quotidien. En d'autres mots, le patient n'intègre pas passivement la connaissance ; il est expert, car il contribue à la produire. Cette capacité est en chaque malade dès lors qu'on le met en capacité d'exprimer son expérience singulière. C'est en partie le travail des sociologues ! Ils encouragent, si les patients le souhaitent, à exprimer, décrire leurs vécus, et ils le restituent dans le cadre d'une problématique et d'une méthode de recherche.

Abordons à présent un autre exemple auquel le Diabète LAB a participé et qui démontre que l'expérience patient peut s'exprimer à travers des méthodes et pour des objectifs différents : ici, il s'agit d'un questionnaire pour participer à l'évaluation du système de santé.

Précisément, en 2018 a débuté un projet d'expérimentation nationale d'incitation à une prise en charge partagée (Ipep) mené par le Ministère des Solidarités et de la Santé et la Caisse nationale d'Assurance maladie avec 18 groupements de santé expérimentateurs. Cette expérimentation vise à promouvoir des organisations innovantes en santé pour améliorer le service rendu aux patients et l'efficacité des dépenses de santé. Afin d'apprécier l'amélioration du service rendu, chaque patient des groupements expérimentateurs évaluera anonymement, à travers un questionnaire, son expérience globale vis-à-vis de la qualité de son parcours de santé. Les résultats du questionnaire permettront de fournir aux professionnels de santé du groupement des informations pour améliorer leurs pratiques et renforcer la coordination. Ils seront également pris en compte, sous forme de bonus dans un premier temps, dans le calcul d'un intéressement financier collectif versé au groupement.

Dans ce projet, l'expérience patient a été mobilisée, dans un premier temps, pour construire le questionnaire, pour retenir ce qui constituait pour les patients les critères qualité du parcours de santé. Dans un second temps,

une fois finalisé, le questionnaire servira de recueil de l'expérience patient pour évaluer le système de santé.

Lors de la construction du questionnaire avec des patients volontaires testeurs, ces derniers ont majoritairement considéré que les évaluations étaient nécessaires. De façon générale, ils apprécient la démarche qui consiste à recueillir leur point de vue, si celui-ci permet aux professionnels de santé d'améliorer leurs pratiques pour le bien du patient.

Dans le même temps, certains patients testeurs ont manifesté une appréhension, voire des résistances à donner leur avis sur leur propre prise en charge. C'est particulièrement le cas si le patient ne se considère pas comme une personne malade, qu'il pense prendre soin de sa santé, et/ ou qu'il perçoit sa relation avec le médecin comme bonne. Le format du questionnaire testé, avec des réponses préformées et des cases à cocher qui restreignent l'expression, a pu également fragiliser la motivation du patient à répondre.

Les testeurs ont globalement tous rappelé l'importance d'une médecine « humaniste » : une médecine qui donne de la place à l'échange entre patient/médecin, qui permet d'obtenir facilement un rendez-vous et des réponses à ses questions, qui fait circuler les informations entre les médecins, notamment suite à une hospitalisation ou des consultations chez les spécialistes, et enfin qui tient compte des habitudes de vie du patient. Voilà les critères qualités que les patients ont fait émerger et qui seront retenus pour qu'ils s'expriment sur leur expérience vécue au sein des groupements d'acteurs de santé.

Pour conclure sur ce projet, il témoigne de l'expression d'une responsabilité individuelle, fondée sur le principe que l'expérience des patients a de la valeur pour contribuer à l'évaluation collective. Dans le même temps, les réactions des patients à cette façon d'exprimer leur expérience illustrent que l'accompagnement des acteurs de santé, pour encourager les patients à répondre au questionnaire, est primordiale.

Pour conclure sur cette présentation, le patient n'intègre pas passivement la connaissance ; il est expert, car il contribue à la produire. Cette capacité est en chaque malade dès lors qu'on le met en capacité d'exprimer son expérience singulière. Une expérience est non seulement bénéfique pour lui-même mais peut rayonner collectivement si elle est mise au service des professionnels de santé, et/ ou des décideurs. Tenir compte et valoriser l'expérience patient est devenue incontournable. ■

PSORIASIS : UN FARDEAU À OBJECTIVER

Roberte Aubert

Présidente de France Psoriasis

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :

http://www.ces-asso.org/sites/default/les/aaa_objectiver_le_fardeau_du_pso_4-4-2019.pdf

N'étant ni personnel de santé, ni économiste, et mon passé professionnel n'étant pas du tout dans ces domaines-là, c'est en tant que présidente de l'association de patients France Psoriasis que je vais vous faire part de nos travaux et de nos problématiques, dans le monde concret de notre réalité quotidienne, assez éloigné de celui présenté dans la première table ronde.

Le psoriasis a, encore de nos jours, une image sociale très moyenâgeuse.

Une association de patients au service des patients

L'APLCP (Association pour la lutte contre le psoriasis) créée en 1983, prendra en 2014 son nom actuel : France Psoriasis. Il a fallu une **résolution de l'OMS**, le 24 mai 2014 pour que notre pathologie soit reconnue mondialement comme étant une **maladie grave, non contagieuse, chronique, invalidante et source de discrimination**. Les états membres y étaient invités à promouvoir des campagnes d'information pour éviter ces souffrances inutiles. Un an plus tard, après de longues démarches le Ministère en charge de la Santé nous a enfin accordé son patronage pour nos campagnes d'information, sans plus de soutien.

Le psoriasis

Le psoriasis, 3^e maladie de peau en France selon l'enquête « Objectif peau » réalisée en 2017 auprès de 20 000 personnes par la Société Française de Dermatologie, atteint 4,4 % de la population soit plus de 2,4 millions de personnes. C'est une maladie de peau non seulement affichante, mais aussi génératrice de douleur, qui a également, dans 25 à 30 % des cas, une manifestation rhumatismale avec des risques de destruction articulaire

Les maladies de peau ne sont pas considérées comme une priorité de santé publique. Pourtant, il y a une forte prévalence du psoriasis (4,4 % soit 2,4 millions de français de plus de 15 ans). Dans près de 80 % des cas, il s'agit d'un psoriasis « léger », c'est-à-dire que ce sont des personnes dont la surface corporelle atteinte est inférieure à 10 %. Les 20 % restants ont un psoriasis « modéré à sévère », soit à cause de l'étendue des plaques, soit à cause de localisations invalidantes. Il y a alors nécessité d'une prise en charge par des traitements systémiques et innovants. Cependant, la gravité est souvent sous-estimée par l'entourage voire par le généraliste. Ajoutons à cela que les comorbidités du psoriasis sont nombreuses (le syndrome métabolique, l'hypertension, le diabète, les problèmes cardio-vasculaires, le syndrome

dépressif...). Mais quel que soit le degré de sévérité, une des conséquences de cette maladie est son impact individuel grave, c'est-à-dire une altération de l'image de soi, un dégoût de soi... Elle a également un impact social important sur la vie intime, la vie professionnelle, les choix scolaires....

Vivre avec un psoriasis

C'est vivre entre **honte et rejet** quand on a un psoriasis important ou affichant. Mais même s'il est léger, il altère souvent la qualité de vie. Il y a un important déficit d'information en ce qui concerne les innovations thérapeutiques récentes et/ou les progrès dans la connaissance de la maladie. On entend encore dire maintenant, en 2019 : « mon médecin m'a dit que mon psoriasis ne se soignait pas » ; alors qu'il y a toute une diversité de possibilités de traitements surtout depuis les années 2010. C'est également vivre avec une **image sociale souvent dégradée**, car il y a quantité d'**idées préconçues** dont les malades eux-mêmes se font malheureusement souvent les porte-paroles. Il est fréquent de croire que le psoriasis est lié à des problèmes psychologiques, donc lors d'un entretien d'embauche par exemple, ça peut vraiment devenir un inconvénient majeur. Certains pensent aussi qu'il s'agit d'un déficit d'hygiène ou que c'est contagieux.

Autre difficulté : **la complexité du parcours de soins** : du généraliste au dermatologue qui, s'il ne parvient pas à contrôler le psoriasis doit aiguiller le patient vers un dermatologue hospitalier, seul habilité à prescrire des biothérapies. Mais cela fait deux articulations qui sont très mal « huilées ». En effet, le généraliste n'envoie pas toujours chez le dermatologue et le dermatologue n'adresse pas toujours vers une prise en charge hospitalière en cas d'échec. Ainsi, des inégalités majeures d'accès aux soins et à l'innovation thérapeutique sont générées.

La stratégie thérapeutique est souvent mal comprise, parce qu'on procède par essais/erreurs jusqu'à trouver un traitement efficace. Cette démarche n'est généralement pas comprise par les patients ou parfois mal expliquée.

Cette maladie ne suscite aucune empathie et nous sommes la cible privilégiée des marchands de miracle. Sur un plan économique, ce deuxième aspect est très important.

Quelques chiffres pour objectiver

Ma parole trouve sa légitimité dans des fondements objectifs. Les chiffres suivants sont issus d'enquêtes de perception réalisées par l'association (Enquête Opinion Way auprès de 1 615 psoriasiques en 2015, Enquête Ipsos : Regards croisés – 2016 et sondage administré par internet via GoogleForms – /611 psoriasiques – 2016) : 39 % des Français ignorent que le psoriasis n'est pas contagieux ; 29 % ne veulent pas serrer la main d'un psoriasique ; 45 % refuseraient d'avoir des relations sexuelles avec un(e) partenaire psoriasique ; 49 % des malades et 38 % des proches estiment que le psoriasis est source de tension dans le couple ; 72 % des malades éprouvent de la gêne par rapport à leur apparence physique ; 33 % des psoriasiques éprouvent de la honte par rapport à leur maladie ; et 53 % disent souffrir de l'idée qui relie psoriasis et stress.

Parmi les paroles négligées

Les malades atteints de psoriasis sont des malades qui se cachent et s'isolent.

Leur parole est souvent négligée. Ainsi, jusqu'à la fin du 20^e siècle, on pouvait lire dans les livres de médecine que ce qui différenciait l'eczéma du psoriasis, était le fait que l'eczéma provoquait des démangeaisons et pas le psoriasis. Les démangeaisons du psoriasis sont niées jusqu'à une période très récente, alors qu'en fait, le prurit concerne environ 80 % des psoriasiques !

Les attentes des malades par rapport aux traitements ne sont pas toujours comprises. Toutes les études et essais cliniques parlent de PASI, c'est-à-dire une réduction des plaques. Or ce que les malades attendent en premier lieu c'est l'arrêt des démangeaisons.

L'ambition thérapeutique du patient n'est pas vraiment entendue. On ne sait pas quelle est son ambition, ses attentes.

On aimerait également connaître la prévalence du rhumatisme psoriasique, puisqu'on parle de 7 à 42 % (OMS : 42 %, Journal international de médecine : 25 %, Objectif peau : 15 %, HAS : 33 %...). Les différentes données font donc le grand écart. Or il est important de la connaître pour justifier les actions de dépistage et pour les patients, envisager leurs perspectives de vie. Les demandes répétées d'une étude sérieuse n'ont toujours pas abouti.

PsoPro

Je vais maintenant faire état d'une **enquête, PsoPro**, que nous avons menée avec le soutien d'un laboratoire. **Son objet était de vérifier et d'objectiver l'impact du psoriasis sur la vie professionnelle.** Elle a été réalisée à partir d'un panel Ipsos (2016) sur 1 003 personnes sans psoriasis et 798 psoriasiques (hors association).

Le résultat de cette enquête montre que les psoriasiques sont trois fois plus impliqués dans leur travail que la population générale (25 % contre 8 %). On peut parler de « Travail refuge », très fréquent chez les travailleurs atteints de maladies chroniques, mais pas à un tel niveau ; 28 % déclarent que leur travail est plus important que tout (contre 8 %) ; et les personnes atteintes d'un psoriasis cutané ont plutôt un absentéisme inférieur à la population générale.

Pourtant le monde du travail ne les épargne pas. En effet, 70 % ont fait l'objet de moqueries ou de remarques dégradantes au travail ; les psoriasiques sont trois fois plus atteints par le chômage de courte durée que la population générale. De plus, environ un tiers estime avoir connu un blocage de carrière (38 %) ou un licenciement (31 %) à cause du psoriasis.

C'est une maladie « taboue ». Il y a seulement 28 % des psoriasiques ayant un psoriasis cutané et 47 % avec un rhumatisme psoriasique qui en ont parlé à leur médecin du travail. Plus des trois quarts n'en ont parlé ni à leur DRH ni à leurs collègues. Malgré la résolution de l'OMS qui demande aux états membres de combattre la stigmatisation dont sont victimes les personnes atteintes de psoriasis, il reste, en France, un très long chemin à parcourir.

Propositions concrètes

A partir des résultats de cette enquête, nous avons réuni des experts de la santé et du travail et des **propositions concrètes** ont été émises.

Tout d'abord, nous avons pensé qu'il fallait exiger d'inclure dans le volet dédié à la santé au travail une mesure spécifique aux maladies chroniques de la peau.

Nos autres propositions :

- Premièrement, il y a nécessité de **renforcer la capacité des actifs atteints à sécuriser leur parcours professionnel**, à l'aide d'une éducation thérapeutique du patient qui pourrait contenir un module de gestion de la maladie dans la vie professionnelle (comment en parler, quand et avec qui) et en souhaitant la création d'une plateforme ressource Ministère de la Santé et Ministère du travail avec les informations nécessaires.
- Deuxièmement, nous avons pensé qu'il fallait améliorer, pour les acteurs-clés du monde de l'entreprise, la compréhension des spécificités des maladies chroniques, c'est-à-dire promouvoir la formation des managers dans le sens d'une meilleure connaissance de ces maladies chroniques ; inclure un module sur les maladies chroniques de la peau dans la formation des DRH ; prévoir lors de l'entretien annuel un volet sur les « vulnérabilités » au travail ; renforcer, aussi, le rôle des Comités Sociaux et Economiques en ajoutant l'intégration professionnelle des malades chroniques à la liste de leurs missions.
- La troisième proposition était d'étendre les missions des agences publiques vers l'aide aux actifs malades

chroniques. C'est-à-dire, élargir les responsabilités de l'Agefiph à des services adaptés aux pathologies chroniques de la peau.

- Enfin, pourquoi ne pas créer un **label, pour les entreprises** qui le désireraient, **prouvant un engagement fort à lutter contre les discriminations** (sous la responsabilité du Défenseur des droits).

Ces propositions concrètes ont été envoyées comme contribution à la Députée Charlotte Lecocq, qui était chargée **d'un rapport sur la santé et le travail par les deux ministères concernés et le Premier Ministre**, chacun également destinataires de nos propositions. Nous avons participé à une réunion de travail, autour de Charlotte Lecocq (où nous étions les seuls représentants de malades). Mais le rapport n'aborde pas le sujet de la chronicité...

Par contre, pendant la semaine de la « qualité de vie au travail » (5-9 octobre 2017), la presse, a bien repris nos conclusions (« Actuel-RH », Ouest-France, Chronique de Michel Cymès – RTL, « C'est mon boulot » – Fr.info, « Chronique emploi » – Fr. Inter, « Monde » cahier éco, BFM TV, moniteur des pharmacies, « Challenge »...). Nous avons donc été **entendus par la presse mais pas par les politiques !**

Parmi les freins identifiés

Les maladies chroniques de la peau sont sous-estimées et souvent oubliées par le système de santé. D'où une répercussion à fortiori sur l'aspect travail.

C'est une **demande probablement prématurée par rapport à la perception sociale** de cette pathologie en particulier !

D'autre part, le soutien d'un laboratoire, pour certains, jette le doute sur notre crédibilité : il y a souvent une vraie difficulté à réunir des institutionnels et des fonctionnaires pour partager et faire aboutir les résultats, les observations et les propositions.

Et maintenant...

Même s'il est difficile de faire aboutir une thématique globale sur le sujet choisi lors de cette enquête, les **données obtenues sont réutilisables et intégrables dans nos plaidoyers généraux.**

Nous continuons donc à chercher à objectiver nos problématiques. Avec une préférence, chaque fois que c'est possible, pour un soutien multi partenaires, soutien indispensable car nous sommes une association à très petit budget.

Ainsi, une étude sur le reste à charge est en cours. Parmi nos projets, nous travaillons sur une enquête médico-sociale auprès des jeunes.

Notre espoir : que **l'innovation thérapeutique tellement active actuellement, contribue à modifier l'image sociale de notre pathologie et l'écoute des pouvoirs publics.** ■

LE RECUEIL DES DONNÉES PATIENTS

Anne Buisson

Directrice adjointe de l'association française Aupetit Crohn RCH France

Après avoir entendu l'association France Psoriasis, nous pouvons également transposer les problématiques dans la maladie de Crohn et la recto-colite hémorragique.

Mon intervention se veut informelle et expérientielle autour de deux pathologies dont s'occupe l'association à laquelle j'appartiens, l'Afa Crohn RCH France, qui sont des maladies relativement fréquentes en France, en Europe et maintenant dans de nombreux pays émergents. En France, il y a 250 000 malades, ce sont des jeunes malades qui sont diagnostiqués entre 15 et 25 ans ainsi que de plus en plus d'enfants, c'est une véritable épidémie avec des projections en 2028 qui sont assez importantes.

Ce sont des maladies qui impactent le quotidien de façon majeure, puisque ce sont des maladies digestives inflammatoires qui créent des lésions sur le tube digestif, qui grignotent littéralement l'intestin et qui créent des diar-

rhées impérieuses plusieurs fois par jour, des douleurs abdominales, un amaigrissement et beaucoup de fatigue. Pour une personne jeune qui débute sa maladie, cela peut être un bouleversement considérable au quotidien.

Mon background à moi est essentiellement associatif. J'ai commencé à la fin des années 90 à modérer des forums de patients sur internet, des forums de malades de Crohn et de recto-colite hémorragique. Je me suis aperçue à quel point ces malades avaient besoin de parler entre eux de leur vécu quotidien, d'être en autosupport en véhiculant des connaissances tout à fait particulières de la maladie et de la vie avec la maladie. Ces récits sont des données expérientielles très riches qu'une association peut recueillir, des données que personne d'autre hormis les malades et les proches ne détiennent et qui peuvent être utiles à l'amélioration des connaissances et de la prise en charge. Ces données nous les recueillons également par le biais d'entretiens téléphoniques, par mail, en face à face, lors de rencontres ou encore dans des discussions.

C'est notre mission d'association de faire entendre et comprendre ces paroles de patients et d'objectiver ces données. Il faut pouvoir faire confiance aux patients et apporter ses connaissances dans les évaluations de soins comme dans les évaluations scientifiques. L'enjeu étant de trouver quelles méthodologies utiliser pour le faire.

En tant qu'association, nous avons plusieurs travaux pour objectiver ces données.

Tout d'abord, notre premier travail est de pouvoir utiliser et analyser les données disponibles (comme les récits des patients), et le second de pouvoir en générer avec des questionnaires dont les objectifs sont souvent liés à ce que vivent les patients : l'impact de la maladie sur la vie professionnelle ; le vécu de son parcours de soins, l'utilisation des thérapies complémentaires etc.

Dans le cas du questionnaire, l'objectif implique que nous souhaitons répondre à une question dont on connaît une partie de la réponse. C'est pourquoi nous travaillons également à faire remonter sans *a priori*, à travers les récits disponibles des patients sur nos forums, des données peut-être inédites *via* un algorithme construit en collaboration avec un data scientist. Cette expérience permet de comprendre à quel point l'utilisation des réseaux sociaux et l'écoute des discussions des patients entre eux peuvent accélérer des phénomènes. En effet, dans les années 2000, les patients parlaient beaucoup d'un traitement qui faisait perdre les cheveux. Cet effet secondaire

n'était pas forcément répertorié et n'avait pas de solution. J'ai dû attendre 10 ans avant de pouvoir entendre dans un congrès médical un dermatologue parler de ce problème et expliquer que l'on pouvait résoudre ce problème très facilement avec certains produits. On a ainsi perdu 10 ans.

Autre chose pour expliquer l'intérêt d'impliquer les données des patients. Nous avons eu un travail récent sur les indicateurs vu par les patients dans les certifications des établissements de soins. Aujourd'hui, les professionnels de santé certifient les établissements de soins en posant des questions aux malades sur les satisfactions hôtelières. Cependant, en demandant aux patients : « quelles sont les indicateurs les plus importants selon vous ? », ils nous ont répondu : « lorsque j'ai une problématique, je veux que l'établissement de soins réagisse tout de suite et je veux avoir un rendez-vous dans la demi-journée qui suit ». Nous voyons bien qu'intégrer cette vision des patients a des conséquences organisationnelles importantes. Pourtant, tant qu'on n'aura pas des indicateurs vus par les patients, on ne changera pas le modèle.

Si on essaye de donner un droit de regard aux patients qui ait un impact dans les évaluations tout en sachant que l'on fait craquer un modèle basé uniquement sur quelques acteurs qui ne sont pas les utilisateurs finaux du système, c'est pourquoi c'est si lent de le faire. Il va pourtant falloir penser et construire autrement. ■

LES PREMS OU LE « RETOUR D'EXPÉRIENCE D'UN IMPATIENT »

Bruno Detournay

Directeur associé du CEMKA

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :

http://www.ces-asso.org/sites/default/les/bd_intervention_matinee_prom_prem_cemka-avril_2019-v3.pdf

La prise en compte de l'expérience patient dans les décisions en santé est un sujet d'interrogation récurrent depuis de nombreuses années. Si l'on peut observer quelques avancées, les applications pratiques restent limitées et on peut craindre qu'il ne faille attendre encore longtemps pour voir ces approches inscrites comme des éléments à considérer systématiquement dans les études d'intervention par exemple.

Les PREMs (*Patient-reported experience measures*) s'intéressent à la manière dont le patient vit l'expérience des soins. Pendant longtemps, on les a résumés à la mesure de la satisfaction. La vision actuelle des PREMs s'est élargie pour englober tous les aspects relatifs à la manière dont le patient vit le processus de soins. Elles mesurent ainsi le vécu subjectif des patients (l'attention portée à ses symptômes, le sentiment d'avoir reçu les explications nécessaires, etc...) et objectif (les difficultés pratiques rencontrées, les délais d'attente, etc...) mais aussi leur

perception des relations établies avec les prestataires de soins.

De nombreuses définitions des PREMs peuvent être identifiées dans la littérature. Celle qui est reprise le plus fréquemment est sans doute celle du Beryl Institute qui définit les PREMs comme l'ensemble des interactions inscrites dans le cadre d'une culture particulière qui peuvent influencer la perception des patients tout au long de leur parcours de soins.

En pratique, les mesures de l'expérience patient s'inscrivent aujourd'hui, en France, dans trois champs d'application très inégaux :

L'expérience patient s'inscrit comme une composante naturelle de la relation entre le patient et le prestataire de soins. A ce niveau « micro » l'expérience patient est une des composantes de la prise de décision partagée. Sa

prise en compte suppose que le professionnel fasse l'effort de la recueillir, sinon de la mesurer, et dépasse une attitude de « sachant » trop souvent observée. Le professionnel a ainsi parfois l'impression qu'il connaît mieux la situation du patient que ce dernier et ne prend pas le temps d'explorer et comprendre le vécu de son interlocuteur. Il y a certainement là un enjeu de formation des professionnels mais également de conditions d'exercice pour mieux intégrer l'expérience patient.

Le principal champ actuel d'utilisation des PREMs se situe probablement aujourd'hui à l'échelle d'un programme, d'un établissement, d'un type de prise en charge. Les tentatives de mesures des PREMs qui sont conduites dans ce cadre visent ici essentiellement à identifier les ressentis des patients et en informer les acteurs de l'intervention ou de l'organisation. L'objectif poursuivi est alors d'identifier les axes d'amélioration à apporter. On peut également rattacher à ce niveau les approches visant à collecter des retours des utilisateurs sur la qualité des établissements ou des prestataires de soins (« rapportage public »). Cette information sur la qualité des soins perçue par les patients devient un des éléments permettant au public de s'orienter dans le système de soins et de choisir les professionnels auxquels s'adresser. Enfin, les PREMs peuvent être utilisées à un niveau politique plus général à des fins de monitoring de la santé publique, d'évaluation des nouvelles technologies ou de dispositifs d'organisation des soins ainsi que d'élément de mesure de la performance des systèmes de santé.

Ce dernier cadre d'utilisation fait l'objet d'un développement international important. Ainsi, l'OCDE cherche à intégrer une prise en compte de l'expérience des patients dans ses statistiques comparatives. Ses travaux préliminaires ont mis en évidence le fait que la plupart des pays font état de mesures de l'expérience patient à un titre ou à un autre mais dans le même temps les thématiques, méthodes et usages sont très différents. Pour résoudre ce problème, l'OCDE a récemment lancé l'initiative PaRIS (*Patient-Reported Indicators Survey*) à la demande des Ministres de la santé de ses pays membres, afin de faciliter les comparaisons internationales des systèmes de santé sur la base de mesures patients homogènes.

La Belgique et la Norvège sont les premiers pays à avoir intégré des résultats de PREMs dans les mécanismes de paiement à la performance afin de promouvoir la qualité des soins. En Belgique, les hôpitaux vont être financés en partie sur une enveloppe variable attribuée selon un système de points. Ce système de points est basé en partie sur des indicateurs à l'échelle de l'hôpital qui sont liés aux pathologies et aux retours formulés par les patients eux-mêmes. Ce dispositif récent introduit donc une véritable forme de paiement à la performance incitatif fondé sur une mesure de l'expérience patient.

Au Royaume-Uni, en France, au Danemark et en République Tchèque, les PREMs sont théoriquement destinés aux autorités de santé dans des buts de régulation ou d'accréditation.

En France, le principal dispositif correspond au recueil e-Satis obligatoire pour les établissements de taille relativement importante. Il s'agit pour les établissements de recueillir des éléments de mesure de la satisfaction des patients hospitalisés pendant plus de 48 heures en MCO. En 2017, 1 101 établissements ont participé, 124 628 patients ont complété entièrement le questionnaire. Le score national de satisfaction a été ainsi estimé à 73,2 sur 100. Les questions qui sont posées sont très formatées et portent essentiellement sur l'accueil, la prise en charge, la chambre, les repas et l'organisation de la sortie. Si ce dispositif constitue une avancée intéressante, les associations de patients considèrent généralement qu'elle doit être poursuivie en élargissant le champ des questions posées à des dimensions relatives à la qualité des soins délivrés, du partage des décisions, etc.

A titre illustratif, on peut également rapporter ici, en complément d'autres interventions de la matinée, différentes mesures de l'expérience patient conduites en France dans le cadre de l'évaluation de programmes institutionnels.

Lors de l'évaluation du deuxième Plan Maladies Rares (2011-2016), une approche qualitative de l'expérience patient/parents a été conduite à partir de l'interrogation de 23 patients/parents dans une approche en grappe. Les médecins hospitaliers de ces patients et différents autres professionnels de santé impliqués dans leur prise en charge ont été interrogés simultanément, en parallèle du patient. Cette étude de taille limitée a néanmoins permis de dégager quelques conclusions assez générales. Si les équipes en charge de ces maladies étaient jugées compétentes et disponibles par les patients, différents problèmes ont été identifiés à cette occasion, pas toujours perçus et compris par les professionnels et les autorités de santé. Parmi les problèmes identifiés on peut citer : les conséquences des cas persistants d'errance diagnostique ; les difficultés liées à la surveillance des signes et symptômes (drépanocytose, PCU) ; le manque de sensibilisation des employeurs ou des établissements scolaires entre autres en ce qui concerne les questions d'aménagement des emplois du temps ; la complexité des démarches administratives ; les difficultés financières pour certaines familles, avec des restes à charge parfois importants, une perte ou diminution du salaire, ou des aménagements coûteux.

Une démarche similaire a été conduite pour l'évaluation des Plans cancer (2004-2014), avec un objectif cette fois limité à l'identification des parcours, à la « visibilité » et au vécu des offres composant ces parcours. L'analyse a cette fois reposé sur 120 entretiens semi-directifs (en face-à-face et par téléphone) qui ont été réalisés autour de 30 patients atteints de 4 types de cancers (sein, poumon, côlon et prostate). Les patients ont été recrutés par 8 établissements hospitaliers volontaires répartis dans 4 régions (Ile-de-France, Languedoc-Roussillon, Limousin, Nord-Pas-de-Calais). Dans cette évaluation, ont été examinés les différents éléments de la prise en charge du patient, du dispositif d'annonce, de l'accompagnement social et professionnel, le plan personnalisé

de soins, le suivi médical, etc. Les résultats ont mis en évidence les éléments qui apparaissent les plus problématiques à savoir l'accompagnement social et professionnel, le plan personnalisé des soins, la concertation pluridisciplinaire, le suivi médical, la surveillance, l'information et l'implication des patients.

Un troisième exemple de prise en compte de l'expérience patient peut être retrouvé dans le cadre de l'évaluation de programme de santé public Paerpa (Parcours de santé des personnes âgées en risque de perte d'autonomie). L'évaluation de ce parcours multi-acteurs, très variable dans son contenu comme dans ses conditions d'application était une gageure. 43 entretiens individuels (face à face ou téléphoniques) avec les personnes âgées et/ ou leurs aidants dont 10 personnes ayant refusé un Plan personnalisé de soins ont été conduits. Les résultats ont montré la faible visibilité de ce programme où nombre de personnes, faisant l'objet d'actions s'inscrivant dans ce dispositif, n'avaient pas conscience du rattachement de ces dernières à un programme. Par ailleurs, les retours d'expérience étaient particulièrement difficile à obtenir (le programme s'adressant en partie à des patients présentant des troubles cognitifs) mais ont néanmoins fait ressortir les problèmes liés à la multiplicité des intervenants à domicile, les difficultés liées à la question du consentement ou du refus et posé plus généralement la question de la représentation des usagers dans les instances de gestion et de coordination du programme.

Ces différents exemples appellent plusieurs commentaires :

- Sur le plan positif, ils traduisent une forme de prise de conscience de la nécessité de prendre en compte l'expérience patient dans les dispositifs d'évaluation interne et externe des actions ou des organisations de soins.
- Pour autant, elles mettent en évidence la faiblesse des approches méthodologiques sur ce thème résultant pour partie de la faiblesse des moyens mis en œuvre pour recueillir l'expérience patient.
- La mesure de l'expérience patient se résume souvent à l'interrogation par questionnaire d'un échantillon de patients ou proches.
- Ces enquêtes à la fois quantitatives et qualitatives comportent souvent des biais de réponse du fait que les seules personnes qui peuvent répondre à ces enquêtes sont celles qui y ont accès mais n'ont pas toujours les capacités socio-culturelles pour comprendre et répondre aux questions posées. Ces dernières sont

souvent élaborées au cas par cas sans validation systématique des questionnaires utilisés.

- Dans le même temps, il apparaît clairement que les patients qui répondent ont parfois des choses à dire qui sont totalement hors du champ de l'enquête. Le moindre espace d'expression libre est l'occasion de faire état de difficultés inattendues, mais aussi de positions contradictoires difficiles à interpréter. Au total, le traitement statistique de ces enquêtes peine à mettre en évidence les points d'intérêt.
- La mesure de l'expérience patient est également conduite à travers des enquêtes fondées sur un contact direct (face-à-face, téléphone, groupes focus, etc.), visant à faire émerger des situations illustratives ponctuelles, sur des populations de petite taille, aux conditions de sélection souvent mal précisées. Ces approches qualitatives ouvertes permettent parfois de faire émerger des points d'intérêt insoupçonnés mais leur caractère plus illustratif que conclusif limite quand même leur possibilité d'interprétation.

Qu'il s'agisse d'évaluer un produit, une organisation, un programme, une politique dans le champ de la santé, la mesure de l'expérience patient reste une démarche complexe.

Dans l'idéal, un travail initial devrait permettre de révéler les dimensions de cette expérience patient qui méritent d'être considérées et il y a là une place probable pour une démarche sociologique veillant à assurer une crédibilité aux interprétations de situations illustratives.

Dans un second temps des enquêtes plus étendues peuvent être envisagées fondées sur les objectifs identifiés lors de la démarche précédente. L'instrument de mesure doit, dans ce cadre, être identifié en amont de l'étude et pas *a posteriori*. Les populations interrogées devront alors être, si possible, représentative et les questionnements délivrés par des approches multi-canaux pour limiter autant que possible les biais. C'est également à ce niveau que peut se situer le recours à d'éventuels groupes témoins.

A ce jour, si tout un chacun s'accorde sur la nécessité de multiplier les mesures de l'expérience patient, un important travail doit encore être mené pour les inscrire dans un cadre méthodologique suffisamment clair pour s'assurer de leur apport dans les prises de décisions. La communauté scientifique se doit donc de se saisir des questions en suspens et répondre aux attentes de patients qui réclament des évolutions depuis bien longtemps. ■

VARIATIONS SUR EQ-5D

Gérard de Pourville
Professeur honoraire, ESSEC santé

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :
http://www.ces-asso.org/sites/default/les/presentation4_avril_2019_gdp.pdf

L'EQ-5D est un système descriptif d'états de santé, avec la version 3 niveaux et 243 états de santé et la version 5 niveaux 3 125 états de santé. On peut utiliser l'EQ-5D sans utiliser les valeurs de préférences. En effet, on peut l'utiliser pour regarder les variations de la qualité de vie, observer celles-ci sur chacun des niveaux des 5 dimensions (mobilité, autonomie, activités courantes, douleurs et gênes, anxiété et dépression) au cours d'une intervention.

L'EQ-ED est également un outil de mesure des préférences déclarées en population générale, sous la forme d'un index (tarif) prenant des valeurs entre + 1 et - 1. La valeur 0 étant attribuée à l'état « Mort » ; une valeur négative reflète alors l'idée que certains états de santé peuvent être considérés comme « pire que la mort ».

Il existe à l'heure actuelle deux systèmes descriptifs, l'un pour lequel il y a trois niveaux de gradation pour chaque dimension (3L), l'autre a été enrichi de deux niveaux (5L).

Je préfère parler de préférences. Il y a beaucoup de discussions théoriques sur le fait que ce n'est pas une mesure de l'utilité et c'est certainement une mesure de préférences déclarées compte tenu des méthodes qu'on utilise. Derrière tout ça, il y a une axiomatique qu'on oublie, qui est celle d'un décideur public qui a l'objectif d'optimiser la quantité de santé produite à l'intérieur de contraintes budgétaires. Il a donc besoin d'un indicateur de quantité de santé produite et d'un indicateur de la valeur accordée par la population. En effet, ce qu'on doit faire c'est améliorer la valeur pour la population de santé produite, et pour cela on a besoin de mesurer ces préférences déclarées en population générale sur un échantillon.

A l'aide d'un sondage, on essaye de déterminer quelles sont les préférences de population générale et non de personnes malades. On est ainsi dans une sorte de pseudo fonctionnement démocratique. C'est la population générale qui doit décider d'un certain nombre de critères d'allocations de ressources et pas forcément les personnes malades. En effet, c'est tout le monde qui doit décider.

On peut critiquer ce cadre axiomatique, mais c'est important de rappeler comment l'outil fonctionne. Donc il ne mesure pas du tout les préférences des patients mais les préférences de la population générale à partir d'un état de santé donné.

Il y a deux débats permanents au sein de la communauté des utilisateurs.

Tout d'abord, il y a un premier débat au sujet de la validité de l'outil descriptif, qui est un instrument générique simplissime, permettant de mesurer des variations d'états de santé, qui sont les "bolt-ons". Ils captent assez bien les variations de l'état de santé quel que soit la pathologie.

Le deuxième débat est autour de la question : Que fait-on avec l'EQ-5D en dehors des études coût-utilité ? Il y a trois types d'utilisation : les références populationnelles, mesurer les inégalités en santé et mesurer la performance des services de santé.

L'EQ-5D permet-il de mesurer des variations d'état de santé pour tous les problèmes de santé ?

Depuis l'existence de l'EQ-ED il y a eu de nombreux travaux qui ont montré que statistiquement (comparaison avec des scores spécifiques) et qualitativement (enquête auprès d'échantillon en population générale), l'EQ-ED -3L « marche » mal. En effet, il ne fonctionne pas du tout pour les capacités cognitives, la capacité de communication, le sentiment de bien-être et d'intégration, les capacités sensorielles : vue, ouïe, perte d'un sens ; les maladies mentales, la multi-comorbidité et par exemple les problèmes de peau (psoriasis).

On est passé du 3L au 5L mais on ne sait pas encore si le 5L va performer mieux que le 3L et pour quelle pathologie. En effet, la plupart des travaux ont porté sur la version avec 3 niveaux.

Le principe général des travaux qui ont été fait autour de l'adaptation du questionnaire de base générique à des situations spécifiques est ce qu'on appelle les "bolt-ons". Le principe est d'ajouter des dimensions spécifiques à la pathologie, en nombre réduit. Cependant pour avoir une structure commune on garde une déclinaison de l'impact de cette dimension spécifique en 3 niveaux quand c'est le 3L et en 5 niveaux quand c'est le 5L. Ensuite, on mène une enquête d'évaluation spécifique en population générale avec ce nouveau questionnaire afin de dériver les valeurs d'utilité spécifique. C'est à cette étape qu'on a un petit problème, car ces valeurs ne sont plus réellement commensurables avec les valeurs d'utilité du modèle de base. Enfin, on essaye de valider la valeur prédictive des scores spécifiques, en la comparant avec d'autres scores spécifiques de la maladie pour voir s'il y a une validité de contenu lié à l'ajout de ces dimensions spécifiques.

Le principal problème avec les "bolt-ons" est celui de la valorisation, c'est-à-dire qu'il y a des "bolt-ons" pour la vision, pour l'audition, pour le QALY... Mais à chaque fois il faut repasser par une étape de valorisation, une étape d'établissement de nouvelles valeurs ce qui fait que les "bolt-ons" qui ont été développés dans d'autres pays sont utilisés dans les études médico-économique mais avec les limites qu'on peut avoir dans ces cas-là.

Le NICE commence à se poser la question d'étendre le ratio coût-efficacité en intégrant l'impact en terme budgétaire. Ils vont au-delà du périmètre strict des services de santé.

Du coup le NICE et la NHS se sont retrouvés confrontés au fait que l'EQ-ED ne mesure peut-être pas bien l'impact sur l'amélioration de la qualité de vie des services sociaux.

Il y a un énorme projet qui a été lancé en 2017, par John Brazier de Sheffield, dont l'objectif est de développer l'outil E-QALY. Ce projet a été financé par EUROQOL, le *Medical Research Council et Collaboration for Leadership in Applied Research and Care*. L'objectif est d'intégrer dans l'outil descriptif des états de santé, la dimension de l'impact des actions des services sociaux. Il y a un questionnaire avec des valeurs d'utilité qui permettent de mesurer l'impact d'interventions en santé et en services sociaux sur la santé physique et mentale et des dimensions plus large de la qualité de vie qui seraient jugées importantes pour les bénéficiaires des services. L'idée c'est de garder le fonctionnement de l'EQ-ED mais en l'élargissant. Ainsi, on conserve les actions sur la santé et on ajoute les dimensions relatives aux interactions sociales relatives aux sentiments, aux émotions, aux sensations et à l'identité de soi-même.

Il y a un gros débat interne sur le potentiel de cannibalisation du questionnaire actuel par le nouveau, plus « englobant ».

Au-delà des études d'efficacité, on peut décrire la qualité de vie liée à la santé à l'aide de EQ-5D en population générale sur un échantillon représentatif, analyser des états de santé déclarés par niveau, analyser des utilités déclarées par niveau et analyser la multivariée des facteurs explicatifs des états de santé. Pour le moment, les publications sont essentiellement autour du EQ-5D-3L.

La Société Française de Dermatologie a effectué une enquête sur un échantillon de 20 000 français adultes représentatifs. Ainsi, on va pouvoir sortir des références sur un échantillon de 20 000 personnes françaises, dans lesquelles on aura un EQ-5D. Donc on aura des normes populationnelles pour la France.

On peut aussi mesurer les inégalités en santé. A partir du moment où on a un outil qui nous permet de mesurer un état de santé, on peut l'associer avec des mesures de CSP, d'handicap social, etc. On peut, ainsi, mesurer des gradients ou des variations de gradients en matière d'inégalité de santé au cours du temps. C'est ce que font les anglais en utilisant des données de panels. En effet, ils ont utilisé des enquêtes santé pour estimer les gradients socio-économiques de santé, avec comme variable dépendante le *General Health Questionnaire*, le questionnaire de santé perçue et l'EQ-5D.

De plus, depuis 2008, le Département de Santé anglais a imposé la mesure en routine de PROM pour tous les patients avant et après une liste d'interventions chirurgicales programmées (réparation de hernie, prothèses de hanche et de genou, sclérose de varices).

Il y a les problèmes de la prise en compte des facteurs de confusion et l'interprétation des différences de performance.

Quelles leçons pour la France ? D'une part, on pourrait inclure l'EQ-5D dans les enquêtes santé. Et de l'autre, on pourrait tester l'EQ-5D pour la mesure de la performance des services. ■