CES

LA LETTRE du COLLÈGE

NOVEMBRE 2016 – NUMÉRO 3

COLLÈGE DES ÉCONOMISTES DE LA SANTÉ

L'INTEGRATION DE LA VOIX DU PATIENT DANS LES DECISIONS EN SANTE

LE MOT DE LA PRÉSIDENTE

Plus de 3 ans après avoir pris la suite de Claude Le Pen à la présidence du Collège, est venu mon tour de signer mon dernier « Mot du président ». En effet, comme je l'ai annoncé tout récemment aux quelques 350 membres du CES, j'ai souhaité passer le relais à la présidence du CES en raison de mes nouvelles fonctions de Rectrice de l'académie de Strasbourg. Je resterai chercheure dans l'âme et auprès de mes doctorants, économiste de la santé et membre de cœur du CES, et je serai heureuse de contribuer à une passation en douceur dans les prochains mois. Des élections auront donc lieu le 2 décembre lors d'une Assemblée générale extraordinaire qui se tiendra en marge des Journées des Économistes de la Santé Français (JESF) à Lyon pour renouveler l'ensemble du CA. Ce sera l'occasion d'un retour sur les réalisations passées et d'un débat sur l'avenir du CES. J'ai souhaité que soit lancée à cette occasion une courte enquête pour recueillir vos avis sur nos missions, notre fonctionnement et nos actions. Ce sera en quelque sorte l'occasion de donner un nouvel élan au CES et de fournir à la future équipe un matériau de réflexion pour définir son projet pour le Collège. Que vous soyez membre ou non du CES, je vous invite vivement à prendre quelques minutes de votre temps précieux pour participer à cette enquête. La sortie de la lettre du CES est désormais associée à la tenue des Matinées thématiques du Collège. Emblématique de ce qu'est le Collège, cette lettre illustre les débats des rencontres entre communauté académique et acteurs du système de santé que nous organisons. Ces Matinées thématiques ont incontestablement été un succès des 3 années passées. Pourtant il faudra réfléchir à l'avenir de ces rencontres qui peuvent sans aucun doute trouver un écho plus grand auprès des décideurs, pour autant que des chercheurs orientent leurs travaux pour répondre aux défis rencontrés au sein de notre système de santé, comme nous l'avons fait dans le passé : devenir de la pharmacie d'officine, place de la voix du patient, maisons médicales et structures pluriprofessionnelles, soins dentaires, évaluation des innovations technologiques... Aujourd'hui, avec les 10èmes matinées, sur le thème « Acteurs locaux et politiques de santé », nous aborderons l'une des questions essentielles des politiques publiques : affronter des inégalités territoriales croissantes tout en répondant à l'exigence d'une meilleure efficience globale du système de santé. Les débats promettent d'être passionnants.

L'équipe sortante et les deux CA que j'ai eu l'honneur et le plaisir de présider pendant ces trois dernières années peuvent tirer beaucoup de fierté des réalisations et actions menées. Le Collège a poursuivi chaque année la mise en œuvre de formations auxquelles ont contribué nombre d'entre nous, auprès d'institutions demandeuses de cette expertise collective, ce qui a permis au Collège de répondre à cette demande, sans faire concurrence à ses propres membres. Au-delà des matinées, nous avons collectivement développé l'aura des JESF qui réunissent chaque année de plus en plus de chercheurs – près de 150 désormais -, jeunes et séniors, sur des thématiques renouvelées, faisant place largement à l'ensemble des champs de l'économie de la santé. Je souhaite aujourd'hui remercier chaleureusement les membres du comité scientifique des JESF et sa présidente Carine Franc qui en a animé les travaux avec rigueur et dynamisme, permettant que soient publiés tous les deux ans une sélection des travaux présentés aux JESF dans une grande revue généraliste. Le CES est aussi désormais très impliqué dans l'association européenne d'économie de la santé, l'EuHEA. Nous avons accueilli le séminaire des doctorants en 2015 à Paris, participé au colloque de l'ECHE en juillet 2016, et présenté la candidature de Lise Rochaix, qui conformément aux statuts de l'EuHEA en sera la prochaine présidente en 2017.

Présider le CES a toujours été à mes yeux une aventure collective et collégiale et je dois beaucoup à l'ensemble des membres du Conseil d'administration du CES que je souhaite chaleureusement remercier pour leur engagement et leur confiance. Je dois beaucoup aux secrétaires généraux qui se sont succédés pendant cette période, Thomas Barnay, Laurie Brebant, puis Frédéric Bonnemaison et Anne-Laure Soilly qui le seconde depuis septembre dernier. Sans eux, rien ne serait possible ! Le CES a bénéficié ces dernières années d'un hébergement au CERMES (qu'il en soit remercié), il est désormais accueilli au sein du CESP à Villejuif. Merci à Carine Franc d'avoir obtenu ce nouvel accueil dans des conditions tout-à-fait satisfaisantes. Et bien d'autres ont contribué à l'action du CES, je pense bien sûr à Hospinomics, à la Chaire Santé et au LEGOS envers qui le Collège est redevable pour le soutien et l'organisation de manifestations qui se sont souvent tenues à l'université de Paris Dauphine.

Enfin le Collège doit beaucoup à l'engagement de ses membres institutionnels, ses partenaires professionnels. Qu'ils trouvent ici mes remerciements au nom de tous !

Sophie BÉJEAN
Présidente du Collège des Economistes de la Santé

ÉDITORIAL : L'intégration de la voix du patient dans les décisions de santé

Nora MOUMJID
MCU-HDR, Université Lyon 1, HESPER EA 7425, Centre Léon Bérard

Lise Rochaix, Pierre Levy, Frédéric Bonnemaison et moi-même avons eu le plaisir d'organiser en juin dernier, une matinée thématique consacrée à l'intégration de la voix du patient dans les décisions de santé. Patient, consommateur de soins, usager du système de santé, client, personne malade, les dénominations sont nombreuses, variant selon la nature de la demande sous-jacente et selon les disci-

plines. Prendre en compte sa voix, ses besoins, ses souhaits, ses valeurs, ses préférences non seulement, dans le cadre de la relation qui le lie au professionnel de santé, mais aussi niveau du système de santé, concernant les décisions qui concernent sa santé, est une question qui se pose encore dans notre système, comme au niveau international, malgré les avancées dans le domaine. Celles-ci, dans notre pays, sont complémentaires bien que de diverses natures : (i) juridique, en ce qu'il s'agit de reconnaître les droits des malades notamment par l'application de la Loi du 4 mars 2002 consacrant la démocratie sanitaire sachant que la plupart des principes de cette loi résultent d'une synthèse de la jurisprudence antérieure, (ii) organisationnelle, en ce qu'il s'agit d'accompagner le patient dans sa prise en charge en fluidifiant son parcours entre son domicile, la ville et l'hôpital, l'incitant à plus d'autonomie notamment à son domicile via une coopération inter-professionnelle intensifiée, (iii) médicale, en ce qu'il s'agit dans la pratique quotidienne, de reconnaître et respecter l'autonomie du patient même si celle-ci est historiquement constitutive de l'éthique médicale, il s'agit désormais de former les professionnels de santé, et en premier lieu les médecins, à la communication en santé afin de permettre au patient d'être en position de participation à la décision, (v) économique, en ce qu'il s'agit de responsabiliser le patient, pas uniquement de façon financière, même si la contrainte économique forte tend souvent à imposer cette option au risque d'une rupture de l'impératif d'équité, mais plus fondamentalement en l'informant et en améliorant sa participation aux décisions, s'il le souhaite. Notre discipline, a aujourd'hui dépassé le cadre de l'agence, pour analyser le positionnement des individus à travers la révélation de leurs préférences, utilisant pour cela les méthodes de l'analyse conjointe et de l'évaluation contingente, parfois intégrées dans des outils d'aide à la décision sous forme d'applications santé. Les domaines étudiés concernent tout autant, la prévention avec des questions centrales telles que les préférences des femmes pour le dépistage du cancer du sein, et de la population pour la vaccination, pour ne citer qu'elles, les traitements en soins primaires comme en soins aigus et enfin, les prises en charge globales comme la question de la préférence pour un lieu de prise en charge.

Ce changement de paradigme qui est appelé du pied depuis plusieurs décennies par les patients, constitue en outre un changement culturel pour les professionnels de santé qui sont de plus en plus nombreux à constater et reconnaître que le patient n'est pas un profane, réclamant un pouvoir décisionnel paternaliste, mais qu'il est au contraire de plus en plus informé, qu'il bénéfice d'un savoir expérientiel, voire expert, lorsque sa maladie est chronique, et qu'il est acteur de sa santé et actif pour elle. Il convient alors, non seulement d'entendre sa voix, mais de l'écouter attentivement afin de cheminer vers un réel partenariat aboutissant à des décisions basées sur un accord commun, respectueux des préférences des patients comme des professionnels de santé. Les modalités de ce partenariat constituent un champ de recherche pour les chercheurs en sciences sociales dont les économistes, étudié au niveau individuel en s'opposant de fait au principe de non souveraineté du consommateur de soins, et au niveau collectif, concernant plus particulièrement les décisions de prix et de remboursement. Les deux tables rondes ont focalisé leur attention sur ces deux niveaux et ont souligné les conséquences clés de cette « nouvelle » posture du patient dans un système de santé repensé.

Nora MOUMJID

Les articles qui suivent sont les retranscriptions, revues par leurs auteurs, des huit interventions de cette conférence qui s'est tenue le 2 juin 2016 à l'Université Paris Dauphine.

VOIX DU PATIENT ET DÉCISION PARTAGÉE : L'EXPÉRIENCE SUISSE

Jacques CORNUZ
Professeur de médecine interne générale médecine de famille à Lausanne.
Directeur de la Policlinique médicale universitaire de Lausanne.

Le partage de la décision, une thématique de plus en plus présente

Le partage de la décision est une thématique de plus en plus présente dans le monde médical. Elle vient du mouvement anglo-saxon *shared decision making*. C'est le processus au cours duquel le patient et le médecin participent à la prise de décision médicale. Cela nécessite une transmission de l'information, un échange à ce sujet, ce qui conduit certains à parler d'*informed shared decision making*.

Ce processus est la suite logique de deux mouvements très forts dans le domaine de la médecine depuis vingt à trente ans. C'est d'une part la suite logique de ce que l'on appelle la médecine basée sur les preuves - ou *evidence-based medicine*, qui est une leçon perpétuelle d'humilité, où la présence d'incertitudes doit être partagée avec le patient. Dans beaucoup de circonstances en effet, les données sont beaucoup moins robustes qu'elles ne laissent imaginer. C'est d'autre part la suite logique

de nombreux travaux d'importance sur la relation médecin-patient, où la prise en compte des préférences, des valeurs du patient, dans le processus décisionnel est indispensable.

Schématiquement, il existe trois modèles en médecine : le modèle « paternaliste » : c'est le médecin qui sait, c'est lui qui décide ; le modèle « information », qui a une forte tendance : c'est le patient qui prend un ou des avis médicaux et qui décide ; le « partage de la décision », où c'est, comme évoqué ci-dessus, la rencontre de deux expertises.
Le processus de la prise de décision est celui de la rencontre de deux expertises : l'expertise scientifique et médicale du médecin, et l'expertise des valeurs, des préférences du patient. Ce sont donc deux experts qui se rencontrent pour décider d'une situation clinique emblématique. L'objectif étant de faciliter la délibération, donner du temps, faire preuve d'empathie pour que les choses se passent de la meilleure manière possible.

Le partage de la décision comporte six étapes (tableau). La première et la plus importante, est d'inviter le patient à participer. En effet, si certains patients demandent à ce que le médecin adopte une attitude paternaliste, dans la mesure où ce dernier est détenteur de « toute la connaissance », la grande majorité des patients souhaite aujourd'hui, être active dans la prise de décision.
A cette fin, le médecin doit présenter au patient un ensemble d'options, en utilisant des aides décisionnelles. Il se doit donc d'acquérir des compétences– ou *skills*, dans l'usage d'aides décisionnelles. Prenons un exemple : Un diagnostic cardiologique vient d'être posé. Le partage de la décision repose alors sur le décisionnel, *i.e.* sur un ensemble d'informations spécifiques, en particulier celles des bénéfices et des risques (de tel traitement, de telle intervention) fournies par le médecin. Les préférences du patient doivent être mises en exergue. C'est le cœur même du processus.
Cependant, ceci n'est pas reproduit pour toutes les situations cliniques. Nous nous attarderons sur deux situations cliniques emblématiques.

Tableau : les étapes du partage de la décision

1	Inviter le patient à participer au processus décisionnel
2	Présenter les différentes options (diagnostic et traitement)
3	Fournir des informations neutres sur les bénéfices et les risques des options
4	Proposer une ou des aides décisionnels
5	Mettre en exergue les préférences et les valeurs du patient
6	Faciliter la réflexion et la prise de décision

D'un point de vue contextuel, pourquoi s'intéresser à cette thématique du partage de la décision ?

Il en va tout d'abord de la crédibilité professionnelle en tant que médecin, qui ne peut plus ignorer les limites de certaines interventions thérapeutiques ou diagnostiques.
Ensuite, le fait que le modèle s'est aujourd'hui répandu. S'il est d'origine anglo-saxonne, on constate toutefois encore un gradient en Europe entre le Nord et le Sud, plus précisément entre les pays anglo-saxons et germaniques d'une part, et les pays latins d'autre part.
Cette thématique s'intègre également dans l'un des trois piliers de l'éthique médicale, à savoir le principe d'autonomie.
Enfin, le partage de la décision adresse la fameuse asymétrie d'information, particulièrement très forte dans le domaine de la santé.
Les médecins sont en effet amenés aujourd'hui à parler de manière très ouverte et à informer de manière neutre le patient.
Une formule sur le rôle du médecin empruntée à France Légaré, médecin de famille au Québec et une des pionnières du partage de la décision, résume bien cette évolution : « *le médecin, après avoir été un courtier des connaissances, pourrait être proposé comme un courtier des connaissances et des décisions* ».

A Lausanne, nous avons le souci d'inclure nos patients dans le processus décisionnel. Nous comptabilisons, à la policlinique de Lausanne, avec les urgences, des cabinets de médecins de famille et nos autres activités, environ 240 000 contacts patients par année. Je peux vous parler d'une enquête, répétée tous les cinq à six ans, dans laquelle nous avions posé la question suivante à un échantillonnage de nos patients, en 2009 : « *Auriez-vous souhaité être plus impliqué dans les décisions concernant vos traitements ou les décisions de santé ?* » A notre grande surprise, la quasi moitié de ces patients a répondu « oui » ou « plutôt oui », alors que nous faisions déjà d'importants efforts. Ce désir n'est cependant pas universel, nous avons des patients qui, comme je l'ai déjà dit, souhaitent une attitude paternaliste. Ce sont souvent des personnes âgées qui disent souvent « *Docteur, c'est vous qui savez* ». Mais le désir d'information est quasi universel. Une formule intéressante de nos collègues britanniques est : « *la plupart des patients veulent voir la carte routière, avec la carte alternative, même si ce n'est pas eux qui veulent prendre le volant* ». Et je pense que c'est une bonne manière de synthétiser la position actuelle dans nos pays occidentaux.

Deux situations cliniques emblématiques

Si toutes les situations médicales ne nécessitent pas de faire du partage de la décision, de prendre une aide décisionnelle, par exemple lors d'une rage de

dent à traiter, traitée transitoirement par des anti-douleurs avant l'intervention d'un chirurgien-dentiste, ou d'une pneumonie qui peut être traitée aux antibiotiques pendant dix ou douze jours, nous voyons deux situations cliniques emblématiques à mes yeux pour le partage de la décision. Ce sont deux situations où les préférences et les valeurs du patient sont importantes à prendre en considération : le traitement au long cours d'une maladie chronique et le dépistage.
Dans le premier cas de figure, on pense au traitement anticoagulant, qui certes diminue le risque d'attaque cérébrale (parfois de manière modeste) mais qui comporte des effets secondaires potentiellement très graves, voire létaux (hémorragie cérébrale)
La deuxième situation fait référence aux dépistages

Rappelons que le patient est, par définition, asymptomatique. Il n'a pas encore de symptômes. Il est donc, pour la maladie en question, en bonne santé. Les situations de dépistage sont donc des situations à très haute densité éthique dans la mesure où le patient n'a pas de plainte.
Il faut savoir que l'on a également actuellement des tests de dépistage (examens de radiologie, tests sanguins) qui n'ont pas fait l'objet d'une évaluation scientifique complète de leur impact, contrairement à un nouveau médicament. L'exigence, pour les dépistages, est donc souvent nettement moindre que pour les médicaments. Il faut également s'assurer que l'on a affaire à un dépistage efficace, c'est-à-dire que le diagnostic posé grâce au dépistage apporte un réel impact sur le pronostic du patient Parfois, le corps médical dispose même de données contradictoires : une étude montre un tel impact et une autre révèle que l'on ne fait que mettre une étiquette au patient (« vous avez un cancer ») sans que cela change son pronostic. C'est notamment le cas pour le dépistage du cancer de la prostate pour le dosage du *PSA*, cet antigène qui peut être dosé dans le sang.
C'est donc très important d'impliquer le patient dans ce genre de situation.

A Lausanne, nous sommes fortement impliqués dans un programme public de dépistage du cancer colorectal ; de tels programmes existent aussi dans plusieurs régions de France, notamment en Bourgogne. Nous avons lancé le processus dans le canton de Vaud en offrant la possibilité aux citoyens/yennes de décider entre la recherche de sang occulte dans les selles et la coloscopie. Nous utilisons une aide décisionnelle en fournissant des informations pratiques et en informant de la modification du risque de mourir d'un tel cancer avec ou sans dépistage ; pour cela nous recourons à la notion de risque absolu : sur cent personnes qui n'ont pas de dépistage, deux vont décéder d'un cancer du côlon dans les dix ans. Sur cent personnes qui font un dépistage, nous aurons une personne qui ne va pas décéder grâce à ce dépistage du cancer colorectal. On constate que l'effet n'est pas spectaculaire !
Les risques absolus sont des éléments décisionnels clairement recommandés et toute aide décisionnelle (brochure, site web, vidéos,…) devrait y recourir. Par ailleurs, et les données scientifiques sont claires : ces aides décisionnelles n'augmentent pas l'anxiété du patient, mais au contraire fait diminuer son conflit décisionnel. Cela permet d'améliorer donc la prise en charge du patient.

Cette modification du risque absolu doit cependant être expliquée de manière simple, par exemple par graphique imagé.
Beaucoup de questions se posent, notamment : Est-ce que les patients peuvent apprécier, comprendre les risques liés à certaines situations ? A mes yeux, oui, même si ce n'est pas la panacée. On peut partir du principe qu'il y a une part de rationalité.
Les médecins font parfois de la résistance pour aborder ce genre de choses. Est-ce qu'on a suffisamment de temps pour aborder ceci dans notre pratique ? On dit beaucoup de choses en quelques minutes, c'est toujours frappant. Mais il reste une marge pour collaborer avec d'autres professionnels de la santé. Et puis, parfois, c'est une leçon d'humilité. Ceci dévoile notre mal-connaissance de certaines situations cliniques, de certaines interventions. Certains médecins n'osent pas afficher l'inconnu de la science. Parce qu'ils perdraient un peu de leur crédibilité ? Peut-être. Or, c'est notre rôle d'assumer qu'on ne sait pas tout, qu'il y a encore des incertitudes dans la pratique médicale.

Jacques CORNUZ

L'INTÉGRATION DU PATIENT DANS LA DÉCISION : L'EXPÉRIENCE DE TERRAIN, LE CAS DES CANCERS

Giovana MARSICO
Responsable de la plateforme Cancer Contribution

L'histoire de la médecine ainsi que celle des êtres humains ont traditionnellement identifié la maladie comme un accident de vie. Depuis toujours, quand la maladie prend place, la vie réduit son champ, l'individu "tombe" malade, il perd la maîtrise de son temps et confie le rôle de guide au « sachant », celui qui prend la relève et qui décide pour lui.

Depuis une quarantaine d'années, les progrès scientifiques, sociaux et technologiques ont révolutionné le positionnement de la personne vis-à-vis de son expérience de patient: d'objet de la prise en

charge, le patient contemporain vise de plus en plus à réduire l'impact de la maladie sur sa vie et à préserver l'autonomie de ses choix et de son parcours.

L'expérience de cette évolution apparaît clairement dans le domaine du cancer: la cancérologie est souvent vue comme un modèle dans la prise en charge - bien que les patients se sentent parfois frustrés par cette définition.

En France, trois plans nationaux successifs ont permis la structuration de la recherche, l'organisation des parcours et l'évolution dans les technologies de dépistage. Parallèlement à une réduction de la mortalité dans beaucoup de spécialités, on assiste à une complexification de la prise en charge. Les choix thérapeutiques deviennent de plus en plus nombreux, les techniques se personnalisent, les professionnels de santé développent des pratiques de partage dans les décisions.

A partir de 2003, avec le lancement du premier Plan national contre le cancer, la mise en place des réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) permet aux professionnels d'intégrer l'avis des pairs et de décliner les parcours selon une vision transversale de la prise en charge.

Toutefois, ce n'est que depuis peu que les préférences des patients sont devenues objets d'attention auprès du monde médical: le premier état des lieux sur la décision médicale partagée, produit par la Haute Autorité de Santé, ne remonte qu'à l'année 2013[1].

Les maladies chroniques et les maladies graves comme le cancer sont des maladies avec lesquelles on doit « faire avec », dans le présent. On doit faire le deuil de guérir, souvent. Une « chronicisation » s'installe, dans laquelle le patient porte ses valeurs, ses attentes, ses limites : il est nécessaire de les prendre en compte pour offrir des soins en adéquation avec sa vie.

Un cas exemplaire est celui du cancer du sein métastatique: autrefois, un diagnostic de cancer du sein métastatique décrétait le décès dans l'espace de quelques mois. Aujourd'hui, ces femmes vivent des années avec un cancer chronicisé, accompagnées de traitements lourds ayant des impacts sur leur vie. Leur présent change. Leur vie se révolutionne, tel un voyage qu'elles n'ont pas choisi. Elles entreprennent ce voyage démunies des outils, confiées aux décisions des professionnels de santé. Petit à petit, toutefois, elles apprennent à connaître la maladie, les traitements, leurs effets. Et elles apprennent aussi à exprimer leurs préférences. Elles sont souvent responsabilisées quant à l'observance des traitements proposés, des limitations à respecter. Un échange sincère et une écoute attentive de la part des professionnels deviennent incontournables pour que le parcours soit mené comme un travail d'équipe. Mais tout d'abord, il est essentiel que la personne malade soit en condition d'adhérer à son parcours suite à un choix libre et éclairé.

Si beaucoup de patients sont encore réticents à l'idée de participer à la décision, il faut tout d'abord se demander quel type d'information leur a été fournie pour pouvoir les mettre en condition d'adhérer ou pas à la décision. Quand un patient arrive face à un professionnel ou à une équipe, et n'a aucun outil, aucune information, il est clairement dépassé, complètement désorienté et très souvent renvoie la décision au professionnel.

Tout l'enjeu, soutenu par plusieurs associations de patients et des représentants de patients, est justement de donner la possibilité aux patients de choisir s'ils souhaitent intervenir dans la décision ou pas.

Dans le premier cas, tous les éléments doivent lui être fournis pour que cette décision soit conforme à ses attentes et que grâce à celle-ci, il puisse préserver la qualité de vie, le parcours de vie qui a été complètement bousculé par l'arrivée en maladie. Cette prise en compte des préférences du patient contribue à réduire le delta entre la vie que la personne aurait eue sans la maladie et la vie qu'elle se trouve à devoir mener à cause de celle-ci, à cause des traitements. Impliquer le patient dans les décisions qui le concernent permet d'adapter cette différence de qualité de vie (ou d'attente de vie, d'espérance de vie) pour pouvoir faire rapprocher le patient à la vie qu'il aurait voulu, et à laquelle il a dû renoncer à cause de l'entrée en maladie.

Dans la situation de la cancérologie, les décisions sont plusieurs. On a tendance à penser que la principale est celle de l'entrée en maladie, donc la décision du choix thérapeutique et de la stratégie thérapeutique. Or le cancer, ou les cancers, sont des maladies très intelligentes, qui nécessitent une réorientation systématique du parcours, en permanence. En d'autres termes, il est possible de commencer avec une décision de chirurgie, puis introduire une radiothérapie, et après réorienter le parcours vers d'autres thérapeutiques (avec un protocole, puis un deuxième...).

Les traitements se personnalisent de plus en plus permettant de réorienter constamment la réponse thérapeutique en fonction des spécificités génétiques et biologiques de la tumeur. C'est ainsi que les décisions ponctuent constamment le parcours de chaque patient.

Mais la prise de décision intervient en amont même du diagnostic: se faire dépister ou non, recevoir un éventuel diagnostic qui oblige à rentrer en maladie sans avoir la certitude que le cancer puisse se

1 "Patient et professionnels de santé : décider ensemble Concept, aides destinées aux patients et impact de la « décision médicale partagée »" HAS / Service Bonnes pratiques professionnelles / octobre 2013.

développer. Et puis l'entrée dans le parcours thérapeutique, les stratégies, les choix successifs jusqu'à arriver, finalement, à la sortie de maladie. Soit la sortie par la guérison, la rémission, soit la sortie parce que les traitements actifs ne sont plus efficaces. Là encore, la culture et la formation des professionnels de santé ne peuvent faire l'économie d'une vision holistique prenant en compte les préférences du patient.
Certains professionnels arrivent, grâce à leur expérience clinique, à développer des méthodologies et des pratiques empiriques qui visent à prendre en compte les besoins, les valeurs des patients. Pour d'autres, ces valeurs et ces préférences sont accessoires, le parcours et le protocole sont la priorité.

Ainsi, l'arrêt des traitements spécifiques est un moment très difficile pour le professionnel qui peut le vivre comme un échec. Les réunions de concertation pluridisciplinaires occupant le seul champs technique, le médecin se trouve obligé de lâcher prise, d'oublier la maladie et de faire les comptes avec la personne, ses attentes. La fracture entre maladie et personne n'est parfois comblée même face à la fin de vie.
Alors, la question principale reste la suivante : « *La maladie est-elle d'abord une expérience de vie ou un parcours thérapeutique et une organisation du système de santé ?* »

La logique de la prise de décision partagée ne fait pas de doute: la valeur principale est l'expérience de vie, et cette vision impose de former les professionnels à écouter la personne malade et de l'aider à prendre les décisions qui lui sont les plus adaptées.

Giovana MARSICO

LES ACTIONS DE LA MUTUALITÉ

Géraldine MERRET
Responsable du Pôle Offre Prévention au sein de la Mutualité Française

Il y a « la voix du patient », mais aussi avant tout la voix du grand-public, et de l'usager de santé. La Mutualité agit depuis plus de trente ans sur la réduction des risques de situations dommageables pour la santé, et sur l'amélioration de la qualité en santé, avec un axe très fort sur les inégalités sociales de santé. Et ces actions s'inscrivent toujours dans une logique de parcours de santé.

Nos métiers, en prévention, consistent à écouter les besoins des personnes qui nous entourent, pour les accompagner dans leurs démarches de changement, quel que soit le niveau de prévention.
On peut se poser la question de l'utilisation de cette voix des usagers dans nos actions de prévention de la Mutualité. La Mutualité construit des services de santé, comme beaucoup d'autres sur le marché aujourd'hui, mais elle écoute aussi ce qu'il se passe sur le terrain. La Mutualité est amenée à développer des outils sur toutes les thématiques, non seulement sur les maladies et notamment les pathologies chroniques, mais elle s'engage aussi sur des questions de remboursement, de prise en charge, d'accompagnement de l'adhérent et de son entourage (gestion de la famille, de son organisation personnelle, de bon bien être au quotidien…) en prenant en compte son entourage, son milieu de vie, son environnement ….

La Mutualité est donc amenée à travailler au plus près des familles sur le terrain. Plus de 7 500 actions sont menées sur le territoire de santé, tous les ans. Le mouvement mutualiste s'appuie sur la voix de ses adhérents et de leur entourage pour proposer et construire des services et des actions au plus près des besoins des usagers et améliorer leur performance. Ce peut être par exemple des actions auprès de jeunes en insertion pour les sensibiliser aux risques de la santé environnementale, pour les amener à modifier leurs pratiques et avoir des outils plus performants pour cette cible.

Nous sommes donc toujours dans une démarche d'accompagnement et d'écoute.
A ce titre, les professionnels de santé et du social qui travaillent sur la plate-forme téléphonique ou sur internet, bien que ce type de services puissent être perçus comme « déshumanisés », sont toujours dans cette logique d'écoute, d'attention, de prise en compte de l'environnement de la personne afin de lui apporter la bonne information et répondre le plus possible à son besoin.
Parmi les professionnels qui travaillent sur cette plate-forme, beaucoup témoignent d'une certaine insuffisance de notre système de santé, de par une aide insuffisante ou inadaptée d'orientation des patients dans le système de santé ; un entourage du patient qui est ignoré dans l'orientation vers un établissement nécessaire ; une insuffisance d'information dans la prescription médicamenteuse, ou non-médicamenteuse d'ailleurs ; un médecin qui n'ose pas parler à son patient des effets secondaires ; etc.

Ce que l'on constate, c'est qu'une écoute active, bienveillante, conjuguée avec une information de qualité, juste complémentaire, exprimée simplement par un professionnel du domaine, aide à diminuer l'inquiétude du patient et de son entourage : Faire mieux comprendre l'intérêt du traitement et s'assurer de l'observance ; conforter le patient dans son rôle d'acteur de santé en utilisant ses ressources disponibles (qui peuvent être

nombreuses) alors que le patient peut se sentir vraiment démuni ; lui rappeler qu'il a ses ressources, et qu'elles sont diverses, et qu'il a notamment celles du médecin traitant…Finalement, que ce soit dans la façon de restituer ou la façon de construire, d'élaborer notre offre de service, nous sommes toujours dans cette écoute du bénéficiaire. Et ce, que l'on soit dans une notion de dépistage complètement primaire, jusqu'à des actions beaucoup plus poussées dans l'accompagnement.

Nous sommes également présents dans l'évaluation. En effet, concevoir des services, les mettre en œuvre, proposer cette information de santé, ces accompagnements, ces coachings à distance, nous sommes nombreux à le faire aujourd'hui sur le marché. Pour autant, il est important pour nous d'évaluer et suivre les services rendus dans une logique d'amélioration du service rendu et d'adapter le besoin aux attentes des usagers.

Nos évaluations sont nombreuses et diverses. Elles visent à suivre la bonne mise en place de l'action et des objectifs fixés en termes de processus et de cible. A-t-on répondu à l'attente et à la cible ? Le niveau de satisfaction ? Avons-nous bien touché notre cible ? Des évaluations sont aussi réalisées pour mesurer les effets immédiats et à moyen terme, de nos actions sur les bénéficiaires. Les évaluations des actions sur la nutrition ou sur le tabac, montrent des changements de comportements, des niveaux de motivation et d'efforts différents selon le sexe, les CSP mais aussi en fonction de l'action et son déroulement.

Nous avons la chance de pouvoir aussi mener des actions dans le temps, avec des ateliers en face-à-face ou des coachings à distance où l'on peut suivre les adhérents, les personnes sur un peu plus de long terme, et de voir si cette conduite de changement, cet engagement dans cette démarche, perdure dans le temps.

Parfois nous essayons d'aller un petit peu plus loin, de mener des évaluations médico-économiques sur certaines actions. C'est le cas par exemple sur des actions d'éducation thérapeutique, d'accès à des soins de premiers recours... Les résultats sont positifs. Le bénéfice porte essentiellement sur les habitudes de vie pour les bénéficiaires (meilleure alimentation, développement de l'activité physique). Pour autant le modèle économique reste fragile. Les coûts des programmes sont souvent élevés et l'efficience sanitaire est modérée dans la courte période de recul disponible.
Nous avons donc été amenés à faire des choix, par exemple en 2007, de ne pas développer des actions d'éducation thérapeutiques en propre mais plutôt de s'appuyer sur les ressources qui existent, ou de construire des outils qui permettent de trouver les lieux d'éducation thérapeutique facilement pour les adhérents des mutuelles.

Nous procédons par étapes, nous essayons d'améliorer, de continuer cette qualité, de généraliser des actions qui partent du terrain, et qui sont en capacité de se développer sur l'ensemble du territoire. Tout ceci en prenant en compte les aspects communautaires ou de territoires de santé, ou d'orientation sanitaire propre à chaque territoire, mais avec un noyau commun qui permet aujourd'hui à une mutuelle de pouvoir proposer cette offre à l'ensemble de ses adhérents sur l'ensemble du territoire. Ainsi dans une logique de recherche d'efficience, nous déployons des actions généralisées qui ont fait leurs preuves, qui ont été évaluées, dont on sait qu'elles ont un intérêt et qui pourront, ensuite, être adaptées aux besoins des adhérents des mutuelles, aux lieux privilégiés pour les toucher (milieu professionnel par exemple) et au territoire sur lequel elles sont développées.

Géraldine MERRET

LE PATIENT DANS SES DÉCISIONS DE SANTÉ

Laurent BORELLA
Directeur santé chez Malakoff-Médéric

Le patient comme sujet :
- il peut être un « assujetti social », par exemple dans un centre de Sécurité sociale primaire ;
- il peut être un « usager » du système de santé – et écouter les paroles des gouvernements successifs considérant les Français comme des usagers du système de santé.

En tous les cas le patient est un individu, c'est-à-dire qu'il pense pour lui. Il a son expérience personnelle. Le patient est expert de sa propre situation. C'est une personne malade qui est potentiellement diminuée, mais qui peut devenir un patient actif, *i.e.* qui peut devenir un patient qui pense, et qui interagit avec son entourage.

Le patient est aussi potentiellement un client. C'est, de plus en plus, un client. Dans un pays dans lequel la Sécurité sociale, les soins, l'organisation sanitaire sont extrêmement réglementés, le patient est aussi un client. L'utilisation du mot « client » donne lieu à débat, d'ailleurs bien présent entre l'hospitalisation publique et l'hospitalisation privée : l'hospitalisation privée considère parfois que les patients sont des clients tandis que l'hospitalisation publique n'utilise pas ce mot (vous ne verrez jamais le mot « client » dans le moindre écrit d'un hôpital public). Cela relève de postures culturelles différentes.

Le patient est aussi un payeur. Non seulement parce qu'il paye des contributions sociales et une cotisation à une complémentaire santé. C'est aussi un payeur parce qu'il paye un reste à charge, potentiellement important, et potentiellement très différent selon les choix qu'il a faits. Ce point est très important.

Sur un champ plus économique : La tendance de l'histoire est de réduire l'asymétrie entre un patient passif et ce qui pourrait être un patient actif ; l'asymétrie entre, *grosso modo*, le système et le patient, *i.e.* le « petit » patient et le « grand » système, à la fois très compétent, très compliqué, très cher. C'est de dire au patient qu'il a la possibilité d'orienter ses choix, ses décisions, en matière de santé.

Les premières décisions d'un patient en matière de santé (de prévention particulièrement), sont prises en l'absence du médecin, et relèvent de son comportement, de ses niveaux de risque qu'il accepte de prendre ou non (en fonction de la façon dont il se comporte en termes de tabagisme, par exemple). Le patient peut peser sur ses choix. A travers ses choix, il peut aussi peser sur le système. En d'autres termes, cela revient à penser que la performance globale du système de santé, au sens large, et de soins de façon plus précise, est profondément dépendante de la façon dont les patients se comportent.

C'est au travers de cette voie que nous, complémentaire santé, développons aujourd'hui des services. Nous nous appuyons sur la capacité du patient à faire des choix, pour proposer des services qui vont faciliter ces choix, en considérant toujours qu'ils sont vertueux. Ces choix vont promouvoir l'innovation, la sélection des meilleurs et donc l'écrémage des moins bons. Parce que tous les hôpitaux ne sont pas de qualité égale, tous les médecins ne sont pas de qualité égale, le patient est expert de sa situation personnelle, et nous sommes là pour essayer de faciliter ses choix. Ceci ne peut être que bénéfique dans la mesure où la médecine a toujours été un peu « réticente » à être régulée par autre chose que par elle-même.
C'est donc le sens de l'histoire, un sens qui est puissamment sollicité à travers l'évolution des technologies de l'information, l'ubérisation des solutions. De fait, les gens sont de plus en plus autonomes à travers des solutions connectées, de l'information que l'on trouve partout sur internet.

Les services proposés au patient pour le rendre plus autonome dans ses choix de santé

Concrètement, face à ces enjeux, que font les complémentaires santé ?

Nous souhaitons : des services qui soient à la fois contributifs à l'intérêt de la personne elle-même, à son bien-être – c'est même la première contribution car le patient est aussi pour nous un client-assuré ; être contributifs à la performance globale du système de santé (toujours en vue de son bien-être) ; et être contributifs à l'économie globale du système et à l'amélioration de son efficience globale. C'est ce que nous gardons en tête lorsque nous proposons des choix.

Qu'est-ce que nous proposons ?

Nous avons plusieurs grands types de propositions, en situation de maladie et en situation de besoin de soins, à savoir des solutions d'information, d'orientation, et des solutions de prévention.
Concernant les solutions d'orientation, nous sommes acteurs en matière de réseaux de soins. Notre mission est de chercher le compromis professionnel pour le tarif le plus faible, notamment quand les reste à charge sont élevés ainsi que le risque du renoncement aux soins. Nous apportons une solution qui vise à favoriser l'accès aux soins, avec une certaine capacité à négocier avec les professionnels de santé, donc à négocier la qualité des pratiques. Nous sommes en effet exigeants sur la qualité des pratiques, pas simplement sur les prix. Nous agissons essentiellement pour le dentaire, l'optique, l'audioprothèse.
Nous travaillons aussi, chez Malakoff-Médéric en tous cas, sur des filières hospitalières, par pathologie. Nous travaillons notamment sur le cancer, par exemple le cancer du sein, et en collaboration avec l'institut Curie à Paris. En tant qu'organisme extérieur à l'hôpital, mais représentant un nombre important de patients, nous avons intéressé l'institut Curie, qui est une institution très en pointe sur le cancer du sein et le centre de référence français en cancer du sein, pour faire un partenariat. Nous allons lui permettre d'avoir plus d'exigences sur sa propre organisation interne, dans la mesure où nous portons l'exigence des patients.
Ce peut être des exigences de durées maximales dans les épisodes de soins intercurrents, par exemple entre la biopsie et la première chirurgie, entre la chirurgie et la chimiothérapie. Ce peut être des exigences portées davantage sur « l'avis du patient », des exigences que, lors de la consultation d'annonce, on ait d'emblée un programme d'accompagnement de la personne sur ses conditions de vie, et notamment ses conditions de travail. Cela permettrait de voir si son schéma thérapeutique est compatible avec le maintien d'une situation de travail, puisque l'on sait qu'en matière de cancérologie les arrêts de travail longs sont fréquents, ils vous dé-sociabilisent, et rendent difficile votre réinsertion ensuite.

Nous essayons de promouvoir toutes ces choses, de les mettre en place sous forme de filière, sous forme de système organisé de parcours patient dans l'hôpital, organisé y-compris entre les différentes unités hospitalières, et avec l'idée de proposer au

patient de choisir, à terme, des établissements dans lesquels les filières seront mises en place, *i.e.* des établissements plus performants.

De notre point de vue, le choix du patient ne se fait pas au niveau médical (cela appartient à l'équipe médicale), mais notre action est de conseiller et de favoriser l'implantation des meilleurs parcours dans les hôpitaux, pour ensuite favoriser le choix, par le patient, des hôpitaux dans lesquels ces parcours ont été implantés. De notre point de vue, ceci favorise l'innovation médicale, notamment en termes de coordination et d'organisation médicales.
Si l'innovation médicale peut se situer sur des techniques, sur des thérapeutiques, sur des médicaments, elle est parfois un peu faible sur la partie organisation pratique, dans les structures hospitalières ou entre la ville et l'hôpital.
Nous allons donc par exemple travailler – toujours en cancérologie, sur la chimiothérapie, l'accompagnement en amont et en aval de l'hospitalisation ou de l'épisode de la chimiothérapie, par des solutions connectées de prise de mesure.
Nous intervenons également en matière d'analyse de devis. L'expérience montre que, lorsque l'on fait cette analyse, le médecin qui se voit éventuellement opposer un « *vos tarifs sont chers* », adapte ses tarifs. Le médecin est parfaitement capable de modifier ses tarifs, dès lors que le patient est informé. Ceci ne relève pas de la négociation, mais c'est une façon de « limiter » les abus en matière de dépassements d'honoraires.

Un autre service important est un service que nous avons mis en place avec le collectif inter associatif sur la santé (le CISS), l'association des associations de patients en France, sur un service qui s'appelle *ComparHospit*. Ce service est un service qui permet de choisir son hôpital (sauf en situation d'urgence). Il permet, en tous cas, de mieux connaître ce que sont les performances des différents hôpitaux. Il s'agit d'un service que l'on offre à nos patients mais aussi à toute la population puisqu'il est accessible à tout le monde. C'est un service qui intègre des avis patients. Les avis ne portent évidemment pas sur la partie médicale du parcours : ils portent sur la partie « hôtelière », la partie information du patient, sur la qualité de la relation entre l'équipe et le patient lui-même. Ces avis ne portent évidemment pas sur les soins eux-mêmes. Ainsi les patients savent si l'hôpital essaye de faire participer le patient, l'informe, ou au contraire a plutôt une attitude, malheureusement, moins ouverte ou moins attentive à ses besoins ou à ceux de sa famille.

Ces services ont potentiellement un impact très puissant sur les hôpitaux et les médecins, puisqu'ils savent qu'ils sont observés, ils savent que les patients peuvent choisir un autre hôpital. De fait, il y a une concurrence entre hôpitaux, c'est la réalité aujourd'hui, mais une concurrence qui est saine, qui va favoriser ceux qui ont le plus travaillé dans l'intérêt de la participation du patient à leur processus de soin.

Un dernier point sur lequel nous agissons : la prévention, en essayant de rendre un patient acteur de sa santé. Aujourd'hui, de plus en plus, la prévention est personnalisée. Les schémas de prévention ont évolué dans les dernières années. Il s'agissait de préventions de type santé publique. Aujourd'hui, nous sommes sur des approches préventives ultra personnalisées. Ce grâce aux outils numériques. Nous avons d'ailleurs mis en place un système pour nos assurés, qui s'appelle *VIGISanté*, qui apprend à vous connaître, vos habitudes, les objectifs que vous vous fixez, qui sont autant que possible raisonnables, et nous vous suivons. En cas d'échec, nous vous proposons autre chose. Il y a donc un côté très pédagogique qui nous vient notamment des pays anglo-saxons (notamment des Etats-Unis et du Canada). Ce système en est à ses débuts, mais nous sommes convaincus qu'il va permettre au patient de devenir très conscient de ses risques – sans non plus lui faire penser que la vie est une succession de risques. Les risques sont vus sous un angle positif et non sous un angle sanction.

Je conclurai simplement en disant qu'il y a un sujet que j'aurais aimé voir abordé dans cette table ronde, mais j'ai vu que ce serait pour une prochaine : c'est la voix du patient citoyen – je n'ai pas cité le mot « citoyen » – dans le système de protection sociale globale et son financement. J'estime qu'en France nous avons une vision politique, technocratique de la chose, et je pense que les patients citoyens, c'est-à-dire informés, par exemple, en faisant des conférences citoyennes comme ça se fait dans certains pays, pourraient très utilement aider les politiques à prendre des décisions difficiles et j'aimerais que la prochaine présidentielle soit l'occasion de rendre au patient citoyen un peu de voix sur ce que devrait être, notamment, le financement du système de santé en France.

Laurent BORELLA

LA LETTRE du COLLÈGE CES

LA VOIX DU PATIENT DANS LE CADRE DES POLITIQUES DU MÉDICAMENT

Christophe DUGUET
Directeur des Affaires Publique de l'AFM-Téléthon et membre de la CEESP

La participation des associations de malades au fonctionnement de l'ensemble du système de santé s'est progressivement développée depuis une quinzaine d'années. L'article 182 de la Loi santé, adopté il y a quelques mois ouvre timidement une place pour les associations sur un sujet dont elles étaient exclues jusqu'à présent : le prix des médicaments. Il prévoit la possibilité que le CEPS puisse conclure des accords avec des associations de malades ayant je cite *« notamment pour objet de favoriser la concertation et les échanges d'informations concernant la fixation, dans le domaine de compétence du comité, des prix et des tarifs des produits de santé remboursables par la solidarité nationale » «L'accord cadre détermine notamment : «Les conditions dans lesquelles les associations agréées (…) sont auditionnées, à leur demande, par le Comité économique des produits de santé, »*

Avoir la possibilité **de s'informer, d'échanger** de débattre et de proposer sur le cadre de politiques de prix du médicament : Voilà une première place demandée par les associations de malades.

Pouvoir être auditionné, c'est-à-dire donner un avis, un éclairage sur le fardeau de la maladie, sur un produit ou la prise en charge d'un problème spécifique de santé : Voilà une seconde place demandée par les associations de malades.

Participer à la décision *sur un produit de santé, voilà une troisième place revendiquée* par les associations de malades. Elle n'a pas encore été retenue au niveau du CEPS qui sur ce point reste encore aujourd'hui très passéiste invoquant un enjeu de secret des affaires. Elle l'est pourtant en amont que ce soit au niveau de l'ANSM, de la HAS ou de l'agence européenne du médicament. Et non seulement personne ne s'est jamais plaint de l'éventuelle divulgation d'un secret mais de plus les bilans tirés de la participation de patients dans toutes ces instances ont toujours été positifs.

Ces trois positionnements relèvent chacun de postures différentes, mais absolument complémentaires. Ils ne peuvent, à mon sens être dissociés les uns des autres. Pourquoi ?

La décision de prix et de remboursement, surtout lorsqu'il s'agit de produits couteux voire très couteux résulte d'un **consentement à payer**. Dans nos sociétés ou les contraintes budgétaires sont aujourd'hui aigues ce consentement doit reposer en très grande partie sur la confiance que la société attribue au processus de décision. Or depuis quelques années cette nécessaire confiance s'est transformée en une défiance croissante de la société. Mon propos n'est pas de savoir si cela est justifié ou non. Ce qui compte c'est le constat. Or l'opacité du système contribue à cette défiance.

L'intégration des patients dans les décisions de prix et de remboursement a tout d'abord pour objectif de contribuer à repasser de la défiance à la confiance. Il ne s'agit pas uniquement d'introduire la voix des patients. Il s'agit d'y introduire aussi les yeux et les oreilles des patients.

Le simple fait pour des experts de devoir travailler devant témoins est déjà en tant que tel porteur d'une fonction régulatrice. La transparence est une des conditions de la confiance. Mais la transparence ne veut pas dire pour autant que le secret qu'il est parfois nécessaire de préserver, les patients ne sont pas en capacité de le respecter.

Mais bien entendu leur voix est tout aussi nécessaire et importante. Il convient cependant de bien différencier les trois différentes postures qui correspondent aux trois positionnements que j'ai évoqués.

Dans le premier cas, c'est-à-dire la participation aux débats et aux orientations des stratégies et politiques, la posture doit bien être celle de porte-parole qui exprime une parole politique collective. Elle peut notamment s'exercer dans les instances de gouvernance. Nous sommes là dans une posture de démocratie sanitaire ou la fonction tribunicienne des patients est essentielle.

Le second positionnement est celui de la co-participation à la décision, par exemple dans les commissions de la HAS (ou de l'ANSM). Il relève d'une posture « d'expert de l'intérêt patients ». Lorsqu'il s'agit d'une prise de décision sur un médicament particulier, il ne s'agit pas d'agir en tant que représentant des patients concernés, de courroie de transmission, mais en tant qu'expert de l'intérêt des patients.

Le représentant des malades doit **alors être comme les autres experts** des commissions qui ne doivent pas non plus être les portes paroles de leur corps d'origine. Il doit être l'avocat de la cause patient, le défenseur de l'équité de traitement, l'apporteur d'éclairages patients. Ces commissions peuvent souvent s'apparenter à des tribunaux où de multiples procureurs et avocats s'affrontent. Le représentant patient est là pour jouer le rôle d'avocat de la perspective patient. Cependant, à la différence d'un tribunal, il n'y a ni juges ni jurés. Ce sont aux avocats des différentes perspectives et aux procureurs de prendre les décisions. C'est ce qui en fait la richesse. La composition de ces commissions est souvent très variée, ce qui est une bonne chose.

Chacun à sa spécialité et celle de l'expert de la perspective patient n'en est qu'une parmi d'autre. Sa particularité est peut-être qu'elle est la plus transversale.

Le troisième positionnement est celui de l'enrichissement, par les représentants des patients directement concernés par une maladie de l'information nécessaire pour prendre une décision cohérente et équitable. Les représentants des patients ont ici une posture comme le formule la HAS, **de partie prenante.** Ils doivent intervenir pour apporter les perspectives des patients qui vivent avec la maladie afin de combler un vide d'informations. Des Informations qui souvent ne peuvent pas correctement être captées par les essais cliniques ou les revues de littérature.

Dans cette situation, les principaux apports au processus d'évaluation peuvent concerner :

- la vie avec la maladie, son fardeau, ses conséquences. La vie avec les traitements déjà existants, les effets secondaires, les contraintes liées aux modalités de dispensation, l'impact sur l'entourage, sur la sexualité etc. Il s'agit de l'expertise d'expérience avec la maladie. Et plus la maladie est rare ou complexe plus cette expertise est précieuse pour éclairer une décision.

- Il s'agit également, lorsque cela est possible de donner un avis sur la vie avec le nouveau traitement.

- Il s'agit enfin de formaliser les attentes et d'identifier les priorités des patients.

Dans le futur des travaux scientifiques, notamment initiés ou conduit par des associations de malades pourront contribuer à améliorer la qualité de la formalisation de cette parole. Ils ne pourront cependant pas la remplacer.

De nombreux pays pratiquent couramment l'insertion de cette perspective patient sur une maladie donnée dans le processus d'évaluation des médicaments. La France est plutôt en retard sur ce sujet.

A la demande des associations de patients qui siègent dans ses instances, La HAS, en s'inspirant de ces expériences étrangères vient de décider d'intégrer l'expression des perspectives patients dans le traitement des dossiers d'évaluation des produits et technologie de santé. Une première phase expérimentale, devrait démarrer à l'automne. Elle est nécessaire pour affiner le process dont j'espère qu'il sera un process apprenant, gagnant pour tous. On ne peut que se réjouir d'une telle avancée.

Il s'agit là d'un nouveau défi tant pour les évaluateurs que pour les associations de malades. Mais des deux côtés, de l'apprentissage sera nécessaire afin de construire un dispositif réellement efficient dans un contexte où les délais sont règlementairement très cadrés.

A ce stade il s'agit de collecter des contributions écrites. J'espère qu'un jour dans certains cas des auditions pourront également être organisées. Pour l'instant ce n'est pas prévu mais c'est déjà un premier pas positif.

Il faudra cependant que très rapidement une solution, pourquoi pas règlementaire, puisse lever ce qui me semble t'il est un vrai obstacle : c'est celui de la confidentialité des données des industriels. Il ne s'agit pas pour les représentants des patients de donner un avis sur le dossier présenté, mais l'accès à certaines des informations qu'ils contiennent peuvent être essentiel pour exprimer une « perspective patient ». Par exemple dans le cas d'une maladie ophtalmique rare et complexe, l'augmentation d'un ou deux dixième de vue cela change quoi dans la vraie vie des patients ? Un avis des représentants des patients concernés sur un nouveau traitement, sans qu'ils aient accès aux données du dossier peut poser un problème de fond.

Enfin pour terminer il me semble important d'insister sur le fait qu'il est inadéquat de ne penser la place des patients qu'au seul moment des décisions de prix et de remboursement des médicaments. Le cycle du médicament commence bien en amont. Il commence dès la conception de l'essai clinique. Et il continue largement au-delà de la décision de prix avec des enjeux de suivi, de pharmaco vigilance mais aussi de révision des prix.

C'est en continuant à intégrer les représentants des malades sur l'ensemble de ce continuum et en les accompagnant pour améliorer leur capacités de contributions que l'on pourra améliorer la pertinence des décisions de prix et de remboursement et durablement entretenir la confiance nécessaire pour conserver un consentement à payer largement solidaire.

Christophe DUGUET

LA LETTRE du CES COLLÈGE

LA PLACE DES PATIENTS DANS LES INSTANCES DE DÉCISION DU CIRCUIT PRIX-REMBOURSEMENT DES MÉDICAMENTS

Frédéric RUPPRECHT
Direction Affaires Publiques-Accès au Marché, SANOFI

La place des patients dans les instances de décision du circuit prix-remboursement, que ce soit en Commission de Transparence, au CESP et puis, dans une certaine mesure, au CEPS, représente une avancée significative et une bonne chose. Et pour autant ce n'est pas nouveau, puisque le CISS revendiquait cela depuis un certain temps, puis aussi parce que des patients sont présents depuis les débuts de la CNEDiMTS.
C'est une bonne chose parce que cela permet notamment d'apporter un point de vue différent de celui des experts médicaux.

Le choix du représentant est cependant essentiel. Ce représentant doit être capable d'avoir une vraie vision du vécu du patient, au-delà des aspects statistiques et méthodologiques qui sont largement couverts par d'autres membres de ces instances. Le représentant des patients doit ainsi apporter des aspects qualité de vie, adhésion au traitement, bon usage, vie au quotidien.

Cela s'avère extrêmement compliqué, parce que toutes les pathologies sont très différentes, et ça l'est d'autant plus que l'on compte un seul représentant (représentant d'une association de patients), face à environ quinze représentants des professions médicales (et méthodologiques !) pour la Commission de la Transparence par exemple.

La question qui se pose alors est de savoir comment ledit représentant de chaque commission fait-il pour avoir cette information sur le vécu des patients. Il faut savoir qu'à chaque commission sont évalués environ vingt à vingt-cinq produits. Comment fait-il pour porter cette voix ?
On pourrait penser que les associations de patients concernées sont contactées en amont de chaque commission. Néanmoins, on peut rester dubitatif sur la réalité de ces pratiques au vu des évaluations récentes portées par les instances en question.

Chez Sanofi, nous avons plusieurs façons de faire les choses. On a ce que l'on appelle traditionnellement les « advisory boards », qui consistent à réunir des experts médicaux et solliciter leur avis sur des produits du portefeuille. Cela va faire environ deux ans que nous sollicitons des associations de patients à venir à ces réunions d'experts. Le représentant de patients spécialiste des pathologies concernées lors de ces « boards » apporte en général un input très important à nos discussions.

Par ailleurs nous avons une politique qui est de faire relire systématiquement nos dossiers de demande de prise en charge par un représentant d'association de patients de la pathologie concernée, ce qui permet également d'améliorer le dossier, de lui donner plus de sens, ce qui fait une grande différence dans la motivation de nos équipes.

Aujourd'hui nous avons trois institutions, quelque part trois éléments-clefs dans le processus de remboursement des médicaments : la CT, la commission de transparence, la CEESP, et le CEPS.

En ce qui concerne la CEESP, elle intègre des patients depuis 2008. En revanche son rôle est significatif dans le processus de remboursement depuis quelques années seulement (2013). La prise en compte réelle de la voix des patients et son impact concret sur la fixation du prix au travers des avis de la CEESP reste cependant compliqué à établir voire impossible, sur la base des avis de la CEESP actuellement publics et pour lesquels la négociation de prix a abouti.
En tout état de cause, les règles actuelles en matière de fixation des prix font que le rôle de la CEESP reste limité et à fortiori celui de la voix des patients au sein de la CEESP. Pourquoi ? Aujourd'hui ce qui est attendu de la CEESP est de savoir si elle a des réserves majeures ou non sur le modèle économique soumis par l'industriel. En effet si de telles réserves sont émises, le droit au prix européen acquis au travers d'une ASMR 1, 2 ou 3 délivré éventuellement par la Commission de la Transparence est caduc. Or ces réserves éventuelles sont purement méthodologiques et ne tiennent pas compte de la « voix des patients ». S'il n'y a pas de réserve majeure alors c'est la règle du prix européen qui joue. Enfin si la Commission de Transparence délivre une ASMR 4 ou 5, les règles de fixation de prix se font globalement indépendamment de l'avis de la CEESP. Au final, en dépit d'avis d'une grande qualité, détaillés, bien faits (que l'on aime leurs conclusions ou pas), le rôle de la CEESP et donc des patients demeure encore limité dans le paysage français. On peut peut-être le regretter ou se dire qu'il ne s'agit en fait que d'une question de temps, la CEESP étant une instance jeune notamment par comparaison à la Commission de la Transparence ou au CEPS.

En ce qui concerne la CT, là il y a plus de choses à discuter car c'est là en réalité que l'essentiel de la prise en charge d'un nouveau produit se joue. Depuis quelques mois, les sténotypies des séances de la Commission de la Transparence sont disponibles (dans un premier temps pour les industriels concernés et ensuite pour tous au fur et à mesure du temps) et cela permet de faire quelques recherches qualitatives pour l'essentiel sur la prise en compte de la voix des patients, par le représentant des patients lui-même ou par d'autres membres de la Commission.

Aujourd'hui, cette analyse rapide a été faite sur les seuls verbatims à notre disposition à savoir ceux des dossiers déposés par Sanofi et il sera intéressant de la refaire avec

l'ensemble des verbatims désormais publiés sur le site de l'HAS. Ainsi sur 5 produits évalués, la qualité de vie des patients n'a été mentionnée qu'une seule fois, le fardeau de la maladie, l'impact social ou l'observance eux n'ont jamais été mentionnés. Plus précisément, j'ai également fait une recherche basique de l'occurrence des termes que l'on peut considérer comme des proxys de la voix des patients, à savoir « qualité de vie », « observance », « confort », « douleur ». Sur 5 avis de 15 pages chacun en moyenne, ces termes sont utilisées respectivement une fois, trois, deux fois et aucune (pour douleur…). En revanche, on discute de savoir si les données cliniques sont transposables en pratique courante et j'ai pu également lire que « les patients devraient savoir qu'il est préférable d'attendre 5 ans avant de prendre un nouveau produit »… les patients qui ont bénéficié des anti-VHC ou anti-PD1 apprécieront.

L'étape suivante dans le raisonnement consiste à se dire que ce n'est pas parce que des éléments clefs dans la prise en compte de la perspective patient ne sont pas mentionnés explicitement dans les débats qu'ils ne sont pas pour autant pris en compte dans l'évaluation finale des produits. Les avis de l'HAS étant publics cette approche m'a permis d'aller au-delà des verbatims pour lesquels chaque laboratoire ne dispose à l'heure actuelle que des verbatims sur ses propres produits. J'ai regardé les produits évalués sur les douze derniers mois (allant au passage en amont de l'entrée des représentants des patients à la Commission de la Transparence). J'ai ainsi cherché à comprendre si par exemple une forme orale était valorisée par rapport à une forme injectable, sachant qu'il semble bien évident que pour les patients il est préférable de prendre un comprimé que de subir une injection, surtout si celle conduit à une hospitalisation. Et bien toutes les formes orales comparées à des formes injectables ont ainsi eu une ASMR 5, dont il faut rappeler que cela veut dire que le produit avec ASMR 5 n'apporte rien…

Après ce premier échec, l'analyse a porté sur l'éventuelle valorisation d'une forme hebdomadaire par rapport à une forme quotidienne. On pourrait en effet imaginer que se faire injecter une fois par semaine est préférable à se faire injecter tous les jours. Là non plus aucune reconnaissance de cette valeur par la Commission de la Transparence.

Je suis ensuite allé faire une approche plus centrée sur une pathologie donnée, à savoir le diabète. Le diabète est une pathologie grave bien entendu et dont la prise en charge est source d'angoisse majeure pour les patients : la peur de l'hypoglycémie, ainsi pour les patients, un produit qui tend à réduire le risque d'hypoglycémies tout en assurant un contrôle adéquat de la dite glycémie sera sans aucun doute privilégié. On notera ainsi que conformément à cette idée, la plus grande partie des produits dans le diabète (et ils sont nombreux) apportent la plus grande attention au risque d'hypoglycémie et on pourrait s'attendre que cela soit valorisé par la Commission de la Transparence traduisant ainsi en termes d'ASMR cette attente des patients. Là encore la seule réduction du risque d'hypoglycémie conduit selon la Commission de la Transparence a une absence d'ASMR, c'est-à-dire aucune reconnaissance d'un bénéfice pourtant très attendu des patients. Afin de ne pas jeter entièrement la pierre à la Commission de la Transparence, on peut se poser la question de l'échelle d'ASMR qui n'ayant que 5 grades ne donne pas nécessairement la place à la valorisation de « bénéfice patients » qui ne serait pas de purs bénéfices cliniques, les dits bénéfices patients étant de surcroît difficiles à définir et à démontrer.

En conclusion, aujourd'hui, et c'est fort dommage, la prise en compte de la voix des patients dans le processus de prise en charge des médicaments est un échec. Ceci est d'autant plus regrettable que les attentes étaient fortes à la suite de l'admission de la représentation des patients au sein des Commissions de l'HAS. Cela étant Rome ne s'est pas construite en un jour.

Pour ce qui est de la CEESP, le sujet consiste à éviter que les avis soient uniquement un guichet où l'on regarde la case « réserve majeure » tout en évitant de tomber dans une seconde case qui serait « impact budgétaire ». Pour la CT, il me semble qu'il importe de revoir la façon dont la voix des patients est représentée en son sein afin que celle-ci soit réellement entendue et transcrite d'une manière ou d'une autre dans les avis.

Frédéric RUPPRECHT

L'IMPORTANCE DE LA VOIX DU PATIENT DANS LE DÉVELOPPEMENT DE TRAITEMENTS DE MALADIES RARES

Anne-Sophie LAPOINTE
Présidente de Vaincre les Maladies Lysosomales et membre du Conseil d'administration d'Eurordis

La place des patients dans la décision de prix et de remboursement relève clairement d'un changement de culture et repose sur l'humilité par l'écoute bienveillante des besoins des personnes malades en matière de santé.

J'ai cette double casquette d'association et de chercheur. Mon univers est celui des maladies rares, avec un contexte très particulier qui est celui d'une grande errance de diagnostic, des difficultés de recrutement... et surtout une information limitée par rapport à ces maladies, par rapport à leur suivi, par rapport à ce que l'on appelle « l'histoire naturelle de la maladie » car il n'existe que très peu de registres et de données.
C'est un contexte important à savoir concernant l'évaluation du médicament. Il existe une dispersion géographique, des financements de recherche insuffisants au regard des six à huit mille maladies rares recensées à ce jour et pour lesquelles il n'existe qu'environ cinq pour cent de traitements. Il y a un réel besoin d'accéder à des thérapeutiques plus nombreuses.

Le mouvement associatif a imprimé une dynamique très forte dans l'amélioration du parcours de vie des malades atteints de maladies rares. Il a beaucoup été porté et aidé dans son éclosion par l'AFM. Nous les remercions pour tout ce travail accompli dans les années 1990 qui a conduit à la création d'Eurordis en 1997. Cette mobilisation très forte des associations a contribué la mise en place du règlement européen sur le médicament orphelin. Cette coordination entre acteurs associatifs a eu également un rôle fondateur pour que la France se dote de deux plans nationaux maladies rares et continue cette dynamique vers un troisième plan maladies rares.

La volonté était là afin d'être ensemble, unis dans le même « bateau » pour faire avancer les politiques de santé. En 2002, il s'agissait de l'ère de la « Démocratie sanitaire », qui a conduit à une démocratie participative avec une ouverture des établissements de santé à des représentations d'usagers portant la parole du patient au cœur du soin. Je tiens beaucoup à parler, aujourd'hui en 2016, de l'importance de la recherche participative. C'est absolument fondamental, car cette nouvelle façon de faire de la recherche est conductrice de qualité dans les données et dans les résultats. Elle améliore le processus du développement de la recherche clinique notamment dans le domaine du médicament.

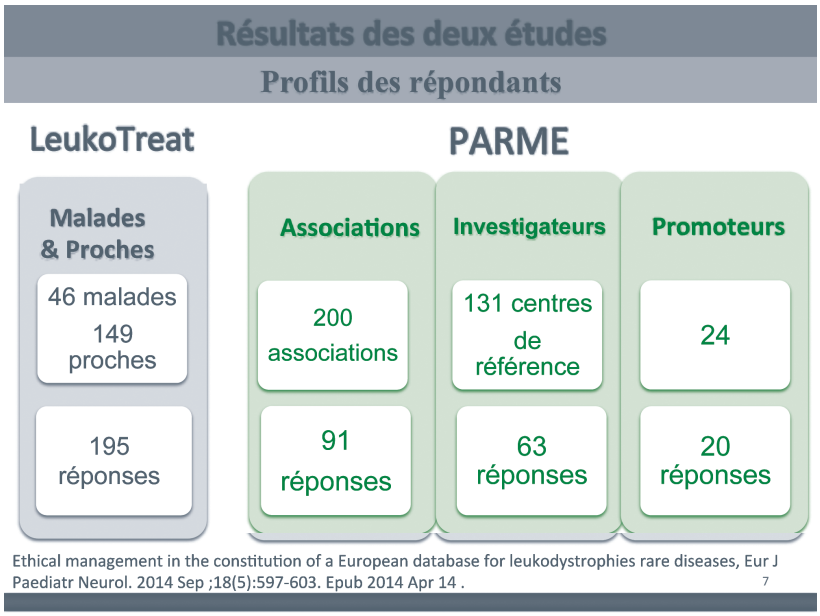
J'ai fait quelques hypothèses de travail qui me paraissent fondamentales. Trois hypothèses :
- Il est important et évident que les protocoles d'essais cliniques doivent être bien construits et adaptés aux malades ;
- Il est également manifeste que les bases de données sont des outils indispensables pour améliorer les connaissances ; et que les patients peuvent participer à leur développement ;
- En dernier lieu, il existe un lien entre les financements, les partenariats et les travaux de recherche. Particulièrement les partenariats public-privé, qui permettent de soutenir le développement du médicament grâce au financement de registres académiques. Il s'agit là d'un champ où, en tant qu'association et patient, on peut intervenir, où il y a des choses à faire sur le partage des données, les bases de données, les conceptions des essais cliniques en amont et leur évaluation en aval.

Je peux illustrer l'importance de la place du patient au travers quelques résultats rapides. En effet, comment le prix va-t-il être fixé ? Il sera notamment tenu compte de la qualité du médicament. Comment cette qualité du médicament va se construire? Comment va-t-on avoir une évaluation qui soit pertinente par rapport à des critères d'efficacité du traitement ? C'est à partir de cette qualité de l'évaluation que l'on pourra fixer un prix. Il y a bien un lien très fort avec la qualité du traitement et le ressenti de la personne malade.

Quelques graphiques permettent d'illustrer deux études. Une qui s'appelle « Parme » et l'autre Leukotrat[2]réalisées à partir de recensements auprès des associations, auprès des investigateurs (les centres de référence), des laboratoires industriels et du patient directement.

2 Ethical management in the constitution of a European database for leukodystrophies rare diseases, Eur J Paediatr Neurol. 2014 Sep ;18(5):597-603. Epub 2014 Apr 14

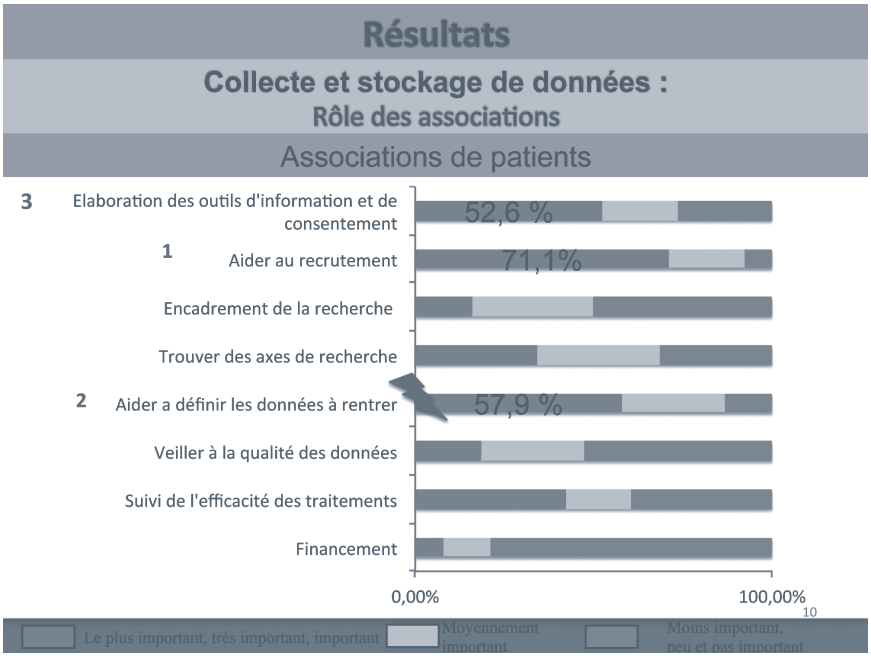
LA LETTRE du CES COLLÈGE



Plusieurs questions ont été posées :

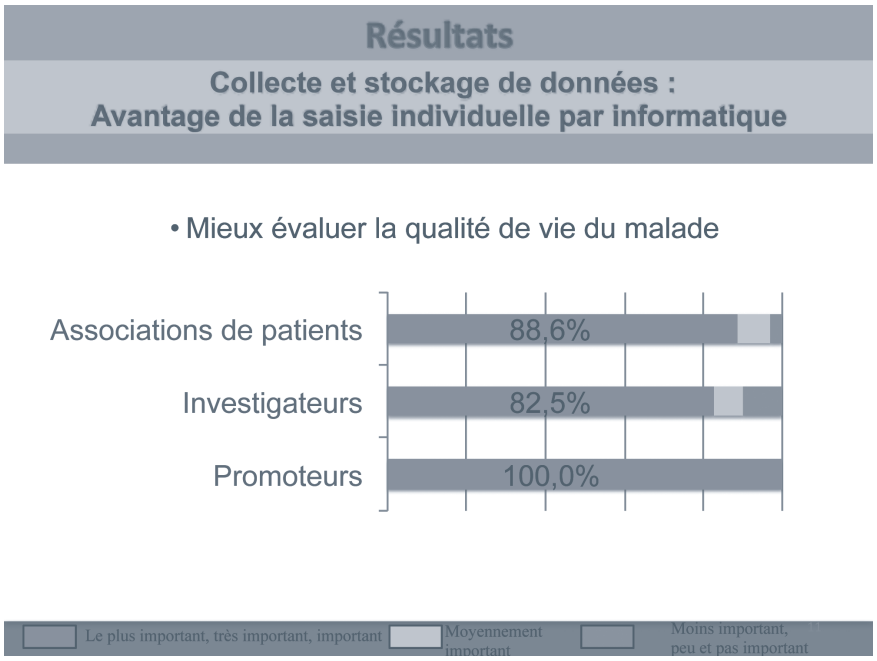
- Sur le recrutement d'abord : A la question « Pensez-vous que l'association peut aider pour le recrutement des essais cliniques ? » Majoritairement, la réponse est « oui ». Il faut cependant souligner le fait que l'évaluation d'un médicament et son processus de développement vont bien au-delà de ce recrutement des patients.
- Concernant la collecte et le stockage des données des patients et la saisie individuelle :

À la question « Pensez-vous que cela améliore la recherche que les données soient saisies directement par les personnes malades ou un proche ? », on s'aperçoit que les patients sont très demandeurs. Les associations ont néanmoins un travail de pédagogie à faire. Ce sont de nouveaux outils, une nouvelle ère de recherche participative. Certaines de nos associations en sont déjà convaincues, se sont formées et doivent maintenant être pédagogues vis à vis de leurs pairs. Pour les associations de patients qui mettaient en deuxième point qu'elles pouvaient avoir un rôle pour aider et définir les données à rentrer, il s'agissait des données à rentrer par rapport aux registres. Il faut savoir que lorsque l'on évalue un médicament, lorsque que l'on rentre dans un processus d'essai clinique, il faudra des registres et des bases de données pertinentes par rapport aux maladies. Un historique suffisamment long avant l'essai clinique est aussi important. Plus il sera possible d'obtenir des critères pertinents par rapport au patient, et mieux ceux-ci pourront être intégrés lors de l'essai clinique et serviront à évaluer le bénéfice du médicament.



- Les saisies individuelles par le patient sont également importantes. En interrogeant les associations de patients, les investigateurs et les promoteurs, on peut s'apercevoir que l'un des avantages de cette saisie individuelle par informatique est justement l'idée de mieux évaluer la qualité de vie du malade et ainsi aider à définir un traitement qui pourra permettre la meilleure observance possible.

LA LETTRE du COLLÈGE



- Enfin concernant le troisième axe, qui est l'hypothèse du financement, les associations financent énormément de travaux de recherche pour plus de 70% d'entre elles et 85 % des entreprises ont des partenariats public-privé.

Aujourd'hui, que fait-on et où en sommes-nous ? Les patients et les associations de patients sont à de nombreux endroits de cette évaluation du médicament à l'Agence Européenne du médicament (EMA), de la désignation du médicament orphelin jusqu'à l'AMM. Il est donc important de voir qu'il y a déjà, au niveau européen, cette représentation associative et qu'il faudrait pouvoir la retrouver également au niveau national.

La problématique dans nos maladies rares est la très grande hétérogénéité des maladies : il y a peu de patients. Il est très difficile d'avoir des groupes homogènes pour pouvoir évaluer correctement un médicament pour l'autorisation de mise sur le marché (*marketing autorisation).* Il existe toujours un biais induit par ces critères de recrutement.
Il serait très souhaitable que, demain, se poursuive un travail important avec les agences de santé européennes, avec les autorités politiques afin de pouvoir réfléchir à des processus de développement de médicament adaptés pour les patients (MAPPs). Il s'agit d'avoir des essais cliniques avec des phases 1 et 2 raccourcies, et un accès au traitement beaucoup plus rapide pour tous les malades. Il faut pour cela mettre en place une collecte de données en vie réelle et notamment des données de qualité de vie. L'enjeu est d'évaluer rapidement le bénéfice pour le malade du traitement afin qu'ensuite l'autorisation définitive de mise sur le marché s'appuie sur des données qui devront être les plus pertinentes possibles et reflétant les conditions de la vraie vie.
Ainsi l'importance de la voix du patient dans le développement du médicament est fondamentale. Pour la médecine de demain et l'évaluation des essais cliniques, elle y aura un rôle clé à avoir.

Il faut se préoccuper alors dès maintenant de :
- la demande des patients à un accès rapide aux thérapeutiques, même si les risques sont un petit peu plus importants car le processus est accéléré ;
- d'une médecine de plus en plus personnalisée ;
- d'une tension sur des budgets et les remboursements, qui implique que l'on a vraiment besoin d'évaluer l'efficacité sur les bons critères du traitement et selon le ressenti en terme de qualité de vie de la personne malade ;
- de la pérennité du système avec des médicaments qui, effectivement, coûtent cher.

L'évaluation de nos médicaments repose donc sur la sécurité (*safety*) et l'efficacité (*efficacy*). Il reste néanmoins fondamental d'avoir en critère premier d'évaluation du *primary impact* du médicament : la qualité de vie. À quoi sert-il de rajouter des mois et des années avec une qualité de vie très mauvaise ? C'est un paramètre qui, dès le départ, doit être pris en compte dans la conception des protocoles d'essais cliniques.
Il s'agit vraiment ici d'un nouveau cap dans l'accompagnement éthique des protocoles de recherche, avec plus d'autonomie pour le patient ; une information mieux éclairée ; plus de formation ; plus d'équité ; plus de pédagogie.
Les associations doivent se former afin de diffuser le plus largement possible vers le grand public ces nouvelles façons de faire de la recherche. La société civile doit ainsi avoir une prise de conscience du rôle qu'elle a dans ce développement des traitements et de la place indispensable que la recherche participative a dans l'évaluation économique des politiques de santé.

Anne-Sophie LAPOINTE

LA LETTRE du COLLÈGE

IMPLIQUER LES PATIENTS : ENJEUX POUR L'ÉVALUATION ET LA RECHERCHE

Jean-Claude K DUPONT
Philosophe, membre de la CEESP et Directeur adjoint de la chaire Hospinnomics

Si nous nous référons aux théories de la participation et de l'implication citoyenne, nous pouvons distinguer les évolutions suivantes. A la fin des années 1970, l'opposition des figures de l'expert et du citoyen a conduit à la critique d'un modèle bureaucratique qui, dans le domaine nucléaire en particulier, s'avère inapte à résoudre les problèmes sociaux, voire susceptible d'en créer. Aujourd'hui, l'implication ou la participation citoyenne peut être plutôt vue comme une évidence. Par exemple à la HAS, les patients et les usagers sont aujourd'hui associés à la réflexion selon des modalités différentes et complémentaires : participation aux commissions réglementaires, aux groupes de travail ou de lecture, consultations publiques.

L'enjeu qui se profile à moyen terme en matière d'implication citoyenne se pose en termes d'évaluation de l'efficacité, voire de l'efficience des modes d'implication et de participation, notamment des patients. Par exemple en oncologie pédiatrique, où les patients et les familles sont déjà proportionnellement plus sollicités que d'autres populations pour participer à des recherches, la participation à toute forme de recherche ou de décision représente une demande supplémentaire. Ces sollicitations ont d'ailleurs aussi des coûts pour le décideur puisqu'elles introduisent de nouveaux processus décisionnels. Il convient donc de le faire à bon escient, en faisant le meilleur usage des disponibilités et des ressources consommées.

Cette évolution de la place des patients s'inscrit dans le contexte d'une réflexion sur les processus d'évaluation des médicaments, d'un accès sur le marché, on va dire un peu « couperet », à une procédure plus progressive ou « adaptative ». L'autorisation de mise sur le marché (AMM) s'accompagne nécessairement d'incertitudes, par exemple sur l'efficacité en vie réelle, la population rejointe, etc – autant de 'paris' pris au moment de l'AMM sur l'efficience réelle des traitements. Si l'on attend de ne plus avoir d'incertitude, on retarde d'autant l'accès à un médicament innovant (dont on a des raisons de croire à l'efficacité pour la population ciblée). Aujourd'hui, il faut donc organiser, entre les industriels et la société, le partage des risques liés aux hypothèses faites (ou paris pris) au moment de l'AMM et que nous entrions tous ensemble dans une dynamique de réduction graduelle de ces incertitudes, notamment à chaque étape de réévaluation.

Deux questions intéressent la HAS, et traversent beaucoup les travaux de la CEESP de ce point de vue, à savoir de disposer de mesures valides d'utilité (qualité de vie) à toutes les phases des essais cliniques et d'intégrer le point de vue ou la perspective patients, particulièrement dans les dossiers d'efficience. Sur cette dernière question, un point de départ de la réflexion en CEESP a été le constat que les règles de confidentialité et de réserve qui s'imposent aux experts, interdisent aux patients ou usagers dans la commission d'aller rechercher auprès d'autres associations leur point de vue sur tel produit ou sur tel dossier. La réflexion sur une intégration à tous niveaux de l'expertise patients ou usagers dans l'évaluation scientifique (médico-technique et médico-économique) des stratégies de santé est en cours à la HAS et il faut souligner deux erreurs dans cette réflexion qui sont maintenant surmontées, même si elles ont pu exister – en quoi cette expérience peut avoir valeur d'exemple :

- La première erreur est d'entrer dans la question de l'intégration de l'expertise patients et usagers par l'angle de leur représentativité ; la doctrine de la HAS est désormais bien fixée : chaque patient ou usager est « membre d'une association » (condition d'éligibilité, sur la base de la liste des associations agréées) mais intervient – tout comme les autres experts – dans les discussions à titre personnel (*intuitu personae*).
- La seconde erreur serait de penser que l'implication des patients peut être rendue caduque par l'intégration des SHS. L'implication de patients ou d'usagers est un troisième pôle d'expertise, avec l'expertise médico-technique et l'expertise non médico-technique (économique, éthique, juridique, etc.). Ce rôle reste entier quels que soit les éléments empiriques apportés par les expertises SHS (par ex. sociologique ou anthropologique).

Pour finir sur ce point, l'expertise patients ou usagers est appelée à combler un besoin d'information sur l'expérience de la maladie et des traitements, leur impact sur tous les aspects de la vie quotidienne, sur les différentes étapes du parcours de soin (diagnostic, observance…), la signification des effets indésirables dans la vie des patients et, de manière générale, sur tout ce que l'on peut désigner à travers la notion de « fardeau de la maladie ».

L'implication des patients ne soulève pas seulement des questions au niveau des institutions comme la HAS ; la recherche en sciences sociales doit aussi intégrer les changements nécessaires pour la rendre effective dans ce domaine. Quatre enjeux sont essentiels :

- Le premier enjeu, déjà mentionné, tient au fait que cette implication accrue se traduit par des sollicitations supplémentaires au sein de populations potentiellement restreintes, en particulier dans les pathologies rares. Aussi souhaitable (et nécessaire) que soit leur implication dans des projets SHS, cela représente une strate de sollicitation supplémentaire, potentiellement en concurrence avec leur implication dans d'autres activités de recherche ou d'évaluation. Des méthodes de modélisation ou d'optimisation des tailles d'échantillons sont plus que jamais nécessaires.

- Un autre enjeu rencontré en oncologie pédiatrique tient au fait que des patients s'impliquent à un moment de leur parcours (*journey*) dans la maladie et puis, plus tard, ils en ont un peu assez d'être enfermés dans cette identité de patients. Il faut trouver des formes d'implication soutenables, qui permettent un renouvellement des personnes et qui ne les figent pas dans une identité de personne malade ou de témoin permanent de ce que c'est que de vivre avec la maladie.

- Un corolaire tient à l'exigence, pour les chercheurs, de trouver des formes d'implication égales quelle que soit la pathologie considérée ; c'est-à-dire de trouver des mécanismes correcteurs dans des pathologies pour lesquelles l'expertise patients est moins évidente ou moins accessible.

- Un dernier enjeu très important se pose en matière d'éthique. On documente beaucoup les conflits de rôles ou d'intérêts dans lesquels les professionnels de santé peuvent se retrouver en tant qu'investigateur, chercheur, évaluateur et soignant. L'implication des patients à tous les niveaux de décision en santé impose de réfléchir sur ces différents rôles qu'ils jouent désormais, à la manière de les articuler et de prévenir des conflits éventuels (cf. les trois rôles distingués par Christophe Duguet). Impliquer des patients dans une évaluation, ou dans une délibération collective, cela doit-il entraîner une forme de solidarité avec les résultats obtenus ou la décision prise ? Un patient qui participe à un projet de recherche ou à l'élaboration de recommandations doit-il s'en trouver limité dans sa fonction « tribunitienne » ?

La participation et l'implication des patients et des usagers du système de soin est une évidence axiologique, une valeur qu'on ne saurait remettre en cause. C'est un élément nécessaire de l'effort de connaissance et de documentation sur les maladies et leurs traitements. Tout autant que dans les autres domaines, des questions d'organisation, de méthode et d'équité restent à aborder ensemble avec lucidité et pragmatisme, notamment dans le cadre des recherches et des évaluations intégrant des critères sociaux et économiques.

Jean-Claude K DUPONT

COLLÈGE DES ÉCONOMISTES DE LA SANTÉ

Cette Matinée thématique du Collège a été organisée par le CES le jeudi 2 juin 2016
à l'Université Paris Dauphine, accueillie par le LEGOS.
Elle a reçu le soutien financier des sociétés Boehringer-Ingelheim, Bristol-Myers Squibb,
Malakoff Médéric et de la Fédération Nationale de la Mutualité Française.

Les Coordonnées du Collège
Si vous souhaitez joindre le Collège des Économistes de la Santé,
adressez votre courrier au :
CES - Site CNRS - Bâtiment E - 7, rue Guy Môquet – 94802 Villejuif
Tél : 06 07 75 14 90

E-mail : ces@ces-asso.org
Site internet : http://www.ces-asso.org

La Lettre du Collège :
Directeur de rédaction : Sophie Béjean, assistée de Nora Ferdjaoui Moumjid et Julien Mousquès
Secrétariat de rédaction : Anne-Laure Soilly et Frédéric Bonnemaison