

---

## Engagement des Patients Experts auprès de l'Industrie

Comme dans tous les secteurs, il est essentiel pour les entreprises pharmaceutiques d'écouter la voix du client et de l'utilisateur final afin de mettre au point des produits et des services qui répondent aux attentes. Cela implique que, dès les phases initiales de la recherche, ces attentes soient prises en compte et mesurées tout au long du développement des produits dans leur cycle de vie. Il est clair que les patients ne sont pas des experts en sciences pharmaceutiques, mais ils en savent probablement plus sur ce que signifie vivre avec leur maladie que l'expert pharmaceutique. Les associations de patients combinent les connaissances de tous leurs membres et sont représentées par des Patients Experts formés qui peuvent parler au nom de leur communauté de patients. Même si l'engagement systématique et précoce des patients peut rendre le processus plus complexe, il garantit en même temps une augmentation de l'efficacité et de la valeur ajoutée.

La question souvent posée est de savoir comment ces Patients Experts peuvent s'engager avec l'industrie pour créer des collaborations significatives. Ce document tente de donner une vue d'ensemble des différents types d'engagement des patients tout au long du cycle de vie du produit.

Cette vue d'ensemble a été élaborée avec les organisations de patients membres du Patient Expert Center, ainsi qu'avec des représentants de cinq entreprises pharmaceutiques actives en Belgique. L'aperçu a été élaboré au début de l'année 2022.

La liste des sujets relatifs à l'engagement des patients doit servir de guide général des possibilités, plutôt que d'interactions concrètes. La liste des engagements n'est pas limitée aux services identifiés ci-dessous, et les services doivent également être adaptés aux besoins spécifiques du moment.

Nous avons identifié huit catégories principales d'interaction

1. Essais cliniques
2. Campagnes de sensibilisation aux maladies
3. Éducation des patients et Littératie en matière de santé
4. Données empiriques et Preuves du monde réel
5. Accès au marché
6. Gestion des problèmes
7. Politique de Santé
8. Culture d'entreprise

Au sein de ces grandes catégories, nous essayons d'identifier les "domaines d'engagement". Dans la mesure du possible, nous précisons également la "nature de l'engagement" - c'est-à-dire l'interaction la plus tactique - et le "niveau d'engagement". Ce dernier point identifie le degré d'implication des Patients Experts dans la collaboration. Pour ce faire, nous utilisons le modèle conçu par l'Université du Maryland<sup>1</sup>. Bien qu'il ait été conçu pour les essais cliniques, le concept de base peut également être utilisé pour d'autres domaines d'engagement.

---

<sup>1</sup> Centre d'excellence en science et innovation réglementaires (CERSI) de l'Université du Maryland, Assessing Meaningful Patient Engagement in Drug Development a Definition, Framework, and Rubric (2015)



Patient Role	Examples	Engagement Level
Partnership role	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Patients provide a priori and continuous consultation on outcomes of importance, study design, etc.</li> <li>• Patients are paid investigators or consultants</li> <li>• Patients have a governance role; patients have "a seat at the table"</li> </ul>	High
Advisor role	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Patients serve as advisory committee members or provide a <i>priori</i> consultation on outcomes of importance and study design, but have no leadership role or governance authority</li> </ul>	Moderate
Reactor	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Patient input is collected distally through surveys, focus groups or interviews, but patients are not consulted directly or a priori on such things as study design and outcomes of importance</li> <li>• Patients are asked to react to what has been put before them rather than being the origin of the concepts of interest</li> </ul>	Low
Study subject	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Patients are recruited or enrolled as study subjects, but are not asked for input, consultation, or reaction</li> </ul>	None

## 1. Essais cliniques

### a. Conception de l'essai

Même si la plupart des essais cliniques sont conçus au niveau international, il est important d'obtenir des informations de la part des patients de différents pays, y compris la Belgique. Les Patients Experts peuvent faire partie de panels internationaux. Et comme la Belgique est un pays important pour la recherche clinique, il est également essentiel que les patients participent activement à la conception des études.

Les domaines d'engagement les plus importants sont les suivants

- Identification des critères d'évaluation et des résultats pertinents pour le patient (PROMs/PREMs)
- Identification des préférences des patients
- Discussion sur les avantages, les risques et la valeur
- Retour d'information aux patients concernés

Pour obtenir ces informations sur les patients, des données qualitatives et quantitatives sont nécessaires.

Les données qualitatives peuvent être obtenues par le biais d'une première session de groupe de discussion afin de définir la portée du projet et de comprendre le contexte global des patients vivant avec la maladie, suivie de questionnaires plus détaillés et d'une discussion finale sur le questionnaire avec, de préférence, le même groupe de patients afin d'identifier les points communs et les différences entre les patients. Le processus abordera également les problèmes actuels liés à la norme de soins, les attentes en matière d'innovation, la hiérarchisation des besoins et des préférences, la pondération des différents paramètres utilisés pour évaluer les résultats, y compris les avantages, les risques et la valeur.

Il est également essentiel d'organiser le retour d'information vers l'association de patients et vers les patients qui participent finalement à l'étude.



## b. Recrutement pour les essais

Les associations de patients peuvent participer au processus de recrutement d'un essai, en examinant la stratégie et le matériel de recrutement, mais aussi en diffusant le recrutement auprès des membres de l'association ou par l'intermédiaire de leurs canaux de communication.

Les processus d'engagement de patients les plus fréquents, sont les suivants :

- Stratégie et matériel de recrutement – cela peut être fait en collaboration avec les investigateurs et dépendra largement du type de maladie, de son incidence et de la facilité à identifier les candidats potentiels. Selon la situation, des témoignages de patients (vidéos, applications, ...) peuvent être utilisés pour souligner l'intérêt de participer à des essais, mais aussi les mises en garde et les conditions d'admissibilité. Les dépliants et les affiches doivent être revus par des Patients Experts. Certaines associations de patients annoncent également sur leur site web ou sur les médias sociaux le début du recrutement pour les essais.
- Résumé à l'intention des profanes – les documents présentés aux patients pour expliquer l'essai lui-même, ce qu'il implique et comment il sera mis en place, avec toutes les conséquences pour le patient, doivent être expliqués dans un langage facile à comprendre. Les Patients Experts doivent revoir le matériel final.
- Formulaires de consentement éclairé – les patients inscrits doivent comprendre ce qu'ils signent. La plupart des formulaires de consentement éclairé sont très légaux (complets et précis) mais manquent de qualité communicative (clarté). Un bon formulaire de consentement éclairé commence par un résumé d'une page contenant les messages clés.
- Diffusion des résultats – une fois l'étude terminée, ou lorsqu'elle est interrompue, les patients doivent être informés des résultats de l'étude dans un langage facile à comprendre. Les associations de patients peuvent aider l'entreprise à réviser les documents.

## c. Outils de surveillance

- Journal du patient – l'élaboration d'un journal du patient à remplir pendant l'essai est l'outil de suivi le plus courant de la qualité de vie des patients.
- Applications numériques – le journal peut également être mis en place sous forme d'application, avec l'avantage supplémentaire de pouvoir être relié à d'autres mesures sur smartphone, telles que l'activité physique, et à des outils tels que "l'alerte-pilule" (pill-coach).

Nous nous référons également au format plus élaboré conçu au niveau européen<sup>2</sup>, comme le montre le graphique suivant.

<sup>2</sup> Geissler et al " Improving Patient Involvement in Medicines Research and Development : A Practical Roadmap, In Therapeutic Innovation & Regulatory Science, 2017



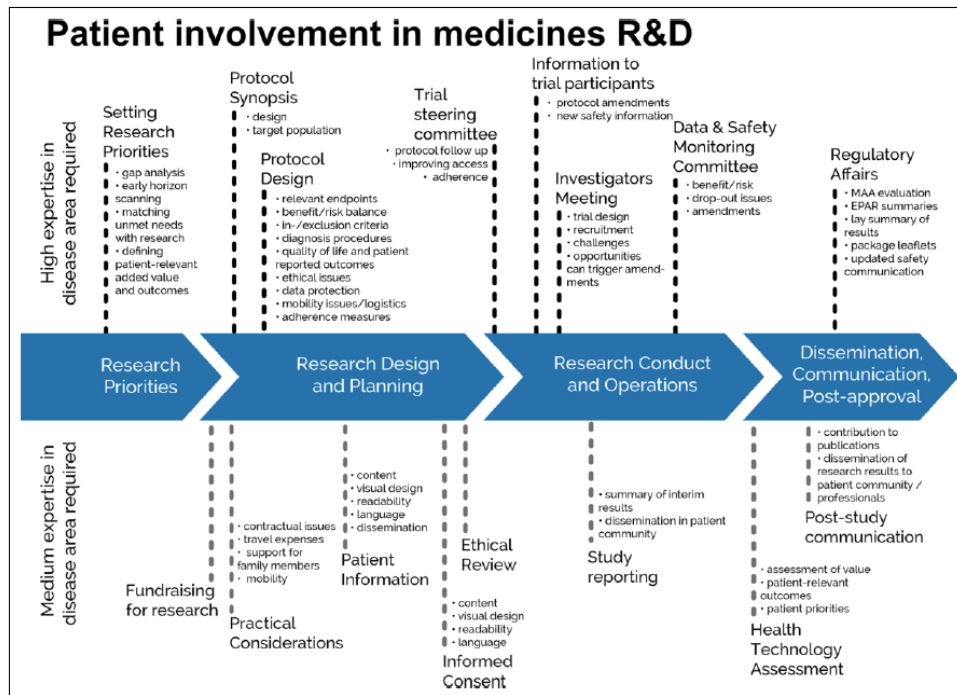


Figure 3. Practical roadmap for patient involvement in medicines R&D.

## 2. Campagnes de sensibilisation aux maladies

Souvent, les citoyens ne connaissent pas les symptômes d'une maladie dont ils pourraient être atteints, ou ne sont pas suffisamment informés de l'intérêt d'un diagnostic précoce ou des facteurs de risque qui pourraient s'appliquer à eux. Les autorités de santé publique et les entreprises pharmaceutiques voudront communiquer sur des maladies spécifiques lorsque de nouvelles stratégies de traitement ou de nouvelles technologies seront disponibles.

Étant donné que les associations de patients sont les mieux placées pour connaître leur maladie, et notamment les facteurs susceptibles d'inciter les citoyens à être plus conscients de ce qu'il faut rechercher, leur participation à la campagne est essentielle et doit commencer le plus tôt possible. Nous avons identifié les actions suivantes :

- Co-conception de la campagne de sensibilisation à la maladie (objectifs, stratégie, tactiques, ...)
  - Messages-clés et fiche d'information
  - Communication via les médias et témoignages
  - Publicité
  - Séances d'information auprès des principales parties prenantes (médecins généralistes, hôpitaux, ...)
  - Événements dans l'espace publique
  - Événements de collecte de fonds
- Validation de la campagne de sensibilisation à la maladie (vérification des objectifs, du ton, de la langue, du style, ...)



- c. Description du Parcours Patient
  - a. Décrire tout l'impact de la maladie et du traitement sur le patient et sa famille
    - i. Des sessions de groupes de discussion avec les patients pour comprendre l'impact total.
    - ii. Approche holistique contre approche médicale uniquement (la personne n'est pas sa maladie)

### 3. Éducation des patients et Littératie en matière de santé

Il existe suffisamment de preuves dans la littérature médicale que les patients qui maîtrisent la santé et qui sont bien informés ont de meilleurs résultats en matière de santé. Pour les entreprises pharmaceutiques, il est également de la plus haute importance de démontrer que les promesses d'un médicament lors d'un essai clinique se concrétisent pleinement dans un environnement naturel. Les domaines d'action suivants ont été identifiés.

- a. Identification des besoins d'information
  - a. Comprendre les besoins des patients en matière de connaissances et d'informations
  - b. Élaboration et révision de documents et de services d'information pour les patients en collaboration avec les parties prenantes par le biais d'un comité de rédaction (patients, soignants, personnel soignant, infirmières).
  - c. Test des messages, du matériel et de la technologie

#### Nature de l'engagement

- i. Sessions de groupes de discussion
  - ii. Statistiques du service d'assistance
  - iii. Enquêtes
  - iv. Entretiens avec les patients
- b. Programmes d'éducation et de soutien aux patients

Cette partie comprend l'éducation des patients sur le meilleur usage possible de leurs médicaments, mais aussi sur la manière de signaler tout problème qu'ils pourraient rencontrer avec le traitement pharmaceutique et qui n'aurait pas été inclus dans la notice destinée aux patients. Elle comprend également l'éducation sur la manière d'utiliser le traitement de la meilleure façon possible, en soulignant l'importance de l'observance et du respect du traitement. Cela peut également inclure l'utilisation correcte de services tels que les "alertes-pilules" numériques.

- a. Utilisation correcte des médicaments
  - b. Conformité et Adhésion
  - c. Sécurité des patients et Pharmacovigilance
  - d. Soutien psychologique
  - e. Beyond the Pill services

### 4. Données empiriques et Preuves du monde réel (RWD and RWE)

De plus en plus, la collecte de données et de preuves en situation réelle deviendra importante pour les entreprises pharmaceutiques afin de démontrer l'efficacité de leurs médicaments dans un environnement réel. Pour ce faire, des programmes doivent être mis en place pour maintenir/optimiser l'efficacité des médicaments en créant un environnement dans lequel ils seront utilisés tels qu'ils ont été conçus,



---

reproduisant presque les conditions d'un essai clinique, tout en suivant les résultats réels grâce à la saisie de points de données. Lorsque les données peuvent mener à des conclusions significatives, elles deviennent les preuves nécessaires pour démontrer les résultats.

- a. Comprendre le contexte du patient
  - a. Données socio-économiques et les sous-populations (sociographie, netnographie, ...)
  - b. Sondages auprès des patients
  - c. Sessions de groupe de discussion
- b. Suivi des patients et collecte de données
  - a. Journal du patient
  - b. Registres et bases de données des réclamations
  - c. Surveillance numérique à distance
  - d. Étude du contexte du patient
  - e. Sondages d'opinion
- c. Sensibilisation aux données empiriques et à la collecte de données
- d. Analyse économique de Santé
  - a. Coût de l'étude sur la maladie
    - i. Analyse financière des coûts pour le patient
    - ii. Coût de la mortalité prématurée et de la morbidité
    - iii. Analyses du retour à l'emploi

La valeur réelle d'un traitement va au-delà de son impact clinique sur le corps. Il convient de prendre en compte le patient dans son ensemble et dans son contexte. La valeur comprend également des indicateurs de qualité de vie, mais aussi la possibilité pour le patient de reprendre sa vie après le traitement ou de continuer à vivre avec une qualité de vie gratifiante pour l'individu et sa famille.

## 5. Accès au marché

Lorsque de nouveaux traitements arrivent sur le marché, il est important que les données médicales soient partagées, mais aussi que le patient soit entendu pour expliquer pourquoi un traitement particulier devrait être considéré comme meilleur que la norme de soins. Les données médicales concrètes ou les résultats des essais cliniques sont essentiels, mais les points de vue des patients sont tout aussi importants. Peu de régulateurs et de payeurs savent ce que signifie vivre avec une maladie et comment les traitements peuvent élargir les options des patients.

- a. Demande de remboursement
  - a. Recueillir l'avis des patients dans le dossier sur la valeur (par exemple, un questionnaire)
  - b. Inviter les patients à l'audition officielle
  - c. Boîte à outils pour l'expression des patients
- b. Renforcer la voix du patient
  - a. Enquêtes



## 6. Gestion des problèmes

Au cours de la pharmacovigilance et des études de phase IV, de nouveaux problèmes liés aux médicaments peuvent apparaître, qu'il s'agisse d'effets secondaires ou d'incompatibilité avec d'autres traitements. D'autres problèmes peuvent survenir au cours de la production (problèmes de qualité ou d'efficacité, ruptures de stock, ...). Parfois, lorsque de nouveaux médicaments arrivent sur le marché, des médicaments plus anciens sont abandonnés. Dans tous ces cas, il est important que les associations de patients participent au processus d'évaluation de la manière de communiquer avec leurs membres et de contribuer à l'élaboration de stratégies et de communications pour faire face à la situation, en s'efforçant de trouver les meilleures solutions possibles pour la communauté des patients.

- a. Identification de nouveaux effets secondaires
  - a. Analyse risques/bénéfices
  - b. Témoignages de patients
  - c. Diffusion de l'information
- b. Arrêt/stockage
  - a. Fiches d'information
  - b. Scénarios de traitement
  - c. Participation au conseil consultatif
  - d. Diffusion de l'information
  - e. ...

## 7. Politique de Santé

Avec l'arrivée de nouvelles technologies et de nouvelles sciences, il est essentiel d'informer également les politiciens, les responsables politiques et les autres décideurs du potentiel des nouvelles découvertes. La médecine personnalisée, l'immunothérapie, la thérapie cellulaire et génétique, l'utilisation de l'intelligence artificielle, la surveillance numérique, l'utilisation secondaire des données des patients ... et d'autres nouveautés nécessitent le point de vue des patients pour expliquer leur potentiel et leur valeur à la communauté des patients.

## 8. Culture d'entreprise

Les entreprises actives dans le domaine des soins de santé accordent une grande importance à leur culture centrée sur le patient. Pour que cette culture soit centrée sur le patient, il est essentiel que toutes les activités de l'entreprise bénéficient d'un engagement fort de la part des patients et d'une attention particulière à leur égard. Le rôle actif des Patients Experts peut contribuer à développer cette culture interne pour tous les principes de gestion et l'engagement des employés.

- a. Créer une véritable centrage sur le patient au sein de l'organisation
  - i. Conseils Consultatifs des patients
  - ii. Identifier les domaines à améliorer
    1. Analyse
    2. Enquêtes
    3. Indices comparatives
  - iii. Diffuser les indicateurs clés de performance
  - iv. Élaborer un programme de signatures
- b. Des initiatives visibles en matière d'engagement des patients
  - i. Journées Patients



- 
- ii. Initiation du personnel
    - 1. un patient peut "former" les nouveaux venus dans une entreprise sur les aspects de la maladie liés au patient
  - iii. Réunions internes
  - iv. ...

### **En conclusion**

La liste de l'engagement des patients ci-dessus n'est qu'un aperçu des possibilités.

Les entreprises qui souhaitent aller plus loin doivent prendre contact avec l'organisation de patients active dans la maladie pour laquelle elles souhaitent mettre en place une initiative ou avec le Patient Expert Center. Nous leur soumettrons alors une proposition basée sur un briefing plus substantiel sur le sujet pour lequel l'engagement des patients est recherché.

