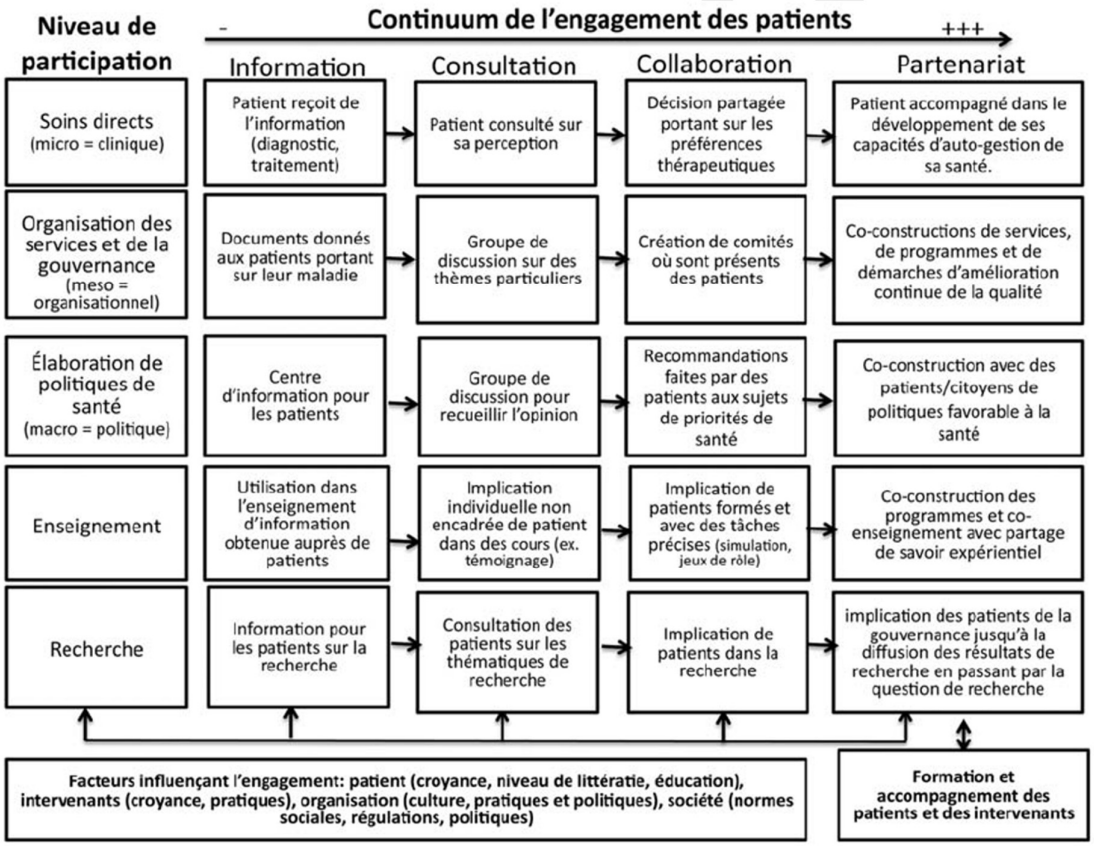
PATIENT EXPERT CENTER

Coopération des associations de patients avec les services gouvernementaux

Le rôle des associations de patients spécifiques à une maladie est important dans l'élaboration des pratiques médicales et de la politique de santé. En Belgique, nous dépensons environ 50 milliards d'euros par an pour notre système de soins de santé, dont 7,5 milliards sont payés par les patients, ce qui justifie en soi l'implication des associations de patients spécifiques à une maladie dans la politique de santé.

Au niveau international, le "*Modèle de Montréal*"[1] a été développé, reflétant le degré de coopération entre les associations de patients et les services de santé à chaque niveau d'interaction. Si l'on prend ce modèle comme tableau de bord, l'implication des associations de patients en Belgique en est encore à la "phase d'Information", la première des quatre phases d'interaction (suivie des phases de Consultation, Coopération et de Partenariat). Les organisations faîtières Vlaams Patiëntenplatform (VPP) et La Ligue des Usagers de Soins de Santé (LUSS) sont déjà actives dans ce domaine à certains niveaux.



Une implication plus systématique et plus poussée des associations de patients conduira à de meilleurs choix politiques et améliorera ainsi l'efficacité et l'efficience de notre système de soins de santé. Personne ne connaît mieux sa maladie qu'un patient, et l'intelligence collective de tous les patients atteints de la même maladie peut conduire à un meilleur traitement pour l'ensemble des patients.

[1] Pomey et al : Le " Montreal model " : enjeux du partenariat relationnel entre patients et professionnels de la santé, in " Santé Public ", 2015

PATIENT EXPERT CENTER

Tant au niveau local que régional et fédéral, le désir d'accroître et d'améliorer la coopération existe. En Flandres, des conseils de soins ("zorgraden") ont été mis en place au niveau local, dans lesquels les patients sont également représentés, mais encore insuffisamment et avec trop peu de régularité.

Les décisions prises au niveau régional en matière de prévention et de dépistage de la population devraient systématiquement impliquer les associations de patients concernées.

Il en va de même pour nos autorités fédérales qui développent des politiques spécifiques aux maladies, donnent des avis ou exécutent des décisions : le Service public fédéral de santé, l'INAMI, l'AFMPS, Sciensano et le KCE.

Les principaux points d'interaction à forte valeur ajoutée des associations de patients sont :

1. Sensibilisation aux maladies et prévention
2. Recherche sur la population
3. Elaboration des parcours de soins optimaux pour la prévention, le traitement et la prise en charge des patients
4. Conseils aux patients : un nouveau rôle dans les soins de santé
5. Approbation et remboursement des nouvelles technologies (diagnostics, imagerie, médicaments, etc.)
6. Données réelles et registres de patients
7. Analyses économiques de la santé
8. Invalidité de longue durée et stratégies de retour à l'emploi

1. *Sensibilisation aux maladies et prévention*

Malgré l'impact sur la société de maladies telles que la dépression, le diabète, le cancer et les maladies cardiovasculaires, la prévention et la sensibilisation sont encore trop peu développées. Le gouvernement développe des plans d'approche qu'en cas de problème aigu, comme lors des infections par le VIH/SIDA dans les années 1990 et de la pandémie de Covid-19.

Les experts et les associations de patients peuvent également mettre à profit leur expérience et leurs connaissances pour mettre en place des stratégies de communication avec le grand public afin de s'assurer que les patients sont conscients de leur maladie, de l'existence de traitements et de l'importance de poursuivre le traitement. En posant des questions, en organisant des groupes de discussion et en testant les messages et les canaux de communication les plus appropriés, les patients peuvent aider le gouvernement à trouver les meilleurs moyens d'atteindre et de motiver des sous-groupes spécifiques.

2. *Recherche sur la population*

Aujourd'hui, le dépistage du cancer dans la population est organisé pour le cancer du sein, le cancer du col de l'utérus et le cancer colorectal. Comparée à d'autres pays européens, la Belgique n'obtient qu'un score moyen en termes de taux de participation et de nombre de diagnostics au stade I, lorsque les chances de survie sont les plus élevées et les coûts les plus faibles. Il y a encore beaucoup de place pour l'amélioration : sauver plus de vies et engager moins de dépenses coûteuses.

Pour comprendre ce qui motivera les citoyens à participer et pour mieux comprendre pourquoi certains patients testés positivement ne veulent pas d'un diagnostic plus poussé, il est crucial de pouvoir écouter et travailler avec les patients qui ont vécu l'expérience. Leurs idées et leurs témoignages peuvent accroître considérablement l'impact des campagnes.

Dans l'idéal, toutes les communications destinées aux citoyens sont rédigées en collaboration avec les patients afin d'intégrer le bon message et les bons moteurs émotionnels. Les patients peuvent également apporter des témoignages et s'adresser aux patients ou aux citoyens s'ils ont des questions à ce sujet.

3. *Tracer les parcours de soins*

Chaque maladie doit faire l'objet d'un plan qui prévoit toutes les étapes du traitement, depuis les premiers symptômes jusqu'à la fin du traitement. Chaque étape doit fournir les statistiques correctes sur l'ensemble de la population de

DRAFT

PATIENT EXPERT CENTER

patients afin d'améliorer l'ensemble du parcours. Pour chaque intervention, les résultats doivent être cartographiés et accompagnés de statistiques sur les endroits où les meilleurs résultats sont obtenus. Ce parcours de soins ne se limite pas aux interventions cliniques, mais devrait également inclure le cadre du patient : bien-être psychologique, nutrition, revalidation physique, contexte financier et social, activation professionnelle, etc. À l'avenir, les associations de patients prendront l'initiative de définir les parcours de soins idéaux en collaboration avec les autorités, les hôpitaux et les experts de la santé. De cette manière, les besoins très spécifiques de certains groupes de patients pourront également être identifiés et améliorés (par exemple, les patients atteints de sclérose en plaques, les patients stomisés, etc.)

Chaque maladie a ses propres besoins et exigences. Les associations de patients s'efforceront donc d'obtenir des politiques spécifiques qui non seulement améliorent le parcours de soins, mais contribuent également à résoudre les conséquences négatives des maladies. En Belgique, par exemple, le « Passe toilette » a été approuvé pour les patients souffrant de problèmes intestinaux et vésicaux, ou le "droit à l'oubli" a été introduit dans la législation belge.

Aujourd'hui, cette approche systématique et planifiée par maladie n'existe pas en Belgique. Pouvoir l'organiser avec les associations de patients respectives permettrait d'améliorer considérablement les soins et de les rendre moins coûteux.

4. *Conseils aux patients*

Les patients qui bénéficient d'un bon soutien obtiennent de meilleurs résultats et plus rapidement. La grande valeur ajoutée des associations de patients réside dans l'accompagnement et les conseils qu'ils prodiguent à d'autres patients après le diagnostic. De très nombreux patients manquent d'informations et de connaissances sur leur maladie et leur traitement. Les associations de patients peuvent non seulement les aider à mieux comprendre leur maladie en complémentarité avec l'équipe pluridisciplinaire, mais aussi à s'orienter dans notre système de santé : soins spécialisés en rééducation physique, bien-être psychologique, nutrition, services sociaux, etc. Elles peuvent également aider les patients à organiser concrètement leur vie autour de leur maladie et de leur traitement, servir d'intermédiaires avec l'équipe soignante, aider à capter les signaux et à préparer les consultations.

Cette fonction de base est aujourd'hui assurée par des milliers de bénévoles, mais elle devrait en réalité constituer une tâche essentielle de notre système de santé. Ce service devrait être financé par des fonds publics.

5. *Approbation et remboursement des nouvelles technologies (diagnostics, imagerie, médicaments, etc.)*

Dans la plupart des pays européens, il s'agit du principal point d'interaction entre le gouvernement et les associations de patients. En Belgique, la voix du patient est encore insuffisamment ou pas du tout entendue dans ce contexte.

Approbation réglementaire

Au niveau européen, l'Agence européenne des médicaments (EMA), qui est responsable de l'approbation des nouvelles technologies dans l'Union européenne, a publié l'interaction avec les patients experts[2] . Les patients sont représentés dans quatre des six comités scientifiques actifs dans le domaine de la santé humaine : le Comité des médicaments orphelins (COMP), le Comité pédiatrique (PDCO), le Comité pour les thérapies innovantes (CAT) et le Comité pour la pharmacovigilance et l'évaluation des risques (PRAC).

Dans la phase de pré-soumission à l'Agence européenne des médicaments (EMA), il existe des exemples où les patients peuvent contribuer aux discussions de l'EMA sur la conception des essais cliniques :

- Sélection des critères d'évaluation.
- Définition de groupes cibles, les critères d'inclusion et d'exclusion.
- Durée de l'étude, administration du traitement, formulation et dosage.
- Pertinence clinique versus signification statistique.
- Identification des risques potentiels.
- Avantage significatif (valeur ajoutée) par rapport aux thérapies existantes.
- Aspects éthiques, consentement éclairé.

Le projet PROTECT (Pharmacoepidemiological Research on Outcomes of Therapeutics by a European Consortium), mené par l'Innovative Medicines Initiative (IMI) et coordonné par l'EMA, aborde également la question de

[2] European Medicines Agency : The role of members representing patients' and healthcare professionals' organisations on EMA Scientific Committees, 2019

DRAFT

PATIENT EXPERT CENTER

l'implication du public/patient dans les processus réglementaires. Ils concluent que "*Decision-making with regards to benefit-risk assessment is often complex. It is important to ensure transparent, robust and comprehensive methodologies are used, and also that patient and public preferences on benefits and risks feed into the decision-making process* [3] ".

L'Académie européenne des patients pour l'innovation thérapeutique (EUPATI) a mis au point une "*boîte à outils pour l'engagement des patients dans les* processus *réglementaires*", *"Toolbox for Patient Engagement in Regulatory Processes"*[4], pour les processus d'approbation.

Évaluation des technologies de la santé

Des lignes directrices relatives à l'évaluation de la valeur et au remboursement (Health Technology Assessment, HTA ou ETS pour « Evaluation des technologies de la Santé ») ont également été publiées au niveau européen pour la participation des patients[5] . Elles ont été élaborées par des organisations de patients et des agences d'évaluation des technologies de la santé (HTA) de 11 États membres de l'Union européenne, mais sans représentation belge.

Au niveau belge, des patients sont déjà membres du Comité Consultatif des Essais Cliniques du Centre d'Expertise (KCE) afin de suivre et d'interpréter le point de vue des patients lors de l'évaluation des projets de recherche.

Une autre initiative est PREFER (Patient Preferences in Benefit-Risk Assessments during the Drug Life Cycle). Il s'agit d'un projet européen qui a débuté fin 2016 et qui se concentre sur l'intégration des perspectives des patients pour une utilisation dans l'évaluation des bénéfices et des risques (BRA) et l'évaluation des technologies de la santé (HTA). PREFER apporte des recommandations sur les meilleurs moyens d'inclure les préférences des patients dans le processus décisionnel de l'industrie, des régulateurs et des organismes d'ETS. La KULeuven et le Centre d'Expertise (KCE) sont impliqués dans ce projet.

EUPATI a développé la "*Toolbox for patient engagement in HTA*" (*boîte à outils pour l'engagement des patients dans l'ETS*)[6] pour l'interaction des patients dans l'ETS.

Exemples à l'étranger

- En Allemagne, les patients sont impliqués à tous les niveaux du processus d'évaluation des technologies de la santé et les représentants des patients participent à tous les sous-groupes (médicaments, dispositifs médicaux, etc.) en tant que membres permanents ou membres liés au sujet.
- L'Institut allemand pour la qualité et l'efficacité des soins de santé (IQWiG) peut inclure la préférence du patient dans l'évaluation coût-bénéfice dans le cadre de l'évaluation économique.
- En Grande-Bretagne, l'Institut National pour la Santé et l'Excellence des Soins (NICE) applique une politique stricte visant à accroître la participation des citoyens et des patients. Il existe même un guide préparatoire à l'intention des patients experts pour leur permettre d'assister à l'évaluation des nouveaux médicaments[7] .
- En Suède, les deux institutions publiques concernées comptent des patients dans leur conseil d'administration ([8]) et l'opinion des utilisateurs finaux est très appréciée.
- L'institut indépendant Institute for Clinical and Ecomic Review (ICER) dispose également de modèles formels d'engagement des patients, avec de bons exemples dans les domaines de la sclérose en plaques et du psoriasis, afin d'évaluer correctement la valeur des traitements.
- En octobre 2022, la FDA américaine a créé le Patient Engagement Collaborative (PEC), qui travaille déjà avec des groupes de patients pour développer des modèles de collaboration : pour l'examen des médicaments, l'apport plus systématique des points de vue des patients, l'amélioration de la transparence, l'amélioration des outils de communication entre la FDA et la communauté des patients, et la mise en place d'outils éducatifs autour du processus réglementaire.

[3] https://protectbenefitrisk.eu
[4] Haerry D, Landgraf C, Warner K, Hunter A, Klingmann I, May M et See W (2018) EUPATI and Patients in Medicines Research and Development: Guidance for Patient Involvement in Regulatory Processes. Front. Med. 5:230. doi : 10.3389/fmed.2018.00230
[5] PARADIGM - HTA - Patient Engagement in Early Dialogues: Tools and resources for HTA bodies, 2020
[6] Amy Hunter et al : " EUPATI Guidance for Patient Involvement in Medicines Research and Development : Health Technology Assessment ", in Frontiers in Medicine, 2018
[7] "Hints and tips when preparing to be a Patient Expert ", National Institute for Health and Care Excellence, 2015
[8] Statens Beredning för Medicinsk och Social Utvärdering (SBU) et Tandvårds- och läkemedelsförmånsverket (TLV)

PATIENT EXPERT CENTER

Remboursement

Dans la plupart des pays environnants,[9] , les associations de patients (faîtières), les associations de patients spécifiques à une maladie et/ou les experts accrédités auprès des patients sont représentés dans les organes de décision sur le remboursement des nouvelles technologies. Dans certains pays, elles sont représentées en permanence avec droit de vote, dans d'autres, elles sont consultées soit par écrit, soit en participant à la réunion des organes de décision. En Belgique, ce n'est pas encore le cas et les décisions sont donc prises sans évaluation approfondie de la situation actuelle des patients.

En tout état de cause, du point de vue du patient, il est important que les décideurs aient une vision claire de l'état actuel de la maladie, à la fois en termes de traitement et de ce que cela signifie de vivre avec la maladie et le traitement. Pour une évaluation correcte, le contexte général doit être connu sur la base d'enquêtes qualitatives et quantitatives représentatives auprès des patients, qui devraient être standardisées dans les services des associations de patients et remboursées par le gouvernement. Les aspects financiers de la vie avec la maladie doivent également être clarifiés afin que les décisions ne soient pas prises dans le vide. Les associations de patients spécifiques à la maladie offrent la meilleure garantie de compréhension, et un Patient Expert formé pour parler au nom de l'ensemble de la communauté des patients est le meilleur représentant au sein des organismes de référence.
L'association de patients devra donc être interrogée sur les sujets suivants et y participer

- Aperçu statistique de l'impact de la maladie sur les patients et leurs familles à l'aide d'une enquête représentative
- Résultats des sessions de groupes de discussion avec un groupe de patients pour bien comprendre ce que signifie vivre avec la maladie et les défis de la "norme de soins" actuelle.
- Analyse du coût financier de la maladie pour la population de patients, à la fois individuellement et collectivement
- Consultation sur les sous-populations, les conditions de remboursement et les questions spécifiques
- Suivre l'utilisation de la technologie dans un environnement naturel.

Ces processus n'ont pas encore été mis au point avec l'INAMI, mais les exemples étrangers peuvent être utiles.

6. *Données réelles et registres de patients*

Malgré le coût élevé de notre système de santé, nous manquons souvent des données les plus élémentaires sur les populations de patients dans notre pays : leur nombre, la gravité de la maladie, le délai moyen entre les premiers symptômes et le diagnostic correct, l'évolution de la maladie, les traitements, les résultats en matière de santé (survie, qualité de vie), les rechutes, ...

Malgré la disponibilité de la technologie, toutes ces données ne sont pas systématiquement collectées et utilisées. Les associations de patients pourraient jouer un rôle très important à cet égard en combinant l'utilisation des données électroniques sur la santé et les enquêtes menées auprès de leurs membres. De cette manière, les données médicales concrètes peuvent être associées à des aspects plus humains tels que la compréhension de la maladie, la situation sociale et financière, le contexte familial, le régime alimentaire, l'adhésion à la thérapie, l'activité physique, etc. Certaines associations de patients gèrent le registre de tous les patients atteints de leur maladie, ce qui améliore considérablement l'efficacité du traitement. Les connaissances des patients, ainsi que leur sentiment d'urgence à améliorer les choses, permettent également d'obtenir des résultats.

Les données des registres pourraient être établies par maladie, en consultation avec les gouvernements et les spécialistes médicaux qui pourraient évaluer chaque année les progrès réalisés par rapport à certains indicateurs clés.

7. *Analyses économiques de la santé*

Pour évaluer correctement la valeur d'une technologie, il est important de connaître également sa valeur globale. Il ne s'agit pas seulement du résultat clinique, mais aussi de la qualité de vie des patients et de leurs familles. Les coûts supportés par les patients peuvent être très élevés, alors que leurs revenus sont souvent réduits en raison d'une invalidité de longue durée, d'un travail à temps partiel, etc. Les associations de patients et les experts en la matière

[9] Allemagne, France, Pays-Bas, Autriche, Angleterre, Écosse, Pays de Galles, Irlande, Danemark, Suède, Norvège, Finlande.

DRAFT

peuvent aider à identifier tous les coûts d'une maladie et être en mesure d'évaluer la contribution positive de nouveaux diagnostics ou traitements. Nos gouvernements belges ne disposent pas de statistiques permettant de mesurer et de suivre le coût des maladies. Il y a donc un grand besoin de systématisation des données et de recherche de solutions. Le concept de soins de santé basés sur la valeur n'est pas encore suffisamment établi en Belgique. Ici aussi, les associations de patients peuvent jouer un rôle important.

8. ***Invalidité de longue durée et stratégies de retour à l'emploi***

La plupart des patients ne demandent rien d'autre que de reprendre le fil de leur vie ou, dans le cas des maladies chroniques, d'avoir un impact aussi faible ou aussi tardif que possible sur leur vie quotidienne et professionnelle.

De nombreuses associations de patients conseillent leurs membres quant à l'impact de la maladie sur le travail et les aident à examiner les différentes options, et pour certaines maladies, des organisations spécifiques ont même été créées par les patients à cette fin. La question est complexe et nécessite parfois une approche spécifique à la maladie, où l'intelligence collective des associations de patients peut aider à développer des systèmes permettant aux patients de rester actifs en fonction de leurs souhaits et de leurs capacités. Les solutions ne sont pas seulement réglementaires ou financières, mais elles peuvent être trouvées grâce à un meilleur dialogue avec les employeurs et à des attentes adaptées. Les besoins des patients atteints de cancer sont différents de ceux des patients atteints de polyarthrite rhumatoïde ou de sclérose en plaques. Chaque maladie a sa propre stratégie. En Belgique, 9 milliards d'euros sont consacrés à l'invalidité de longue durée. De nombreux patients en bénéficient, mais pour certains d'entre eux, le retour au travail est difficile. Une coopération mieux organisée et mieux financée avec les associations de patients souffrant de maladies spécifiques pourrait immédiatement déboucher sur des solutions à la fois pour les patients concernés et pour le budget de l'État.

DRAFT