

Participation des patients au processus de prise de décisions concernant l'ETS

Introduction

Nous pouvons envisager le processus global de prise de décisions concernant l'ETS tel qu'il est présenté à la figure 1. Les patients peuvent participer de différentes manières aux décisions concernant l'ETS.

Domaines d'intervention des patients

Données (recherche)

Les organismes d'ETS doivent juger de la valeur ajoutée en se basant sur les informations (données) disponibles. Les données peuvent provenir de la recherche clinique et de l'expérience des patients. Les évaluations des données prendront la forme d'études de recherche quantitatives et qualitatives.

La contribution des patients aux données de l'ETS peut prendre de nombreuses formes, comme par exemple :

- Développer ou valider les mesures des résultats signalés par les patients (PROM), aider les agences de réglementation, les organismes d'ETS et les laboratoires pharmaceutiques à comprendre ce qui doit être mesuré pendant les essais cliniques.
- Participer à la recherche de haute qualité.
- Concevoir des enquêtes ou y répondre pour :

- Obtenir des informations sur le nombre de patients atteints d'une maladie.
- Renseigner sur l'expérience des patients souffrant d'une maladie (par exemple, le nombre de patients atteints de différentes formes d'une maladie).
- Renseigner sur l'expérience des patients des traitements actuels (par exemple, le nombre de patients présentant certains effets indésirables et la proportion de patients qui évaluent ces effets comme étant extrêmes).
- Présenter l'expérience et les témoignages des patients aux organismes d'ETS, qui se servent de ces informations pour évaluer les autres données. Par exemple, si les patients indiquent de façon constante qu'une maladie constitue un fardeau parce qu'ils doivent prendre de nombreux médicaments différents, les organismes d'ETS examinent toutes les données afin de déterminer si un nouveau médicament, ou un nouveau mode d'administration, peut alléger ce fardeau.
- Fournir les soumissions des patients (pour évaluation) aux organismes d'ETS, dans un format structuré permettant à l'organisme d'ETS de déterminer l'impact pour divers critères de décision par rapport aux alternatives actuelles (tels que l'équité, l'égalité, les aspects légaux, éthiques, psycho-sociaux). Les soumissions doivent, si possible, présenter des informations structurées et non biaisées, provenant d'un vaste éventail de patients. Elles peuvent inclure tous les éléments ci-dessus.

La façon de collecter, d'analyser et de prendre en compte les points de vue des patients sur chaque caractéristique d'une nouvelle technologie constitue un défi. Par exemple, la différence entre une administration en intraveineuse et un comprimé à prendre une fois par jour peut être importante pour le patient mais ne pas être prise en compte dans l'évaluation de la valeur (si la valeur est évaluée par une approche basée

sur les années de vie gagnées pondérées par la qualité). Par conséquent, des études de préférences bien conduites, telles que les modèles de choix discrets, peuvent être un complément utile à l'évaluation de la valeur globale. Ces études peuvent se baser sur les données d'essais contrôlés randomisés, et par conséquent offrir la rigueur scientifique requise, afin de ne pas être considérées comme de simples affirmations des préférences (« Je préfère ceci à cela »), qui ont peu ou pas de poids dans une ETS bien conduite.

Problème de la prise de décisions (contexte)

Les questions auxquelles il faut répondre dans une recherche sont souvent définies par les cliniciens. Pourtant, à ce stade, les opinions des patients devraient être pris en compte afin :

- de garantir que les problèmes que les patients considèrent comme importants sont pris en compte dans la façon dont la recherche est structurée et les données probantes sont évaluées ;
- d'aider à déterminer la portée des questions qui seront posées dans le cadre de la recherche et à définir le problème de la prise de décisions pour les organismes d'ETS ; **et**
- de commenter les recommandations formulées, diffusées pour consultation, afin de garantir qu'elles sont équitables.

Analyse et jugement scientifique

Les jugements scientifiques sont les considérations méthodiques et systématiques sur lesquelles repose l'analyse des données. Des jugements médiocres ou très variables peuvent conduire à des résultats de mauvaise qualité ou imprévisibles et à ne pas prendre les bonnes décisions. Les patients et les

groupes de patients peuvent :

- Vérifier que leur organisme d'ETS local dispose d'un manuel d'évaluation ou de lignes directrices sur les méthodes, et si ce n'est pas le cas, en recommander un. Cela pourrait contribuer à la cohérence de l'analyse scientifique et à l'utilisation d'approches comparables, transparentes et actualisées.
- Si un manuel ou des lignes directrices sur les méthodes existe, s'assurer que des méthodes d'évaluation des mesures des résultats signalés par les patients et d'autres façons d'intégrer les points de vue des patients existent également ou demander qu'elles soient incluses.
- Participer aux consultations ou aux mises à jour des manuels et des lignes directrices sur les méthodes mises en œuvre par les organismes d'ETS, afin de s'assurer que les processus d'intégration des points de vue des patients sont explicitement définis.

Valeur

Dans ce contexte, la valeur signifie les priorités définies par les individus, sur lesquelles devrait se baser l'interprétation de la preuve. Par exemple, est-il important de supprimer certains résultats ou certaines maladies par rapport à d'autres ? La valeur peut aussi inclure l'importance relative de divers facteurs dans la prise de décisions, tels que l'effet d'une nouvelle technologie sur l'équité et l'égalité, et ses implications légales, éthiques et psychosociales.

Les patients ou les groupes de patients peuvent :

- Vérifier que leur organisme d'ETS local dispose d'un cadre de prise de décisions basé sur des critères ou une valeur. Certains organismes d'ETS appliquent des cadres cohérents et transparents. Dans la plupart des cas, il

n'existe pas de cadres basés sur une valeur, ou alors les organismes d'ETS se contentent de déclarer qu'ils prennent en compte l'efficacité clinique et la rentabilité. Dans la mesure où la valeur compare les coûts aux mesures des bénéfiques, un cadre basé sur le rapport efficacité clinique/rentabilité accorde de l'importance uniquement aux effets cliniques (résultats pour la santé). Les patients peuvent promouvoir un cadre ou, s'il en existe déjà un, préconiser son inclusion.

- S'assurer que leur organisme d'ETS local se compose de représentants qui présentent les soumissions des patients et parlent au nom d'un plus vaste éventail de citoyens (en comprenant les besoins communs et les informations liées aux patients) et non d'un groupe de patients spécifique.
- Utiliser les soumissions des groupes de patients pour souligner l'importance relative des divers critères de décisions qui doivent être pris en compte (tels que les résultats pour la santé, l'équité, l'égalité, et les aspects légaux, éthiques et psycho-sociaux). Il peut s'agir d'une opinion ou d'un critère basé sur la recherche empirique (telle que des enquêtes).

Recommandations (estimations)

Les recommandations doivent être cohérentes avec les données prise en compte et les valeurs intégrées. Les patients ou les groupes de patients peuvent :

- S'assurer que leur organisme d'ETS local dispose d'un mécanisme de révision et de feedback sur les recommandations (ou demander qu'un tel mécanisme soit créé) afin de garantir que les procédures de recommandations sont responsables et équitables.
- S'il existe un mécanisme de révision et de feedback, réviser les recommandations et les commenter pour garantir que les preuves et les informations fournies

par les patients ont été prises en compte et sont cohérentes avec les données et les informations sur les valeurs fournies.

- Communiquer des synthèses des recommandations qui peuvent être comprises par les patients.

Décision

Les décisions doivent être cohérentes avec les recommandations ou, si ce n'est pas le cas, les différences doivent être justifiées. C'est à ce stade que les patients peuvent passer d'un rôle de fournisseurs de preuves et de valeurs à celui de défenseurs de leurs droits.

Les patients ou les groupes de patients peuvent :

- Interagir avec les décideurs locaux avant une recommandation, sur l'importance relative de la décision et s'assurer que les informations sont communiquées à l'organisme d'ETS.
- Contrôler le délai écoulé entre la formulation de recommandations et l'exécution des décisions, afin d'améliorer la responsabilisation dans les processus d'ETS.
- S'engager dans des processus politiques appropriés (tels que la défense de leurs droits) lorsqu'une décision est prise ou indûment retardée.
- Plaider en faveur du financement des recherches recommandées et participer à ces recherches lorsqu'une décision est prise.

Gouvernance

Outre le processus d'une simple ETS, les patients ont un rôle important à jouer dans la gouvernance d'un organisme d'ETS. Par exemple, ils peuvent contribuer aux révisions du processus d'ETS ou encore collaborer à l'évaluation des processus de participation des patients.

Examen de l'expérience des patients dans le processus d'ETS

Dans certains processus d'ETS, les patients sont sollicités pour décrire ce que signifie vivre avec une maladie et ce que cela signifierait de bénéficier d'un nouveau traitement ou médicament. Ces expériences de patients relaient des informations importantes à l'organisme d'ETS :

- Elles sont considérées comme des cas en situation réelle. Cependant, ces cas isolés ne constituent pas des preuves particulièrement solides. Les organismes d'ETS s'intéressent à l'expérience de populations entières, qui est plus facilement recueillie par la conduite d'études qualitatives sur des groupes de patients atteints de la maladie en question. Les associations de patients peuvent contribuer à de telles études, en s'appuyant sur les expériences collectives de leurs membres pour compléter le témoignage d'un patient en particulier.
- Elles donnent une première indication sur les résultats qui sont importants. Cela peut donner une idée sur la façon dont les données cliniques seront utilisées et sur les résultats qui doivent être examinés, ainsi que fournir un point de vue sur la « valeur » et indiquer quels résultats sont les plus importants et ce que les patients considèrent comme une différence « significative » acceptable. Encore une fois, les organismes d'ETS sont plus intéressés par les populations entières et la recherche basée sur les populations fournira plus d'informations qu'un cas isolé. Toutefois, en l'absence de recherche, les cas peuvent servir de point de départ utile et fournir de points de vue qu'on ne trouve pas ailleurs.

Examen des informations – défense des droits contre données probantes

Les processus d'ETS sont destinés à aider à la prise de décisions : ils doivent utiliser des données et une analyse appropriées, couplées à un processus équitable et responsable, afin d'émettre des recommandations sur lesquelles les autorités peuvent baser leurs décisions (telles que la mise à disposition d'une nouvelle technologie de santé pour les patients qui en ont besoin et la méthode). Dans ce processus, la contribution des patients est cruciale pour que la valeur de la nouvelle technologie pour leur vie soit bien prise en compte. Les patients peuvent considérer qu'il est extrêmement important pour leur vie, de disposer de cette technologie. Dans ce cas, la décision qui intervient en fin de processus d'ETS peut jouer un rôle majeur pour leur santé. Afin de garantir que leurs priorités seront prises en compte, les patients doivent fournir des informations aux décideurs afin qu'ils comprennent mieux **en quoi** une décision est importante et **pourquoi** elle est si importante. C'est ce que les décideurs doivent savoir pour justifier leurs décisions, basées sur les informations disponibles et en utilisant un processus équitable.

Le rôle des patients doit être de veiller à ce qu'un processus d'ETS approprié soit mis en place. Ce rôle est de :

- garantir que des processus explicites et transparents sont utilisés pour l'analyse et la recommandation ;.
- faciliter la participation des patients à la définition de l'analyse ;
- participer aux comités d'élaboration des recommandations d'ETS ;
- faire des commentaires pendant les recommandations et l'analyse ; **et**
- contribuer en donnant leur point de vue, conformément aux principes énoncés ci-dessus (par ex., ce que cela

implique de vivre avec la maladie en question, quelles sont les limites des traitements disponibles et, lorsque cette information peut être utile dans l'évaluation de la valeur globale, les préférences pour des caractéristiques spécifiques d'un produit).

De nombreux processus d'ETS ne respectent pas ces pratiques importantes, considérées comme des principes « fondamentaux ». Par exemple, dans de nombreux comités d'ETS, les patients ne sont pas représentés par des personnes qui comprennent le processus et peuvent parler en leur nom pendant la phase de recommandation.

Valeurs et normes de qualité relatives à la participation des patients à l'ETS

En 2014, l'Health Technology Assessment International (HTAi) a collaboré avec divers acteurs de la scène internationale au développement de valeurs et de normes de qualité relatives à la participation des patients à l'ETS. Ces valeurs sont les principes sous-jacents qui indiquent pourquoi il est important d'impliquer les patients dans l'ETS. Les normes de qualité sont des mesures pratiques que les organismes d'ETS peuvent prendre lors de la conception du processus général d'ETS et pour garantir la participation effective des patients à une ETS donnée. (Pour le texte intégral, se reporter à l'HTAi « Valeurs et normes de qualité relatives à la participation des patients à l'ETS »)

Ces valeurs et normes de qualité sont mises en œuvre à un stade précoce, mais les groupes de patients ont un rôle important à jouer en les promouvant auprès des organismes d'ETS et en s'engageant dans les activités de l'HTAi pour encourager leur utilisation.

Conclusions

Les patients peuvent contribuer à divers aspects de l'ETS. Le rôle des patients débute avant le développement d'un nouveau médicament et peut se poursuivre pendant l'ETS et après la formulation de recommandations concernant l'ETS. Un patient ou un groupe de patients doit dans un premier temps, s'assurer que les informations qu'il fournit sont intégrés au processus d'ETS local et évaluer si le processus est équitable et responsable.

Enfin, les organismes d'ETS doivent comprendre comment tous les patients atteints d'une maladie donnée seront affectés par une nouvelle technologie. Si la recherche porte sur un vaste échantillon représentatif des patients locaux et utilise des approches de qualité, elle sera plus utile aux organismes d'ETS. Au delà de la communication de cas particuliers, les groupes de patients doivent envisager comment ils peuvent développer au mieux des recherches basées sur les populations ou les intégrer à ces processus d'ETS.

Ressources complémentaires

- Health Technology Assessment International (2014). 'Values and Quality Standards for Patient Involvement in HTA'. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/interest-groups/pcig/values-and-standards/>
- Health Technology Assessment International (2015). 'FOR PATIENT GROUPS AND INDIVIDUAL PATIENTS'. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/interest-groups/pcig/resources/for-patients-and-patient-groups/>
- Health Technology Assessment International (2014). *Completing a patient group submission template: Guidance for patient organisations*. Retrieved 11 July, 2021, from <https://htai.org/wp-content/uploads/2018/02/PCISG-Resour>

Références

1. Eddy, D.M. (1990) 'Clinical decision making: from theory to practice. Anatomy of a decision.' *Journal of the American Medical Association*, 263(2), 441-3.

A2-6.09-v1.1