

# **Recommandations pour l'implication des patients dans la recherche et le développement des médicaments dirigée par les professionnels**

## **Principes globaux pour l'implication des patients tout au long du processus de recherche et de développement des médicaments**

L'Académie européenne des patients (EUPATI) est un projet paneuropéen d'Initiative Médicaments Innovants (IMI) composé de 33 organisations avec des partenaires d'organisations de patients, des universités, des organisations à but non lucratif et des entreprises pharmaceutiques. Dans toute l'EUPATI, le terme « patient » fait référence à tous les groupes d'âges quelles que soient les conditions. EUPATI ne se concentre pas sur des problèmes ou des traitements propres à des maladies, mais sur le processus de développement des médicaments en général. Les informations propres à une indication ou les interventions médicales spécifiques ou spécifiques à l'âge n'entrent pas dans le champ d'action de l'EUPATI et relèvent des professionnels de santé et des

organisations de patients. Pour plus d'informations, consultez [eupati.eu/](http://eupati.eu/).

La grande majorité des experts impliqués dans le développement et l'évaluation de médicaments sont des scientifiques travaillant dans les secteurs privé et public. Il est de plus en plus nécessaire de faire appel à l'expérience et aux connaissances des patients afin de comprendre ce qu'il en est de vivre avec une condition spécifique, la manière dont les soins sont administrés et l'utilisation des médicaments au quotidien. Cette intervention contribue à améliorer la recherche, le développement et l'évaluation de nouveaux médicaments efficaces.

Une interaction structurée avec des patients de tous les groupes d'âges et atteints de diverses conditions, ainsi qu'avec leurs représentants et autres parties prenantes, est nécessaire et permet un échange d'informations et un dialogue constructif aux niveaux national et européen lorsque les points de vue d'utilisateurs de médicaments peuvent et doivent être pris en considération. Il est important de prendre en compte le fait que les systèmes de santé ainsi que les pratiques et la législation peuvent différer.

Nous recommandons une coopération et un partenariat étroits entre les diverses parties prenantes, dont les organisations de professionnels de santé, les organisations de recherche de contrat, les organisations de patients et de consommateurs\*, le milieu universitaire, les sociétés scientifiques et universitaires, les autorités réglementaires et les organismes d'évaluation des technologies de la santé (ETS) ainsi que le secteur pharmaceutique. L'expérience démontre à ce jour que l'implication de patients a entraîné un accroissement de la transparence, de la confiance et du respect mutuel entre eux et les autres parties prenantes.

Il est reconnu que la contribution des patients à la recherche, au développement et à l'évaluation de médicaments

enrichit la qualité des preuves et des avis disponibles.<sup>[1]</sup>

Des codes de pratique existants pour l'implication des patients avec diverses parties prenantes ne couvrent pas globalement l'ensemble de la portée de la recherche et du développement (R&D). Les documents de recommandations d'EUPATI visent à prendre en charge l'intégration de l'implication des patients tout au long du processus de recherche et de développement des médicaments.

EUPATI a développé ces documents de recommandations pour toutes les parties prenantes cherchant à interagir avec des patients dans la recherche et le développement des médicaments (R&D). Les utilisateurs peuvent s'écarter de ces recommandations du fait de circonstances spécifiques, d'une législation nationale ou de besoins uniques de chaque interaction. Ces recommandations doivent être adaptées pour des exigences individuelles s'appuyant sur le meilleur jugement professionnel.

Il y a quatre documents de recommandations distincts abordant l'implication des patients dans les domaines suivants :

- R&D de médicaments dirigée par les professionnels du domaine pharmaceutique
- Comités d'éthique
- Autorités réglementaires
- Évaluation des technologies de santé (ETS)

Chaque recommandation suggère des domaines offrant actuellement des opportunités d'implication des patients. Ces recommandations doivent être régulièrement analysées et revues pour refléter l'évolution.

**Ces recommandations couvrent l'implication des patients dans la R&D des médicaments dirigée par les professionnels.**

Les valeurs suivantes sont reconnues dans les recommandations et mises en œuvre via l'adoption des pratiques de travail

suggérées (section 7). Ces valeurs sont les suivantes :

Pertinence	Les patients ont des connaissances, des points de vue et des expériences qui sont uniques et contribuent à la preuve essentielle pour la recherche et le développement guidés par des professionnels.
Équité	Les patients disposent des mêmes droits que les autres parties prenantes en matière de contribution au processus de R&D des médicaments et ils ont accès à des connaissances et à des expériences qui permettent une implication efficace.
Équité	L'implication des patients dans la R&D des médicaments contribue à l'équité en cherchant à comprendre les divers besoins de patients présentant des problèmes de santé spécifiques, en fonction des exigences du secteur.
Renforcement des capacités	Les processus d'implication des patients gèrent les barrières concernant l'implication de patients dans la R&D des médicaments et le renforcement de la capacité des patients et des organisations de recherche à collaborer.

Toutes les recommandations développées par la suite doivent se conformer à la législation nationale couvrant les interactions comme indiqué dans les quatre documents de recommandations d'EUPATI.

# Clause d'exclusion de responsabilité

EUPATI a développé ces recommandations pour toutes les parties prenantes cherchant à interagir avec des patients dans la recherche et le développement des médicaments (R&D) tout au long du cycle de vie de R&D des médicaments.

Ces documents de recommandations ne visent pas à être normatifs et ne fourniront pas de conseils détaillés.

Ces recommandations devraient être utilisées du fait de circonstances spécifiques, d'une législation nationale ou de besoins uniques de chaque interaction. Ces recommandations doivent être adaptées pour des exigences individuelles s'appuyant sur le meilleur jugement professionnel.

Si ces recommandations offrent des conseils sur des conditions légales, elles ne sont pas proposées comme interprétation légale définitive et ne remplacent pas un conseil juridique formel. Si un conseil formel est requis, les parties prenantes impliquées doivent consulter leur service juridique respectif le cas échéant, ou demander un conseil juridique auprès de sources compétentes.

EUPATI ne sera en aucun cas responsable de tout résultat, de quelque nature que ce soit, provenant de l'utilisation de ces recommandations.

Le projet EUPATI a reçu le soutien du programme IMI2 JU (Innovative Medicines Initiative Joint Undertaking) dans le cadre de l'accord de subvention n°115334, dont les ressources se composent d'une contribution financière du septième programme-cadre de l'Union Européenne (FP7/2007-2013) et d'entreprises membres de l'EFPIA.

# Présentation de l'implication des patients dans la R&D des médicaments dirigée par les professionnels

L'importance et les avantages d'une meilleure implication des patients dans la recherche et le développement (R&D) des médicaments sont communément reconnus. Un appel à l'action commun à un partenariat avec les patients dans le développement et le cycle de vie des médicaments a été émis par de nombreuses grandes sociétés pharmaceutiques[2]. De même, la communauté des patients appelle depuis de nombreuses années les sociétés à impliquer les patients dans la R&D des médicaments dès les premières étapes.

Il existe un mouvement à l'échelle de l'industrie en faveur d'une orientation patient, avec la création du PCORI (Patient-Centered Outcomes Research Institute), de l'initiative PFDD (Patient-Focused Drug Development) de la FDA, de l'initiative CTTI (Clinical Trials Transformation Initiative) et de la coalition PFMD (Patient Focused Medicine Development). En Europe, EUPATI et d'autres projets de l'IMI sont à la tête d'activités visant à généraliser l'implication des patients dans la R&D au-delà d'indications spécifiques. Une plus grande implication des patients peut offrir de nombreux avantages pour toutes les parties impliquées, y compris l'identification et la compréhension de besoins non satisfaits, de priorités de recherche, d'optimisation de la conception d'étude clinique, ainsi que du développement d'indicateurs de résultats et de mesures de résultats. Toute interaction devrait viser à améliorer la R&D des médicaments en intégrant les priorités et les besoins des patients.

Le besoin d'une recommandation claire sur l'implication des

patients dans la R&D guidée par les professionnels et d'une interaction entre les patients et l'industrie se fonde sur les éléments suivants :

- Les codes de conduite existants (voir Annexe 1) ne décrivent pas clairement l'implication de patients dans la R&D guidée par les professionnels, à l'exception de déclarations plus générales applicables à l'interaction.
- Il existe un manque en termes de recommandations globales sur l'interaction significative et éthique
- Les patients et les organisations de patients devraient être impliqués proactivement et longitudinalement, particulièrement au cours des premières étapes de recherche, de développement et post-approbation d'un médicament, et l'interaction ne devrait pas être limitée au développement clinique
- Le langage doit être plus directif concernant l'implication des patients avec une affirmation par défaut claire indiquant que l'interaction est autorisée sauf si elle est expressément interdite, et alliant également un accord détaillé sur la manière dont les activités devraient être menées.
- Toutes les interactions avec les patients doivent être menées de manière professionnelle, éthique et sans but promotionnel (en fonction des réglementations locales).

## **Champ d'application**

Ces recommandations européennes couvrent l'interaction entre les patients et le secteur pharmaceutique tout au long du cycle de vie de R&D des médicaments à usage humain. Ces recommandations européennes s'appliquent à toutes les fonctions dans la R&D de l'industrie sur l'implication des patients tout au long du cycle de vie de R&D des médicaments. Cela s'applique aux activités avant approbation et après marketing, impliquant des individus et des groupes de

patients. . Le terme « Patients » peut faire référence à des patients individuels ou à leurs soignants ou encore à des représentants d'organisations de patients offrant une expertise pertinente (section 5). Voir Figure 1 qui indique dans quels domaines les patients peuvent actuellement être impliqués. Cela ne vise cependant pas à limiter l'implication et ces opportunités peuvent changer et se développer avec le temps.

Toutes les activités devraient correspondre aux législations nationales et de l'UE en vigueur couvrant l'industrie pharmaceutique et l'interaction avec le public. En outre, les sociétés devraient suivre leurs propres procédures internes.

## **Définition du terme « patient »**

Le terme « patient » est souvent utilisé de manière générale et imprécise, ne reflétant pas les différents types d'entrées et l'expérience requise des patients, des défenseurs des patients et des organisations de patients dans différents processus de collaboration.

Afin de clarifier la terminologie pour de potentiels rôles d'interaction patient présentés dans ces documents de recommandations et d'autres rédigés par EUPATI, nous utilisons le terme « patient » qui couvre les définitions suivantes :

- Les « patients individuels » sont des individus ayant une expérience personnelle de vie avec une maladie. Ils peuvent avoir ou non des connaissances techniques en R&D ou des processus de réglementation, mais leur rôle principal vise à apporter leur contribution avec leur expérience subjective de la maladie et du traitement.
- Les « soignants » sont des personnes prenant en charge



des patients individuels, telles que les membres de la famille ainsi que les aidants rémunérés ou volontaires.

- Les « défenseurs des patients » sont des personnes s'appuyant sur la connaissance et l'expérience du soutien d'une plus large population de patients vivant avec une maladie spécifique. Ils peuvent être affiliés, ou non, à une organisation.
- Les « représentants d'organisations de patients » sont des personnes qui sont mandatées pour représenter et exprimer les points de vue collectifs d'une organisation de patients sur un domaine thérapeutique ou une question spécifique.
- Les « experts de patients », en plus d'une expertise spécifique à la maladie, ont la connaissance technique dans la R&D et/ou les affaires réglementaires via la formation ou l'expérience, par exemple des membres d'EUPATI qui ont été formés par EUPATI sur l'éventail complet de la R&D des médicaments.

Du fait que l'intervention de patients individuels sera subjective et ouverte à des critiques, il peut y avoir des réserves quant à leur implication dans des activités en collaboration avec des parties prenantes. Néanmoins, EUPATI, conformément aux autorités réglementaires, insuffle la valeur d'équité en n'excluant pas l'implication d'individus. Le choix de la représentation de patient la plus adéquate concernant le type de patient en fonction de l'activité (voir section 7) doit être laissé à la discrétion de l'organisation ou des organisations ayant pris l'initiative de l'interaction. Lorsqu'un patient individuel sera impliqué, il est recommandé que l'organisation de patients pertinente, le cas échéant, soit informée et/ou consultée, pour apporter un soutien et/ou un conseil.

Le type de participation et d'obligation de la personne impliquée doit être convenu dans tout processus collaboratif avant l'implication.

# Transparence

Pour améliorer la transparence de l'implication des patients dans la R&D des médicaments guidée par les professionnels, les sociétés et les organisations de patients doivent, lorsqu'elles y sont autorisées, révéler chaque année publiquement sur leurs sites web leurs activités en collaboration. Les noms de patients individuels et autres informations de santé protégées ne doivent pas être révélés.

Dans certains secteurs, le nombre d'individus ayant de l'expérience et des connaissances peut être réduit. Cela ne doit pas empêcher la consultation et l'utilisation de ces connaissances via des interactions parallèles avec d'autres parties intéressées (autorités de réglementation et autres sociétés pharmaceutiques, par exemple), néanmoins ces interactions doivent être révélées.

## Pratiques de travail suggérées

Encourager et établir des partenariats à long terme entre des patients, des organisations de patients et l'industrie est la meilleure approche pour offrir des avantages à toutes les parties et elle doit être encouragée tout en respectant l'indépendance des patients/organisations de patients et d'autres conditions établies dans les codes de conduite existants qui trouveraient leur représentation dans des procédures de fonctionnement transparentes et solides. Il est néanmoins reconnu que le développement de la relation peut commencer par des interactions adaptées aux circonstances afin de satisfaire des besoins à court terme, mais idéalement une transition doit s'opérer vers des interactions plus fréquentes à mesure que des partenariats sont établis.

Une

**coordination interfonctionnelle interne** dans chaque société pharmaceutique pour l'implication des patients serait très bénéfique pour toutes les parties concernées, avec un rôle de liaison défini.

Des discussions devraient avoir lieu avant l'implication afin de garantir une préparation adéquate et une interaction mutuellement bénéfique. Des détails spécifiques concernant l'interaction y compris la portée, le type d'interaction, les exigences des ressources et les délais doivent être convenus entre les patients, les représentants des patients et l'industrie avant le début de l'interaction et définis dans un accord écrit.

## **Définition de l'interaction**

Les patients, les représentants des patients et l'industrie doivent s'assurer de garantir la pertinence des interactions en définissant clairement des processus et des actions, au fil du temps. En outre, tous les participants doivent être préparés pour l'interaction.

Avant chaque interaction, un accord mutuel doit être établi sur les éléments suivants (le cas échéant) :

- L'objectif du projet impliquant des patients et/ou des secteurs d'intérêt commun pour établir une interaction structurée convenue, en fournissant à toutes les parties la protection nécessaire concernant l'indépendance, le secret, la confidentialité et les attentes (voir section 11, accord écrit)
- Le type d'intervention et d'obligation de la personne impliquée
- Les outils et les méthodes d'interaction, par ex. types et fréquence de rencontres, règles de base, résolution de conflit, évaluation

- Organisation partenaire patient/patient souhaité pour favoriser des partenariats de travail sur le long terme, avec l'indépendance assurée (dans le contexte)
- Profil du type de patient(s) ou de représentant(s) de patients devant être impliqué ainsi que leur nombre
- Manière dont les résultats d'activité seront utilisés et propriété des résultats
- Manière dont le ou les patients impliqués seront informés des résultats, et moment
- Termes et conditions du contrat, y compris consentement et indemnisation (voir section 11, accord écrit).
- Autres éléments en fonction de la spécificité du projet

## **Identification patient/interaction**

Il existe de nombreuses manières d'identifier des patients devant être impliqués dans une interaction. Les voies d'accès principales sont les suivantes :

- Organisations de patients existantes
- EUPATI ou projet similaire
- Publicité autour d'opportunités de participation des patients
- Relations existantes avec des prestataires de soins de santé, des hôpitaux et des chercheurs et d'autres agences
- Demandes non sollicitées soumises au préalable par des parties intéressées
- Groupes/Comités consultatifs existants (par ex. Think Tank EFPIA, Patients and Consumers Working Party à l'EMA)
- Agences tierces

# Compensation

Il faut reconnaître que globalement les patients impliqués dans des activités le font volontairement, soit à titre individuel, soit en tant que membre d'une organisation. Il faut donc prendre en considération les éléments suivants :

- Indemniser le total du temps investi plus les dépenses.
  - Toute indemnisation proposée doit être juste et appropriée en fonction du type d'implication. Idéalement, les coûts de trajet doivent être payés directement par le partenaire en charge de l'organisation au lieu d'être remboursés.
- Il convient également d'envisager de couvrir les coûts encourus par les organisations de patients au moment de l'identification ou de la prise en charge de patients pour l'implication dans des activités (à savoir, groupes de soutien par les pairs, formation et préparation).
- Aider à l'organisation de la logistique de la participation des patients, y compris les déplacements et/ou les logements.

L'indemnisation inclut également des avantages indirects en nature (par exemple, l'organisation de patients fournit des services gratuitement) ou tous autres avantages non financiers en nature fournis au patient/à l'organisation de patients (comme des sessions de formation, des services d'agence, la configuration de sites web).

Toutes les parties doivent être transparentes concernant tous les accords d'indemnisation.

## Accord écrit

Au minimum, un accord écrit doit définir clairement les éléments suivants : une description de l'activité et de ses

objectifs, la nature de l'interaction pendant l'activité, le consentement (le cas échéant), la publication, la confidentialité, l'indemnisation, la confidentialité des données, la conformité, la déclaration de conflit d'intérêts, les délais. L'interaction ne pourra se poursuivre que sur la base d'un accord écrit qui établit au minimum les éléments fondamentaux de la collaboration (par ex., règles d'engagement, conformité, propriété intellectuelle, versements financiers).

Il convient de veiller à ce que les accords écrits soient clairs et ne limitent pas le partage de connaissance adéquat.

## **Événements et hospitalité**

La méthode d'interaction (rencontres, discussions téléphoniques, etc.) doit être discutée et convenue mutuellement, la commodité pour les patients/organisations de patients étant la priorité. Si l'interaction requiert des rencontres en personne, ou le développement et la fourniture d'événements, ils doivent respecter les codes de conduite, la législation locale, en termes de lieu/d'emplacement adéquat et du niveau d'hospitalité fourni.

Lorsque des événements sont organisés, la capacité à se présenter de tout public de patients visé doit être prise en considération en entreprenant des mesures adéquates pour permettre l'accessibilité, une aide pour le déplacement et l'accès à l'événement.

## **Annexe 1 – Codes de pratique revus**

Un certain nombre de codes reconnus pourraient fournir une base importante pour ce document de recommandations.

1. Le protocole ECAB (description et procédures de fonctionnement de l'ECAB (European Community Advisory Board, groupe de travail scientifique à l'EATG, établi en 1997))
2. Les obligations, les objectifs et les règles de procédures pour le groupe de travail des comités scientifiques sur l'usage humain de l'Agence européenne des médicaments avec les organisations de patients et de consommateurs (PCWP) (30 mai 2013)
3. Les comptes rendus des réunions du groupe de travail des comités scientifiques sur l'usage humain de l'EMA avec des organisations de patients et de consommateurs (PCWP) avec toutes les organisations admissibles (31 janvier 2014)
4. Article de réflexion du 10 décembre 2009 de l'EMA sur la poursuite de l'implication des patients et des consommateurs dans les activités de l'agence
5. Dépliant de l'EMA sur le travail avec les patients et les consommateurs (mise à jour : 22/4/2015)
6. Cadre d'interaction de l'EMA (révision : 16 octobre 2014)
7. Recommandations de la réunion de l'ECAB qui s'est tenue à Bergen, Norvège, en 1997 ECAB EATG, « The impatient Patient - From Anger to Activism » Un examen systématique de l'histoire, des modèles de travail, de l'importance et des perspectives du Conseil consultatif de la Communauté européenne
8. Programme du représentant des patients de la FDA
9. FDA Patient-Focused Drug Development; The Voice of the Patient : une série de rapport liés à l'initiative de développement de médicaments destinée aux patients de la FDA
10. FDA Patient-Focused Drug Development: Enhancing Benefit-Risk Assessment in Regulatory Decision-Making
11. Déclaration d'Helsinki WMA - Principes éthiques de la recherche médicale impliquant des sujets humains  
Retrieved 13 July, 2021, from

<https://www.wma.net/policies-post/wma-declaration-of-helsinki-ethical-principles-for-medical-research-involving-human-subjects/>

## [glossary\_exclude]Références

1. Adapted from the EMA framework. European Medicines Agency (2022). *EMA/649909/2021 Adopted*. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/engagement-framework-european-medicines-agency-and-patients-consumers-and-their-organisations\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/engagement-framework-european-medicines-agency-and-patients-consumers-and-their-organisations_en.pdf). Last Accessed 12 February 2024.
2. Hoos A, Anderson J, Boutin M, et al. 2015, Partnering with patients in the development and lifecycle of medicines: a call for action. Therapeutic Innovation & Regulatory Science.[/glossary\_exclude]

\*Consumers are recognised as stakeholders in the healthcare dialogue. The scope of EUPATI focuses on patients rather than consumers this is reflected in the educational material and guidance documents.

## Annexes