

La perspective patient dans l'évaluation du médicament – expériences du CSÉMI

STÉPHANE P. AHERN, M.A., M.D, PH.D.
PRÉSIDENT
COMITÉ SCIENTIFIQUE DE L'ÉVALUATION DES
MÉDICAMENTS AUX FINS D'INSCRIPTION, INESSS

Déclaration d'intérêts

- Aucune subvention de l'Industrie
- Professeur agrégé de clinique, UdeM
- Chef, Département de médecine spécialisée, CIUSSS de l'Est de l'île de Montréal (CÉM TL)
- Président, CÉR, CÉM TL
- Président, Comité Scientifique d'Évaluation du Médicament en vue de l'Inscription, INESSS

Cette présentation représente l'avis de l'auteur et ne constitue pas une position officielle à titre de Président du CSÉMI

Objectifs

- Présenter l'expérience du Comité scientifique de l'inscription eu égard aux perspectives citoyen et patient
- Discuter d'une expérience particulière
- Discuter des limites des outils actuels de consultations
- Aborder l'enjeu épistémologique de la croisée des savoirs en valeur thérapeutique
- Mettre en exergue les défis de la délibération en situation d'incertitude et de perspectives multiples

Le CSÉMI

- Un comité composé de 15 à 20 membres d'horizons différents :
 - Des cliniciens (pharmaciens et médecins)
 - Un économiste de la santé
 - Un méthodologiste
 - Des personnes spécialisées en éthique
 - Des membres de la communauté
- Une expertise délibérative depuis 2012
- Réunion mensuelle des membres
- Évaluations de plus de 8 à 15 dossiers en 8 à 13h de réunions
- Une évaluation reposant sur l'appréciation de la valeur thérapeutique, de la justesse du prix, du rapport coût efficacité, des conséquences sur l'organisation ainsi que des enjeux éthiques et sociétaux

La valeur thérapeutique et la perspective patient : l'expérience du syndrome de Lennox-Gastaut



- Syndrome de Lennox-Gastaut :
 - épilepsie infantile grave réfractaire
 - 15-20 / 100 000 enfants (1% des cas d'épilepsie chez l'enfant)
 - Rx à l'étude : Banzel
 - Essai clinique randomisé aléatoire
 - 139 patients

Examen des données probantes pour établir le besoin de santé

Table 3 Summary of percentage change in frequency of primary end point seizure types per 28 days relative to baseline*

Seizure type	Rufinamide		Placebo		p Value
	n*	Median (range)	n*	Median (range)	
Total seizures					
Baseline frequency	74	290.0 (48.0-53,760.0)	64	205.0 (21.0-109,714.0)	
Double-blind frequency	74	204.1 (5.4-43,262.3)	64	205.4 (50.7-113,165.0)	
Percent change in frequency	74	-32.7 (-92.3-381.4)	64	-11.7 (-82.8-550.6)	0.0015
Tonic-atonic seizures†					
Baseline frequency	73	92.0 (5.0-14,304.0)	60	92.5 (1.0-13,122.0)	
Double-blind frequency	73	60.7 (0.0-12,036.1)	60	76.2 (0.0-17,500.0)	
Percent change in frequency	73	-42.5 (-100.0-1190.8)	60	1.4 (-100-709.6)	<0.0001

*Includes all intent-to-treat patients.

†Number of patients who experienced a given type of seizure during the baseline phase.

‡Sum of tonic and atonic seizures.

Les outils de consultations patients actuels – Limites

- Les questionnaires
- Les lettres de patients
- Les lettres des positions des Associations



Quel est l'outil idéal pour enrichir les connaissances disponibles?
Quel outil peut-il nous aider à mieux
comprendre cette expérience patient?
Pouvons-nous faire appel à des patients partenaires?
Comment relever le défi dans un contexte d'évaluation rapide?

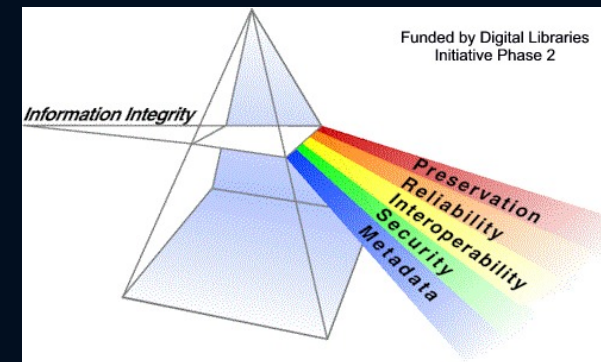
A la croisée des sciences!

Sciences biomédicales privilégient la méthode expérimentale: Essais cliniques / meilleur outil pour saisir l'activité biologique du Rx

Sciences sociales privilégient la recherche qualitative / meilleur outil pour saisir l'expérience du patient

+ sciences => + méthodes

Problème: comment intégrer ces résultats scientifiques



Au cœur d'une démarche scientifique rigoureuse dans laquelle on essaie de réduire les incertitudes, les biais et les conflits d'intérêts par une approche fondée sur la preuve, quel est le rôle réel de la perspective patient?

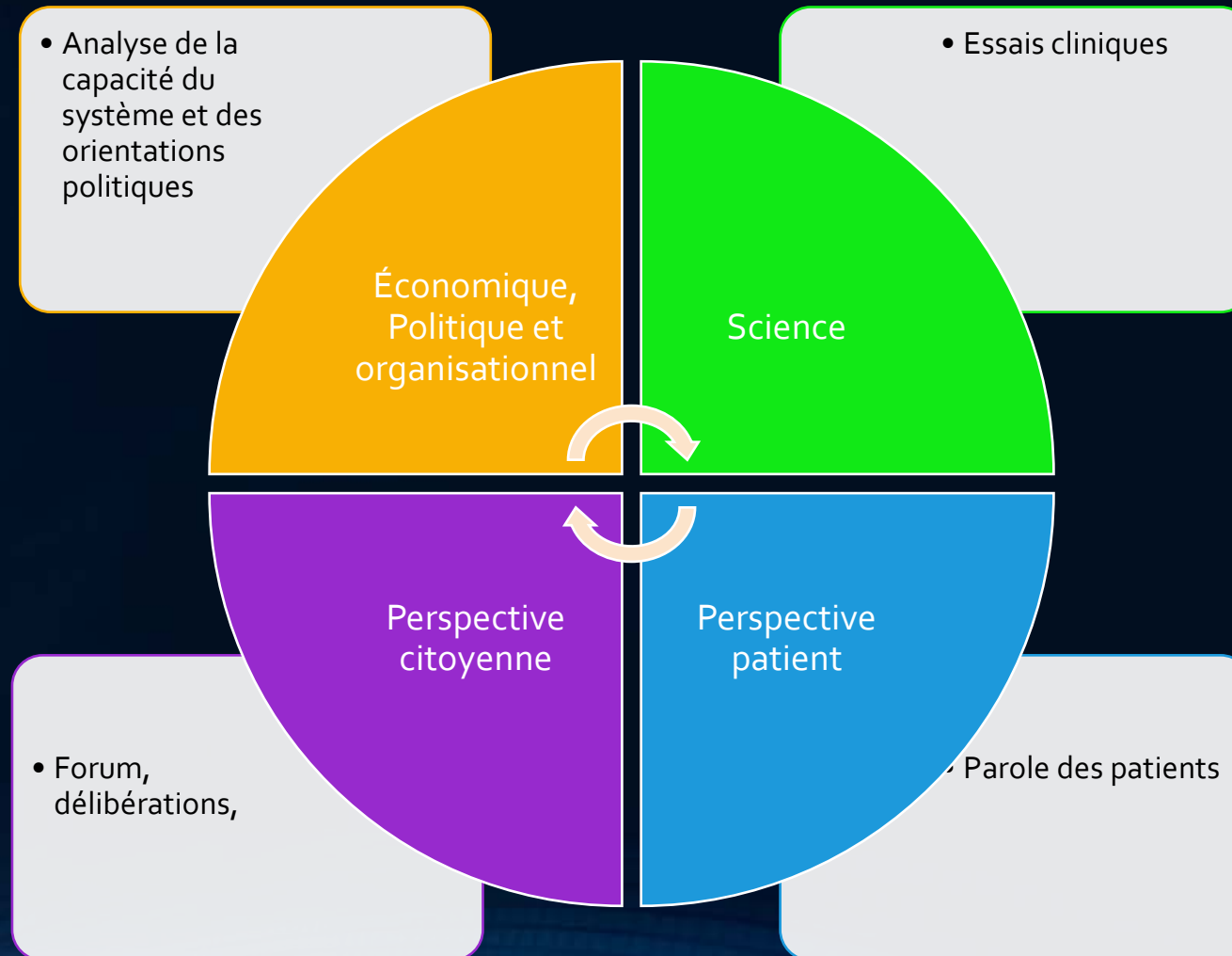
Comment pouvons-nous assurer que la perspective patient puisse apporter un éclairage constructif et novateur sur les analyses découlant fondée sur la preuve, lequel doit être exempt d'influences externes?

Quelles sont les conditions de crédibilité intersubjective de la parole du patient dans un processus d'évaluation des technologies médicamenteuses?

La perspective patient comme lecture critique du savoir technoscientifique

Repose sur des analyses pharmacoéconomiques et des modèles de prévisions budgétaires et d'analyses des politiques. Critères de scientificité et de rigueur propres
Inconfort des MD, etc.

Repose sur la capacité de générer un espace de parole où sont discutés les enjeux sociétaux et les valeurs à prioriser, dans une démarche raisonnable exempte de biais
Inconfort limité car conscience de l'enjeu démocratique



Critères de scientificité
Critères de rigueur
Critères d'objectivité

Critères classiques, bien connus, outils d'évaluation faisant consensus! Confort des MD etc.!!!

Approche visant à un partage intersubjectif (rencontre des subjectivités)
Histoire dont le narratif est crédible, compréhensible et fondé sur l'expérience, et l'histoire...

Délibération, incertitude, équité, justice

- La perspective patient peut enrichir et contextualiser l'évaluation scientifique des données probantes;
- La perspective patient n'échappe pas à critique à laquelle toutes les données reçues sont soumises.
- Comme toutes les données, la voix des patients sont reçues dans une perspective populationnelle. Les voix des patients sont multiples comme le sont les visages de la maladie et les représentations de la santé et de la maladie. Elles émergent des cultures, se manifestent à travers des croyances, des valeurs et des référents religieux; ces éléments sont des matériaux disponibles pour faire de la maladie une expérience qui a du sens pour l'individu.
- La perspective patient qui relève de l'individu ou du groupe uni par un mal particulier doit être intégrée dans la perspective citoyenne qui, à ce moment, devient la perspective des citoyens en santé ou aux prises avec des maladies diverses. Mais l'horizon citoyen s'élargit encore une fois pour accepter de tenir compte de la multiplicité des besoins sociaux.
- L'idéal d'une juste répartition des ressources ne peut ignorer l'efficacité (réelle ou escomptée en termes de résultat clinique) car elle vise le bien être collectif dans le respect des droits de tous les individus (en termes d'allocation des ressources pour les technologies les plus efficaces).

Perspectives de développement –

- Éduquer les patients sur les rôles qu'ils peuvent jouer dans l'évaluation
- Développer des outils qui ouvrent cet espace d'interprétation critique

Établir la valeur thérapeutique

- Développer des forums de réflexion, aux multiples visages pour rendre compte des expériences terrains et des priorités sociétales dans un respect des Chartes

Inclure la perspective citoyenne dans le jugement à propos de l'équité

- Créer des outils délibératifs permettant d'établir la validité intersubjective de différents propos et de les mettre en tension avec les données probantes en prenant acte des zones d'incertitude

Rendre une décision juste en prenant acte de l'incertitude, des droits individuels et du bien collectif

Les points clés

- Nous sommes encore aux premiers balbutiements d'une véritable prise en compte des perspectives patient et citoyenne;
- Ces deux perspectives doivent être considérées de façon distincte et exigent des processus consultatifs différents;
- L'inclusion de ces perspectives est une exigence éthique fondatrice majeure dans une perspective juste et équitable de l'allocation des ressources dans une société pluraliste avec un régime public;
- Les outils consultatifs doivent se parfaire avec le temps;
- Le développement de nouveaux outils évaluatifs et délibératifs est requis pour rendre compte de ces perspectives afin d'assurer le caractère raisonnable de la décision publique en respect des différents types de savoirs mis à contribution.

La vitesse des évaluations est un frein majeur

Remerciements

Au Professeur Bernard Keating pour la révision préliminaire de cette présentation et sa bonification.

Pour toute communication, stephane.ahern@umontreal.ca