

Expérience Patient du Parcours Mucoviscidose ExPaParM – AAP Général 2018

Pr Pierre LOMBRAIL : pierre.lombrail@univ-paris13.fr
LEPS UR3412 - Université Sorbonne Paris Nord

Septembre 2024

Soutenu par : IReSP ; *Extension COVID financée par la Fondation Maladies Rares (AAP SHS8).*

Résumé (1 page)

[Expérience Patient des parcours Mucoviscidose]

Pr Pierre LOMBRIL : pierre.lombrail@univ-paris13.fr ; LEPS UR3412 - USPN

Mme Dominique POUGHEON (PhD) : dominique.pougheon-bertrand@univ-paris13.fr ; LEPS UR3412 – USPN

CONTEXTE

Le parcours de soins mucoviscidose est structuré et coordonné par les centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM). Pour évaluer la qualité du parcours patient, l'expérience patient permet d'associer des éléments objectifs et subjectifs de son vécu.

OBJECTIFS

L'étude vise à caractériser l'expérience patient le long du parcours de soins, de santé et de vie avec la mucoviscidose, au CRCM, à l'hôpital, en ville et en autonomie. L'objectif est de construire un instrument de recueil de l'expérience patient applicable dans des situations de santé et de vie diversifiées, interrogeant les parcours pédiatrique, des adultes et des adultes transplantés.

MÉTHODOLOGIE : Recherche qualitative collaborative

Associant professionnels de santé, chercheurs et communauté de patients, la méthode permet d'explorer les dimensions cliniques, soignantes et expérientielles du vécu des patients. Un groupe de recherche est constitué incluant des patients et parents d'enfants comme co-chercheurs et des professionnels des CRCM. Les patients et parents co-chercheurs sont formés à la recherche qualitative. Un échantillon de patients est recruté par les CRCM, représentant une grande variété de parcours. Des entretiens semi-directifs sont menés et analysés en tandem chercheur / co-chercheur et codés dans le logiciel N'VIVO. Des thèmes et sous-thèmes sont dégagés pour chaque étape du parcours et chaque population (pédiatrique, adultes et adultes transplantés). Des questions sont élaborées dans chaque thématique avec des occurrences de réponses fermées ou ouvertes et des filtres pour l'administration du questionnaire en fonction des caractéristiques et des réponses des patients enquêtés. La validation de construit est menée auprès de l'échantillon d'étude au regard de l'intelligibilité, de l'utilité et de la pertinence de l'instrument pour décrire son parcours.

PRINCIPAUX RÉSULTATS

Soixante-sept patients et parents ont été recrutés par 11 CRCM en France. L'analyse a débouché sur un cadre conceptuel de l'expérience patient des parcours de soins, de santé et de vie avec la mucoviscidose. Le nombre de patients inclus et la diversité des situations ont permis d'élaborer trois questionnaires dans le logiciel Lime Survey. La validation de construit a conclu à la pertinence et l'intelligibilité des questionnaires, en soulignant leur longueur.

APPORTS OU IMPACTS POTENTIELS

Au cours de diverses communications scientifiques, la demande a été formulée de pouvoir disposer dès que possible des questionnaires d'expérience patient dans les CRCM et à l'association de patients, pour connaître et améliorer les parcours des patients. Le projet de recherche-action participative ExPaParM-ACTION a été conçu par les partenaires pour tester l'implémentation et l'utilité des outils dans des terrains d'étude représentant des cas d'étude diversifiés. Ce projet a été soumis et retenu pour un financement dans le cadre de l'AAP ANR-SAPS-RP1 2022.

Abstract

[Patient experience of Cystic Fibrosis pathways]

Pr Pierre LOMBRAIL : pierre.lombrail@univ-paris13.fr ; LEPS UR3412 - USPN

Mme Dominique POUGHEON (PhD) : dominique.pougheon-bertrand@univ-paris13.fr ; LEPS UR3412 – USPN

CONTEXT

The cystic fibrosis care pathway is structured and coordinated by the Cystic Fibrosis Centers (CFC). To assess the quality of the patient pathway, the patient experience is used to combine objective and subjective elements of the patient's experience.

OBJECTIVES

The aim of the study is to characterize the patient's experience of care, health and life with cystic fibrosis, at the CFC, in hospital, in the community and in autonomy. The aim is to build an instrument for collecting patient experience that can be applied in a wide range of health and life situations, covering the pediatric, adult and transplant pathways.

METHODS

Bringing together healthcare professionals, researchers and the patient community, the method explores the clinical, caregiving and experiential dimensions of patients' experiences. A research group is formed, including patients and parents of children as co-researchers, and healthcare professionals. Patient and parent co-researchers are trained in qualitative research. A sample of patients is recruited by the CRCMs, representing a wide variety of health and life situations. Semi-structured interviews are conducted and analyzed in tandem with the researcher/co-researcher, and coded using N'VIVO software. Themes and sub-themes are identified for each stage of the pathway and each population (pediatric, adult and adult transplant patients). Questions are developed for each theme, with closed- or open-ended responses and filters for administering the questionnaire according to the characteristics and responses of the patients surveyed. Construct validation is carried out with the study sample, to assess the intelligibility, usefulness and relevance of the instrument in describing their experience.

MAIN RESULTS

Sixty-seven patients and parents were recruited from 11 CRCMs in France. The analysis resulted in a conceptual framework of the patient experience of care, health and life with cystic fibrosis. The number of patients the diversity of situations included, enabled three questionnaires to be developed using Lime Survey software. Construct validation concluded that the questionnaires were relevant and intelligible, while highlighting their length.

OUTCOMES OR POTENTIAL IMPACTS

Following a number of scientific communications, the CF community has called for patient experience questionnaires to be made available as soon as possible to CFCs and the patient association, in order to gain insight into and improve patient pathways. The ExPaParM-ACTION participatory action-research project was designed by the stakeholders to test the implementation and usefulness of the instrument in study sites representing a variety of case studies. This project has been submitted and selected for funding under the AAP ANR-SAPS-RP1 2022.

Synthèse longue

Messages clés du projet

1. **La démarche de recherche collaborative** associant patients et professionnels de santé aux chercheurs académiques a conduit à **une acception large du concept d'expérience patient**, au-delà du périmètre habituel des questions d'expérience patient proposées dans les organisations de soins. L'instrument explore ainsi les éléments du parcours de soins jusqu'au domicile du patient, mettant l'accent sur la coordination du parcours et l'éducation thérapeutique du patient. Au-delà du parcours de soins, il explore également les comportements du patient sur des aspects de prévention recommandés dans cette pathologie, comme l'hygiène à domicile, l'alimentation hypercalorique et l'activité physique adaptée en fonction de l'état respiratoire du patient. Enfin, l'instrument recense les aspects de la vie avec la maladie déterminants pour la santé physique, psychologique et sociale des patients, tels que : les conditions du logement (pour réaliser les soins à domicile ou la salubrité) ; les conditions de scolarité et d'études ; les conditions d'emploi et les aménagements au travail ; l'obtention des droits sociaux et l'impact sur les revenus des patients et leur autonomie vis-à-vis des membres de la famille (parents, conjoints) ; ainsi que la charge mentale associée aux soins ou aux conditions de vie associées à l'insécurité.
2. **L'implication des patients et de parents comme co-chercheurs** dans le projet de recherche, avec une formation soutenue à la recherche qualitative, leur a permis une participation effective et des **contributions décisives à la recherche**. Concrètement, la rédaction du protocole a intégré leurs apports à travers : les critères d'inclusion de la population d'étude reflétant la diversité des situations de santé et de vie ; des guides d'entretiens adaptés à ces situations et intelligibles pour les participants ; la réalisation en solo d'entretiens auprès de la population d'étude ; les analyses en tandem chercheur/ co-chercheur mettant en lumière des aspects essentiels du vécu des participants ; la participation aux communications orales dans les congrès etc... Certains co-chercheurs ont souligné l'apport pour eux-mêmes de leur participation à la recherche et leur volonté de continuer à s'impliquer dans de nouveaux projets.
3. Le projet de recherche a mis en évidence la nécessité de disposer d'un environnement informatique et **d'un système d'information dédié au recueil et à l'analyse de l'expérience patient mucoviscidose**, sécurisé et ergonomique, offrant un accompagnement de « data management » aux équipes soignantes ou associatives désirant recueillir l'expérience patient et l'analyser pour améliorer leurs pratiques. Ces conditions de mise en œuvre sont testées dans le projet de recherche actuellement mis en œuvre, ExPaParM-ACTION. A défaut, le recueil de l'expérience patient risque de ne se concrétiser qu'à travers une succession d'études qualitatives non généralisables et de peu d'impact réel sur les pratiques des professionnels.

Cette synthèse longue doit comporter entre **10 et 15 pages**.

Contexte et Objectifs du projet

Le projet de recherche concerne la filière maladie rare mucoviscidose (MUCO-CFTR). Cette maladie génétique rare bénéficie du dépistage néonatal systématique (DNS) en France depuis 2002 et la prise en charge des patients est organisée au sein de 47 centres de ressources et de compétences (CRCM) pédiatriques, pour adultes ou mixtes. Les patients diagnostiqués suite au DNS sont référés à un CRCM pédiatrique et entrent dans un parcours de soins coordonné par le CRCM qui les mènera ensuite vers un CRCM adultes autour de 18-19 ans puis, en cas de forte dégradation de leur état respiratoire, vers un centre de transplantation pulmonaire. Le cahier des charges des CRCM définit leurs missions et les ressources multidisciplinaires nécessaires (médecins, kinésithérapeutes, infirmiers, psychologues, diététiciennes, assistantes sociales) pour assurer la continuité et la coordination du parcours de soins des patients depuis la confirmation du diagnostic après dépistage néo-natal ou plus rarement sur symptômes évocateurs en prenant en compte tout à la fois les conséquences physiques, psychologiques, scolaires/professionnelles et sociales de la maladie. Selon les données 2021 du Registre, la mucoviscidose concerne environ 7500 patients en France dont presque 62% d'adultes et 955 personnes, parmi ces adultes, vivent avec un greffon pulmonaire. La filière a été structurée par les plans nationaux maladies rares successifs (PNMR1-2-3) autour d'un centre de référence multi-sites, coordonné par le CRCM adultes de Cochin (AP-HP). Elle est animée par le CRCM adulte de Lyon (HCL). L'association Vaincre la Mucoviscidose fait partie intégrante de la filière MUCO-CFTR et plusieurs instances de gouvernance communes ont été créées pour coordonner des actions nationales entre les représentants des professionnels des CRCM et les représentants des patients (Conseil National de la Mucoviscidose, Conseil Médical de la Mucoviscidose).

Entre 2011 et 2019 un programme d'amélioration de la qualité des soins (PHARE-M) a été déployé en France dans 27 CRCM volontaires, par le centre de référence précédemment labellisé (CHU Nantes) en collaboration avec l'association Vaincre la Mucoviscidose. Ce programme répondait au constat d'une variété d'organisations et de pratiques dans les CRCM, malgré un cahier des charges national, et des différences de résultats de santé des patients entre les centres, selon les données annuelles du Registre. Ce programme a été transposé du Quality Improvement Program développé par le Dartmouth Institute et déployé par l'US Cystic Fibrosis Foundation dans le réseau des centres spécialisés aux USA, en intégrant les spécificités du modèle de soins français¹. Un projet de recherche (PRePS 2012) a permis d'évaluer les effets du PHARE-M, selon un design mixte d'évaluation des interventions complexes², notamment la participation de patients et de parents d'enfants malades à l'amélioration de la qualité des soins dans les CRCM. Le programme et les résultats du projet de recherche ont fait l'objet de plusieurs publications³ et d'une thèse de doctorat⁴ au Laboratoire Educations et Promotion de la Santé (LEPS-UR3412, Université Sorbonne Paris Nord).

Un focus group organisé lors des Journées Francophones de la Mucoviscidose en 2018 avec les patients et parents partenaires dans les CRCM ayant participé au programme qualité PHARE-M a mis en évidence le besoin d'appréhender le vécu d'un plus grand nombre de patients suivis dans les centres, afin de s'assurer que les difficultés rencontrées par des

publics variés soient mieux prises en compte pour la priorisation des actions d'amélioration au regard de l'équité des soins. Ces réflexions ont souligné la nécessité de disposer d'un instrument de recueil de l'expérience patient qui puisse rendre compte des parcours de soins et de vie du plus grand nombre de patients et être sensible aux changements d'organisation ou de pratiques dans les CRCM.

L'*expérience patient (EP)*, définie en 2014 par le Beryl Institute comme « *the sum of all interactions, shaped by an organization's culture, that influence patient perceptions, across the continuum of care* », est un concept récent encore peu outillé et diversement appréhendé dans le système de santé. Ce concept est ici entendu le long du continuum de soins selon le point de vue du patient ou du parent d'enfant malade.⁵ Partir du point de vue des patients nécessite d'interroger les variations de parcours liées à l'organisation des soins mais aussi à l'environnement et aux conditions socio-économiques des patients là où ils se trouvent, qui sont autant de déterminants de l'expérience du parcours de vie avec la maladie.⁶ L'EP porte ainsi une dimension de participation directe au sens où toute personne ayant vécu des interactions avec le système de santé, quel que soit son niveau de culture ou d'éducation, est légitime pour rapporter son expérience et les moyens de le faire doivent lui être accessibles ; en ce sens l'*expérience patient* s'inscrit dans le mouvement de la démocratie en santé, en informant la participation indirecte incarnée par les patients partenaires et les représentants de patients engagés pour l'amélioration du système de santé.⁷

C'est l'objet du projet de recherche ExPaParM soumis à l'appel à projet de l'IReSP et financé au titre de l'AAP Général 2018. Cette recherche collaborative a été portée par le Laboratoire Educations et Promotion de la Santé (LEPS, UR3412), en collaboration avec le Laboratoire HESPER (RESHAPE), associé à la Filière MUCO-CFTR. Associant dans le groupe de la recherche, à côté des chercheurs académiques, des professionnels de la filière et des patients et parents d'enfants malades formés à la recherche qualitative dans le cadre du projet, elle a permis de définir le cadre conceptuel de l'expérience patient du parcours mucoviscidose et de co-construire trois questionnaires d'expérience patient des parcours de soins et de vie, pour les trois publics : pédiatrique (parents d'enfants), adultes et adultes transplantés.

Méthodologie

L'étude qualitative a été menée de manière inductive⁸ auprès d'un échantillon de patients et de parents d'enfants mineurs. La méthodologie s'appuie sur une vision descriptive du parcours actuel (Fig. 1). Quatre sous-groupes de l'échantillon ont ainsi été identifiés au long du parcours mucoviscidose, pour le recrutement et les entretiens semi-directifs : les parents d'enfants malades de 0 (âge au diagnostic médian des nouveaux dépistés : 1,1 mois) à 15 ans, les adolescents entre 16 et 19 ans suivis en CRCM pédiatrique entrés dans le parcours de transition, les patients adultes non transplantés suivis en CRCM adultes et les patients adultes transplantés suivis en post-greffe en centre de transplantation.

La période retenue pour l'enquête auprès des patients et parents porte sur les 18 derniers mois, complétée par l'expérience des transitions survenues dans les 5 dernières années (Diagnostic, Transition Ado-Adulte, Greffe).

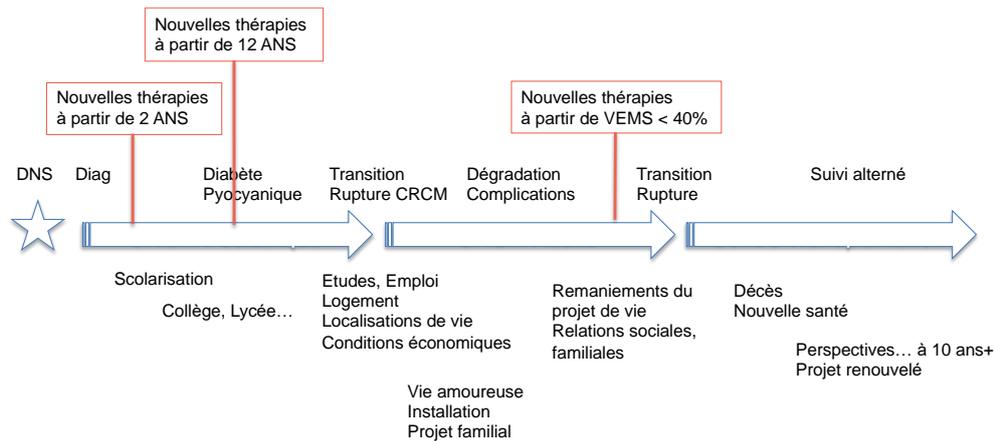


Figure 1 : Schéma du parcours mucoviscidose

Une recherche collaborative

Cette recherche est menée selon une approche collaborative⁹ associant des professionnels de santé, des chercheurs et des patients et parents d'enfants mineurs dans un groupe pluridisciplinaire de recherche, tous dénommés co-chercheurs. Les patients et parents ont été intégrés dans le groupe de recherche suite à un processus de recrutement organisé avec le concours de l'association Vaincre la Mucoviscidose sur Appel à Manifestation d'Intérêt dans les réseaux sociaux.

Design de l'étude

La recherche repose sur une approche qualitative à visée descriptive en quatre phases.

PHASE 1 : Mise en place de la recherche

1/ Constitution du groupe pluridisciplinaire de co-chercheurs en charge, tout au long du projet, des tâches suivantes : validation des outils du protocole, soumission au comité d'éthique, modalités d'analyse des données, synthèse des résultats, élaboration du questionnaire de PREM, valorisation de la recherche.

2/ Formation-action à la recherche des patients/parents co-chercheurs par les chercheurs du LEPS/USPN de Sorbonne Paris Nord.

Au cours de cette phase, les différentes **situations** rencontrées par les patients atteints de mucoviscidose ou leurs parents, le long des parcours pédiatrique et adultes ont été définies en fonction de différentes variables – état de santé, âge, situation vis-à-vis de la transplantation, déterminants socioculturels, territoire de vie (métropole ou hors métropole, ville ou campagne), type de centre du suivi du patient. Elles ont été traduites en **profils** de participants (Table 1) complétés de critères **sociodémographiques** pour assurer la représentativité des situations dans l'échantillon de participants (Table 2).

Table 1 : Liste des **profils**

Pédiatrie :

P1 = patient entre 0 et 5 ans

P2 = patient entre 6 et 11 ans

P3 = patient entre 12 et 15 ans

P4 = patient > 15 ans et < 18 ans (adolescents)

P5 = patient ayant changé de CRCM dans les deux dernières années

P6 = patient ayant bénéficié de nouvelle thérapie de la protéine

P7 = patient mineur diagnostiqué positif au COVID19

P8 = patient mineur dans le processus de transplantation pédiatrique

Adultes :

- P10 = patient arrivé au CRCM adulte suite à transition entre 18 et 22 ans
 P11 = patient à diagnostic tardif dans les 4 dernières années
 P12 = patient 22-26 ans stabilisé au CRCM
 P13 = patient avec des complications et une évolution vers un état sévère
 P14 = patient ayant une mobilité internationale >3mois dans les 3 dernières années
 P15 = patient ayant un projet de parentalité ou dans le processus de PMA
 P16 = patient ayant des enfants
 P17 = patient ayant bénéficié de nouvelle thérapie de la protéine
 P18 = patient adulte diagnostiqué positif au COVID19
 P19 = patient transplanté sans complications majeures
 P20 = patient transplanté avec des complications à long-terme de la transplantation

Table 2 : Critères sociodémographiques
Données géographiques

- Distance entre le domicile et le centre :
 0-5 km entre 5 et 20 km entre 20 et 50 km plus de 50km
- Temps d'accès (h, minutes) entre son domicile et le centre (*Heure, minutes*) :

Caractéristiques familiales

- Langue parlée dans la famille du patient enfant ou du patient adulte :
- Situation maritale du patient ou du parent répondant à l'enquête :
 célibataire marié ou en couple divorcé ou séparé veuf
- Nombre d'enfants au domicile :
- Fratrie mucoviscidose (*nombre d'enfants*) : ...
- Autre pathologie dans la famille (*citer la pathologie*) :

Caractéristiques socioprofessionnelles

- Situation professionnelle du patient ou du parent répondant à l'enquête :
 travailleur salarié sans activité professionnelle
 travailleur indépendant en invalidité
 étudiant retraité
- Catégorie socioprofessionnelle du patient ou du parent répondant à l'enquête :
 agriculteur ou exploitant profession intermédiaire
 artisan ou commerçant employé
 cadre ou profession intellectuelle supérieure ouvrier
 étudiant
- Niveau d'études du patient ou du parent répondant à l'enquête :
 aucun diplôme Licence (BAC+3)
 brevet des collèges Master (BAC+5)
 CAP-BEP Doctorat BAC+8)
 BAC-brevet professionnel

Critères spécifiques

- activité associative Autre :

3/ Rédaction du protocole détaillé de l'étude par le groupe des chercheurs et co-chercheurs, pour soumission et approbation par le comité d'évaluation éthique de l'INSERM avant recrutement de la population d'étude.¹⁰

Le protocole a été soumis au Comité d'Evaluation Ethique de l'INSERM et a reçu un avis favorable lors de la séance du 9 juin 2020. **Accord IRB n° IRB00003888 – Avis n°20-700.**

PHASE 2 : Recueil de l'expérience patient auprès des participants à l'étude

1/ **Définition des terrains d'investigation** : les CRCM ont été sollicités au regard des **profils** des participants et des caractéristiques de leur file active au regard des critères complémentaires, du fait de l'implantation géographique (métropole et La Réunion), de la zone de vie et des conditions sociales de leur patientèle.

2/ **Recrutement de la population d'étude** : le processus de recrutement a été présenté au médecin et à un soignant dans chaque centre associé. Une proposition des patients éligibles par profil a été réalisée par chaque équipe de CRCM. A réception de l'ensemble des listes, une harmonisation nationale a été réalisée par le coordinateur scientifique de la recherche afin d'assurer une représentation des critères sociodémographiques dans les différents profils.

3/ **Recueil des données de l'expérience patient** au cours d'entretiens conduits par les chercheurs académiques et par les patients ou parents co-chercheurs volontaires selon les guides d'entretiens définis en groupe de recherche, et ont été retranscrits verbatim. Les recrutements ont été complétés dans la liste proposée par les centres afin de maintenir la diversité des situations investiguées suite au désistement de certains participants et pour viser la saturation des données¹¹.

4/ **Analyse des entretiens selon une l'approche par théorisation ancrée**, menée en commun par les chercheurs académiques et les patients et parents du groupe de recherche¹². La codification dans le logiciel NVivo® de chaque entretien par un binôme chercheur-patient ou parent a permis d'identifier et agréger les unités de sens. L'approche progressive permet d'évaluer la saturation des données et d'ajuster, le cas échéant, le nombre d'entretiens nécessaires dans un profil de participants. La caractérisation des domaines et des thèmes de l'EP résulte de l'arbre de codage obtenu par profil de participants (parents, adolescents, adultes non transplantés et adultes transplantés). Les résultats des analyses des entretiens ont été partagés en réunion du groupe de recherche au complet incluant les professionnels soignants, afin de rendre compte de l'expérience patient des domaines liés aux soins et à la vie avec la maladie, ainsi que des grandes transitions du parcours.

5/ **Mise en perspective des résultats** avec les domaines et items de l'enquête *Patient and Family Experience of Care (PFEC)* menée aux USA^{13,14} afin d'examiner les similitudes et les différences avec les thèmes mis en évidence par notre recherche, qui peuvent être liées aux différences de prise en charge, de système de santé ou de méthodologie d'étude.

PHASE 3 : Construction du Questionnaire de recueil d'Expérience Patient

1/ **Elaboration du questionnaire de PREMs** sur la base des domaines et thèmes décrits en Phase 2, déclinés en questions avec un format de réponse adapté (réponse libre, échelle de réponse à chaque item - échelle de Likert 4 niveaux, ou liste ouverte de propositions), pour les 4 publics (parents d'enfants de moins de 15 ans, adolescents entre 15 et 18 ans, patients adultes non transplantés et patients transplantés). Le questionnaire à l'attention de chaque public est testé avec les patients et parents co-chercheurs, en vue de veiller à la pertinence et l'intelligibilité des termes utilisés et des formats de réponse. Le questionnaire comprend des items d'évaluation de son intelligibilité et de son utilité par les répondants. Un amendement au protocole a été obtenu auprès du comité d'évaluation éthique avant passation du questionnaire aux participants de l'étude.

2/ **Passation du Questionnaire** électronique développé dans le logiciel Lime Survey via un lien adressé par mail aux participants de l'étude. Les données recueillies seront analysées par le groupe de recherche et les résultats synthétisés mis à disposition des équipes des

CRCM partenaires. Cette étape est préliminaire à l'évaluation de la validité de construit du Questionnaire.

3/ **Mise en perspective du questionnaire avec des questionnaires utilisés** aux USA et en Europe pour mettre en évidence des convergences ainsi que des particularités du questionnaire français.

PHASE 4 : Validité de construit du Questionnaire

Cette phase vise à établir la **validité de construit** du Questionnaire selon des critères d'utilité et d'appropriation pour les différents publics de patients concernés grâce à des questions spécifiques portant sur des critères de qualité du questionnaire : utilité et fidélité pour décrire son propre parcours dans ses différentes dimensions, intelligibilité et longueur.

Principaux résultats obtenus

Inclusions

Le processus de recrutement selon les profils de participants a conduit à inclure 68 participants d'août 2020 à avril 2021 (Table 3) : 20 parents d'enfants < 15 ans, 11 adolescents entre 15 et 18 ans, 26 patients adultes non transplantés et 11 patients transplantés. Huit ont présenté un diagnostic positif à la COVID-19 au cours de l'étude.

Table 3: Nombre de patients inclus dans l'étude

CRCM Investigateur	# Patients interviewés (dont Ado ou Ad. TxP)	# Patients COVID+ interviewés
Lille Ped	3 (2)	1 TxP
Paris R. Debré	5 (3)	
Strasbourg Ped	5 (2)	
Saint-Pierre LR	5 (1)	
Rennes Ped	6 (1)	
Bordeaux Ped	3 (1)	
Grenoble Ped	4 (1)	
S/TOTAL Ped.	31 (11)	1
Lille Ad	9 (3)	2 TxP
Nantes Ad	12 (5)	2 Non TxP
Lyon Ad	7 (2)	1 Non TxP
Clermont-Ferrand	6 (1)	
Autres CRCM	2	2 Non TxP
S/TOTAL Adults	37 (11)	7
TOTAL	68	8

Collecte des données par entretiens

Compte-tenu des règles de distanciation au cours de la crise sanitaire et de la dispersion géographique des patients les entretiens, d'une durée moyenne d'environ 1h30, ont été réalisés par téléphone et enregistrés audio. Les 68 entretiens réalisés par les chercheurs et certains patients et parents co-chercheurs représentent 80 heures d'enregistrement pour une durée moyenne d'une heure et quart (Table 4).

Table 4 : Durée moyenne des entretiens

	total	Nombre	moyenne	mini	maxi
Pédiatrique	39:34:44	31	1:16:36	42'	2h07'
Adulte	44:37:00	37	1:12:21	27'	2h02'

Construction et validation de trois questionnaires d'expérience patient

Sur la base des analyses des entretiens et du codage des thèmes et sous-thèmes de l'expérience patient, trois questionnaires correspondant aux trois parcours pédiatrique, adultes et adultes transplantés ont été construits et validés (validation de construit) auprès de l'échantillon d'étude, dans le logiciel Lime Survey. L'évaluation de la qualité des questionnaires a confirmé l'utilité et la fidélité des questionnaires pour décrire les parcours des patients, ainsi que l'opportunité de réflexivité sur leur propre parcours, mais une longueur excessive en cas de passation de l'intégralité des questions en une seule fois. Ces résultats ont permis de formaliser le cadre conceptuel de l'expérience patient des parcours mucoviscidose.¹⁵

Communication

De nombreux outils d'information et de communication auprès de la communauté mucoviscidose ont été construits et partagés : ils sont présentés sur le site internet dédié au projet : <https://expaparm.muco-cftr.fr>

Des présentations dans divers colloques et congrès scientifiques ont été réalisées, en associant les patients ou parents co-chercheurs (cf § Valorisation).

Apports potentiels de ces résultats pour la communauté de recherche

Apports à la démocratie sanitaire :

Le mouvement d'engagement des patients dans le système de santé, appelé démocratie sanitaire ou démocratie en santé, repose, en France, sur une représentation des patients institutionnalisée dans les établissements de soins ou les Agences de Santé. Cette représentation s'appuie d'une part sur l'instrument législatif, la Loi Kouchner de 2002, et d'autre part sur des travaux de recherche, comme le modèle de Montréal et les patients-partenaires, issus du Québec (Pomey, 2015), prolongeant les travaux menés aux USA (Carman, 2013). Cet engagement se concrétise à travers des dispositifs multiples : les représentants des usagers (RU) dans les établissements de soins, la participation directe de patients dans des services de soins ou des unités d'éducation thérapeutique, l'implication de représentants d'associations agréées ou de patients-partenaires dans des comités d'Agences de Santé (ANSM, INSERM, HAS...). Ces différents dispositifs cohabitent et s'adaptent à l'organisation qui les mobilise.

La participation des patients ou des personnes concernées (aidants) dans la recherche est considérée comme la plus exigeante, du fait de la complexité inhérente à l'environnement de la recherche et au temps long qui sépare souvent la présentation des résultats et leur impact dans les organisations de santé. Ces deux aspects freinent l'investissement des patients dans des projets de recherche, et leur font préférer un engagement plus opérationnel dont l'impact leur paraît plus tangible à court-terme. Alors que les bénéfices de l'engagement des patients pour la qualité de la recherche ont été démontrés, des freins ont été documentés également chez les porteurs de projet, freins au développement de projets de recherche participative ou collaborative (associant de plus les professionnels du champ) : des délais plus longs, des budgets de recherche plus élevés, des aléas de participation au fil

du projet liés à la maladie ou à la baisse de motivation, l'absence de rémunération des personnes concernées pour le temps passé, une tentation de passer outre leurs absences pour permettre de tenir les délais du projet...

Ces constats conduisent à des formats variés d'engagement des patients dans les projets de recherche dits « participatifs » : de la participation de représentants d'associations agréées au comité de pilotage réuni tous les 6 mois pour prendre des orientations stratégiques sur la recherche, à la consultation de quelques patients sélectionnés par les soignants ou les associations pour tester des outils de la recherche (guides d'entretien), peu d'expériences de partenariat-patient dans la recherche, au sens du modèle de Montréal, sont actuellement documentées.

Notre étude propose un modèle pour la participation des patients et de parents d'enfants malades (aidants) dans la recherche, au sein du groupe de chercheurs et à toutes les étapes de la recherche, dans le champ d'une maladie rare structurée autour d'une filière intégrant une association de patient. Ce modèle est en cours d'approfondissement dans le projet de recherche suivant, mené sous le format d'une recherche-action participative (ExPaParM-ACTION), qui a pour objectif l'implémentation des résultats d'ExPaParM. Ce modèle de participation maximaliste, entre la recherche et les terrains d'étude, fera l'objet d'une proposition à la communauté de recherche à l'issue des deux recherches.

Apports à la qualité des parcours du point de vue des personnes concernées :

Si l'utilité du recueil et de l'analyse du point de vue des patients pour évaluer la qualité des soins est largement admise, partir du point de vue des patients pour construire l'instrument de recueil de l'expérience patient est innovant.

D'un côté, les instruments appelés PREMs (Patient-Reported Experience Measures) évaluent l'expérience ou la satisfaction des patients concernant une prise en charge au sein d'un établissement et non au niveau d'un parcours inter-établissement, que ce soit dans le cadre d'un épisode de soins ou d'une pathologie chronique. Ils n'évaluent pas la coordination entre les acteurs du parcours, les soins à domicile, l'autonomie du patient pour ses soins et sa vie quotidienne... qui constituent la réalité de l'expérience patient du parcours. Ainsi le concept d'expérience patient a été opérationnalisé du point de vue des organisations de soins, sur les indicateurs importants pour elles et sur lesquelles il leur semble pouvoir agir. Les indicateurs évalués par les patients permettent en outre de réaliser un benchmarking entre les organisations de soins, pour contribuer à une prise de décisions institutionnelles ou financières entre établissements.

D'un autre côté, des études de recherche qualitative s'intéressent à l'expérience patient d'une vie avec une pathologie chronique, interrogeant des échantillons limités de patients ou d'aidants, sur des problématiques ciblées telles que : les freins et leviers de l'activité physique adaptée, les facteurs d'une transition ado-adulte réussie, les besoins d'un accompagnement psychologique à différents moments du parcours... Si ces études mettent en évidence des points de difficulté et d'amélioration du parcours, leurs résultats sont rarement généralisables, et les études sont difficilement reproductibles à distance du constat, pour réévaluer les pratiques professionnelles si des changements opérationnels ont pu découler de ces études, dont ce n'est généralement pas l'objectif principal.

Notre étude collaborative a conduit à développer un instrument de recueil et d'analyse de l'expérience patient, construit à partir du point de vue des patients et parents interrogés

dans ExPaParM. Cet instrument couvre le parcours de soins, de santé et de vie des patients en interrogeant des thématiques dans tous les domaines impactés par la mucoviscidose.

L'objectif est ici moins celui d'un benchmarking entre CRCM de la filière, que celui d'une contribution à une dynamique d'amélioration continue de la qualité des parcours, ou d'adaptation des parcours pour tenir compte de l'innovation thérapeutique hautement efficace, en intégrant l'expérience des personnes concernées aux côtés d'autres informations (données cliniques) dans les réflexions menées dans les CRCM entre professionnels et patients-partenaires. Ces objectifs n'excluent pas la construction de scores de qualité par thématique, à l'instar de ceux développés aux USA par la Cystic Fibrosis Foundation : IntergrATE (score de cohérence des messages délivrés par les membres d'une équipe au patient) ; CollaboRATE (score de collaboration entre le patient et l'équipe) ; Infection Control RATE (score de contrôle des infections croisées au CRCM). Le partage de ces indicateurs permettrait en outre une comparaison internationale des déterminants de la qualité des soins dans cette pathologie, sur l'exemple des comparaisons des indicateurs cliniques issues des registres nationaux.

ExPaParM-ACTION permettra l'expérimentation d'un « système de management » de l'expérience patient (sous Lime Survey avec l'Ined) pour les acteurs de la filière, permettant d'administrer l'enquête, d'analyser statistiquement les résultats, et de faire évoluer l'instrument en capitalisant sur les résultats de futures études qualitatives portant sur des domaines nouveaux de la vie avec la maladie (grossesse des patientes, dépistage et traitement anténatal, avancée en âge des patients...) désormais ouverts par les innovations thérapeutiques dans cette maladie rare.

Manière dont ces résultats peuvent éventuellement alimenter les réflexions et actions de décideurs, acteurs nationaux ou locaux, ainsi que des professionnels des secteurs sanitaire, médico-social, social ou autres acteurs, le cas échéant

Au-delà des apports présentés ci-dessus, la méthodologie de l'étude et de son prolongement sous forme de recherche-action participative nous paraît transférable à d'autres contextes de maladies rares structurées au sein d'une filière intégrant une association de patient agréée, ou de pathologies chroniques dont la prise en charge est structurée au niveau national.

En effet, le développement d'un système de management de l'expérience patient dans la configuration proposée requiert une réflexion entre les acteurs scientifiques et de soins de la pathologie pouvant aboutir à un consensus sur l'utilité de l'expérience patient pour améliorer la qualité des parcours des patients.

A défaut de l'échelon national, un niveau régional peut être porteur de la démarche de recherche-action participative, pour aboutir à un tel consensus et au portage du système de management de l'expérience patient. Des cadres institutionnels tels que l'expérimentation Art 51 (programme ETAPE) pourraient être mobilisés en intégrant la dimension expérientielle des nouveaux parcours de soins ou de santé aux dimensions cliniques ou médico-économiques.

Dans le cadre d'une recherche interventionnelle : les conditions de transférabilité ou de mise à l'échelle et les points de vigilance (▲ si applicable) : N.A.

Perspectives de recherche (extrait du dossier soumis à l'ANR)

A la suite d'ExPaParM, le projet **ExPaParM-Action** a été soumis et retenu pour financement par l'Agence Nationale de la Recherche au titre de l'AAP SAPS-RP1 2022 pour expérimenter l'utilisation des questionnaires d'expérience patient dans la filière mucoviscidose et évaluer leur utilité pour améliorer les parcours de soins, de santé et de vie des patients. Le projet est en cours jusqu'à avril 2025.

L'implémentation des questionnaires d'expérience patient issus de la recherche collaborative ExPaParM doit en effet être accompagnée dans les différents contextes représentant la diversité de la filière, tant la littérature témoigne du fait que la simple mise à disposition d'un instrument d'évaluation des résultats perçus par les patients ne conduit que rarement à l'amélioration de la qualité des soins.¹⁶ Une démarche structurée de recherche-action participative est particulièrement adaptée pour produire des connaissances sur le développement de l'action en contexte, en associant l'ensemble des parties prenantes, soignants, intervenants associatifs, patients co-chercheurs et patients partenaires dans les CRCM, et permettre l'appropriation de ces connaissances par les personnes concernées. Venue du domaine des sciences sociales, la recherche-action permet des avancées théoriques en même temps que des changements sociaux.¹⁷ Une autre particularité de la recherche-action tient au fait qu'elle favorise la collaboration entre différents partenaires (ici chercheurs, équipes soignantes et patients partenaires, association). Elle est *"un véhicule idéal pour l'engagement du patient/usager"*^{18 19} et ne peut se concevoir sans la négociation en commun du Plan d'Action. Comme le rappelle Michèle Catroux, *les participants ont connaissance de tous les aspects de l'action menée, et prennent part aux phases de négociation, d'observation et de prise de décision, (...) avec des degrés de participation qui peuvent varier.*²⁰ L'approche des cas multiples permet quant à elle d'étudier l'appropriation d'un outil dans des contextes variés, en fonction de multiples variables d'intérêt, et d'en analyser les effets et l'utilité. Selon Flyvbjerg, *une connaissance scientifique sans un grand nombre de cas d'étude soigneusement exécutés et une discipline sans production systématique d'exemples probants est une discipline inefficace.*²¹ L'approche des cas multiples permet ainsi de produire des connaissances consolidées et d'élaborer une théorie de l'intervention pour accompagner la généralisation de la démarche.

ExPaParM-ACTION a pour objectifs de : 1) accompagner les acteurs en contexte réel dans la mise en œuvre de la solution applicative des questionnaires d'expérience patient et d'actions d'amélioration des soins et de l'accompagnement et, 2) consolider les connaissances acquises sur les terrains dans une théorie de l'implémentation de la solution visant à favoriser la généralisation de la solution et l'intégration de la donnée expérientielle dans le processus décisionnel clinique et organisationnel des CRCM. Le dispositif de recherche participative existant pour ExPaParM est prolongé dans la durée et renforcé localement par l'implication de patients-partenaires et de représentants des collectifs de

patients et de parents des CRCM, ainsi que par le cas d'étude du Pôle Santé et Qualité des Soins de l'association Vaincre la Mucoviscidose.

Le protocole de la recherche a obtenu l'accord du comité d'évaluation éthique de l'INSERM le 5 décembre 2023 - IRB Agreement no IRB00003888 – Notice n°23-1033 Il a été soumis pour publication à la revue OJRD en mars 2024 (en cours d'évaluation).

Bibliographie issues du dossier ExPaParM-ACTION

¹⁶ Gleeson H, Calderon A, Swami V, et al. Systematic review of approaches to using patient experience data for quality improvement in healthcare settings. *BMJ Open* 2016;6: e011907. doi:10.1136/bmjopen-2016-011907

¹⁷ Somekh B. *Action Research: a Methodology for Change and Development*. Open University Press, 2005.

¹⁸ Waterman H, Tillen D, Dickson R, de Koning K. Action research: a systematic review and guidance for assessment. *Health Technol Assess*. 2001;5(23):iii-157. PMID: 11785749.

¹⁹ Winter R, Munn-Giddings C. *A handbook for action research in health and social care*. London: Routledge, 2001

²⁰ Catroux M. Introduction à la recherche-action : modalités d'une démarche théorique centrée sur la pratique. *Cahier de l'APLIUT*, 2002. Vol XXI n°3 : 8-20. <https://doi.org/10.4000/apliut.4276>

²¹ Flyvbjerg, B. (2006). Five Misunderstandings About Case-Study Research. *Qualitative Inquiry*, 12(2), 219–245.

Bibliographie de la synthèse longue

- ¹ D Pougheon Bertrand, G Minguet, P Lombrail, G Rault. Introduction of a collaborative quality improvement program in the French cystic fibrosis network: the PHARE-M initiative. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 2018, 13(Suppl 1):12
- ² Quality of care in cystic fibrosis: assessment protocol of the French QIP PHARE-M. Dominique Pougheon Bertrand, Emmanuel Nowak, Clémence Dehillotte, Lydie Lemmonier, Gilles Rault. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 2018, 13(Suppl 1):10
- ³ D Pougheon Bertrand, G Minguet, R Gagnayre, P Lombrail. Lessons from patient and parent involvement (P&PI) in a quality improvement program in cystic fibrosis care in France. *Orphanet Journal of Rare Diseases* 2018, 13(Suppl 1):19
- ⁴ Mémoire de thèse – déc. 2017 : <https://hal-univ-paris13.archives-ouvertes.fr/tel-01727406/document>
- ⁵ Wolf JA, Niederhauser V, Marshburn D, LaVela SL. Defining patient experience. *Patient Exp J.* 2014;1(1):6–19.
- ⁶ Being a patient. First report of the Patients Association’s patient experience programme. The patients association, Juillet. 2020.
- ⁷ Gross, O. (2022). Conditions d'une démocratie en santé d'ordre maximaliste. *Dialogue*,61(1), 17-32. doi:10.1017/S0012217322000130
- ⁸ Anselm L. Strauss. *The Discovery of Grounded Theory: Strategies for Qualitative Research.* Transaction Publishers, 30 août 2009 - 271 pages
- ⁹ Vinatier I., Morrissette J. Les recherches collaboratives : enjeux et perspectives. *Carrefours de l'éducation* (2015); 39(1): 137-170. <https://doi.org/10.3917/cdle.039.0137>
- ¹⁰ **D. Pougheon Bertrand, A. Fanchini, P. Lombrail, G. Rault, A. Chansard, N. Le Breton, C. Frenod, F. Milon, C. Heymes-Royer, D. Segretain, M. Silber, S. Therouanne, J. Haesebaert, C. Llerena, P. Michel and Q. Reynaud. Collaborative research protocol to define patient-reported experience measures of the cystic fibrosis care pathway in France: the ExPaParM study. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2022). <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02204-0>**
- ¹¹ Hennink MM, Kaiser BN, Marconi VC. Code saturation versus meaning saturation: how many interviews are enough? *Qual Health Res.* 2016;27:591–608.
- ¹² P. Paillé, L'analyse par théorisation ancrée, in *Cahiers de recherche sociologique* no 23, 1994, p. 147-181
- ¹³ Homa K et al. Development and Validation of a Cystic Fibrosis Patient and Family Member Experience Care Survey. *Q Manage Health Care* 2013 22(2) :100-16.
- ¹⁴ Stahl K et al. Patient experience in cystic fibrosis care: Development of a disease-specific questionnaire. *Chronic Illness* 2015, Vol. 11(2) 108–125.
- ¹⁵ **D. Pougheon Bertrand, A. Fanchini, P. Lombrail, G. Rault, A. Chansard, N. Le Breton, C. Frenod, F. Milon, C. Heymes-Royer, D. Segretain, M. Silber, S. Therouanne, J. Haesebaert, C. Llerena, P. Michel and Q. Reynaud. Collaborative research protocol to define patient-reported experience measures of the cystic fibrosis care pathway in France: the ExPaParM study. *Orphanet Journal of Rare Diseases* (2022). <https://doi.org/10.1186/s13023-022-02204-0>**

