

SYNTHÈSE

COMMENT IDENTIFIER LES BESOINS DES PATIENTS ?



SYNTHÈSE

COMMENT IDENTIFIER LES BESOINS DES PATIENTS ?

CHARLINE MAERTENS DE NOORDHOUT, JENS DETOLLENAERE, CÉLIA PRIMUS-DE JONG, LAURENCE KOHN, BRECHT DEVLEESSCHAUWER,
RANA CHARAFEDDINE, IRINA CLEEMPUT



■ PRÉFACE

Nous avons tous des « besoins » : un toit, de la nourriture, une bonne santé physique et mentale, etc. Dans notre monde occidental, ces besoins fondamentaux sont raisonnablement satisfaits pour la plupart d'entre nous. Nous sommes également plutôt bien lotis en ce qui concerne la santé et les soins de santé – et certainement par rapport aux pays en développement, où de nombreuses interventions de santé qui paraissent tellement évidentes ici ne sont tout simplement pas possibles.

Mais malgré cette situation relativement confortable, il persiste chez nous des besoins médicaux – certes d'un autre ordre – qui demeurent non rencontrés. Ainsi, des maladies graves, très lourdes à porter pour les patients et leurs familles, ne disposent pas de traitements efficaces. Et même lorsque de tels traitements existent, certains besoins médicaux peuvent rester sans réponse. Il y a plusieurs raisons à cela.

Une première raison est que les connaissances scientifiques ne suffisent pas toujours à résoudre un problème. La science a beau être en progrès constant, elle n'a pas réponse à tout. Deuxièmement, les moyens dévolus à la recherche ne sont pas toujours utilisés pour répondre aux besoins non rencontrés les plus importants. Car outre les enjeux intellectuels et sociétaux, les intérêts commerciaux pèsent également sur les orientations de la recherche et ce n'est pas toujours vers les maladies qui s'accompagnent des besoins non rencontrés les plus importants que les efforts se concentrent. Troisièmement, nous ne cernons pas bien les besoins non rencontrés des patients parce que nous ne collectons pas d'informations à leur sujet, du moins pas de façon structurée, scientifiquement solide et intégrée aux politiques de santé.

Dans ce rapport, nous proposons une méthode permettant de collecter des informations sur les besoins des patients de manière systématique en utilisant les sources de données existantes, et nous donnons des pistes pour collecter des informations supplémentaires de manière scientifiquement valide.

Ce rapport a vu le jour grâce à une fructueuse collaboration avec les associations de patients et les mutualités. Nombreux sont ceux et celles qui ont contribué au résultat final, et nous tenons à les remercier chaleureusement.

Christophe JANSSENS
Directeur Général Adjoint a.i.

Irina CLEEMPUT
Directeur Programme Scientifique a.i.

Marijke EYSEN
Directeur Général a.i.



■ SYNTHÈSE

TABLE DES MATIÈRES

■	PRÉFACE.....	1
■	SYNTHÈSE	2
1.	INTRODUCTION	5
1.1.	VERS UNE POLITIQUE DE SANTÉ AXÉE SUR LES BESOINS.....	5
1.2.	LA PROCÉDURE D'UNMET MEDICAL NEED	5
1.3.	LES DIFFÉRENTES DIMENSIONS DU CONCEPT DE BESOIN	6
1.4.	OBJECTIFS ET QUESTIONS DE RECHERCHE	7
1.5.	MÉTHODES	8
2.	MÉTHODES ET INSTRUMENTS POUR L'IDENTIFICATION DES BESOINS DES PATIENTS.....	9
2.1.	MÉTHODES QUANTITATIVES	9
2.1.1.	Disability-Adjusted Life Year (DALY)	9
2.1.2.	Camberwell Assessment of Need (CAN).....	9
2.1.3.	Nottingham Health Needs Assessment (NHNA).....	10
2.1.4.	Needs and Provision Complexity Scale (NPCS).....	10
2.1.5.	Consumer Assessment of Healthcare Providers and Systems (CAHPS) Health Plan survey.....	11
2.1.6.	Points communs à toutes les méthodes quantitatives	11
2.2.	MÉTHODES QUALITATIVES	12
2.3.	MÉTHODES MIXTES.....	13
2.4.	AUTRES MÉTHODES.....	13
2.5.	CONCLUSION.....	13
3.	SOURCES DE DONNÉES POTENTIELLES POUR IDENTIFIER LES PATHOLOGIES PRÉSENTANT LES BESOINS LES PLUS IMPORTANTS	14



3.1.	BASES DE DONNÉES SÉLECTIONNÉES	15
3.1.1.	L'Enquête de santé par interview (HIS)	15
3.1.2.	L'étude Belgian Burden of Disease (BeBOD)	15
3.1.3.	La liste du programme Unmet Medical Need de l'INAMI	16
3.1.4.	L'enquête SHARE (Belgium).....	16
3.1.5.	L'étude Global Burden of Disease	17
3.2.	LISTE COMPILÉE	20
4.	ÉLABORATION D'UN QUESTIONNAIRE GÉNÉRIQUE POUR IDENTIFIER LES BESOINS DES PATIENTS	23
4.1.	ÉLABORATION DU QUESTIONNAIRE GÉNÉRIQUE	23
4.2.	ÉTUDE PILOTE.....	24
4.2.1.	Enquête en ligne	24
4.2.2.	Étude qualitative.....	25
4.3.	ENSEIGNEMENTS DU PANEL DELPHI ET DE L'ÉTUDE PILOTE.....	25
4.3.1.	Questionnaire générique	25
4.3.2.	Étude qualitative : forum en ligne et interviews	27
5.	UNE MÉTHODE POUR IDENTIFIER LES BESOINS DES PATIENTS EN BELGIQUE.....	28
5.1.	COMMENT UTILISER LES DONNÉES	28
5.2.	UN MODÈLE EN SEPT ÉTAPES	29
5.2.1.	Étape 1	31
5.2.2.	Étape 2	31
5.2.3.	Étape 3	31
5.2.4.	Étape 4	31
5.2.5.	Étape 5	32



5.2.6.	Étape 6	32
5.2.7.	Étape 7	33
5.3.	QUELLES SONT LES RESSOURCES NÉCESSAIRES POUR METTRE EN ŒUVRE CETTE APPROCHE ?	33
6.	CONCLUSION	34
■	RECOMMANDATIONS	35
■	RÉFÉRENCES	38



1. INTRODUCTION

1.1. Vers une politique de santé axée sur les besoins

Depuis plusieurs dizaines d'années, les responsables politiques belges et européens tentent d'aligner les politiques de santé sur les besoins plutôt que sur l'offre. Différentes mesures ont été prises, notamment dans le domaine des médicaments. C'est notamment le cas, du côté des régulateurs, des programmes pour l'usage compassionnel et des programmes médicaux d'urgence^a de l'Agence fédérale belge des médicaments et des produits de santé (AFMPS), ainsi que des autorisations de mise sur le marché conditionnelles, de l'octroi d'un statut spécifique aux médicaments orphelins ainsi que des régimes spéciaux pour soutenir l'enregistrement de produits pharmaceutiques destinés à des besoins médicaux importants non rencontrés (p. ex. PRIME) de l'Agence européenne des médicaments (*European Medicines Agency* – EMA). De leur côté, les agences de remboursement des médicaments ont mis en place des programmes permettant à des médicaments « prometteurs » portant sur des besoins médicaux importants non rencontrés d'accéder rapidement à un remboursement (temporaire). En Belgique, il s'agit de la procédure dite des « Besoins médicaux non rencontrés » ou *Unmet Medical Need*^b, introduite en 2014 à l'Institut national de l'assurance maladie et invalidité (INAMI). La présente étude s'inscrit dans une réflexion continue sur la manière d'améliorer cette procédure.

1.2. La procédure d'Unmet Medical Need

Le but de la procédure *Unmet Medical Need* est de donner à des patients gravement malades un accès plus rapide à des médicaments innovants prometteurs qui n'ont pas encore obtenu d'autorisation de mise sur le marché (AMM). Par cette procédure, les médicaments en question reçoivent un remboursement temporaire en attendant leur autorisation officielle et leur éventuel remboursement définitif. Toutefois, cette procédure n'est applicable que pour des affections graves figurant sur une liste établie chaque année par le Conseil général de l'INAMI, sur proposition de la « Commission d'avis en cas d'intervention temporaire dans l'usage d'un médicament » (CAIT). Cette commission est également chargée de prioriser les problèmes de santé figurant sur cette liste^c.

Pour qu'un problème de santé soit ajouté sur la liste, il faut introduire une demande spécifique. Seuls l'INAMI (plus précisément, le Collège des médecins directeurs), le(s) ministre(s) des Affaires sociales et de la Santé publique ou une firme pharmaceutique peuvent introduire une telle demande. Les patients et les associations de patients n'ont pas cette possibilité. Par conséquent, la plupart des demandes proviennent actuellement de firmes pharmaceutiques qui détiennent un nouveau médicament prêt à être mis sur le marché et qui y voient un moyen d'en obtenir un remboursement temporaire avant d'avoir reçu l'AMM. La procédure d'*Unmet Medical Need* est donc encore largement **déterminée par l'offre** (càd les médicaments en passe d'arriver sur le marché), **et non par la demande** (càd **les besoins** éprouvés par les patients), alors que l'intention de départ était précisément d'en faire un système basé sur les besoins des patients.

^a https://www.afmps.be/fr/humain/medicaments/medicaments/recherche_developpement/usage_compassionnel_programmes_medicaux_d_urgence

^b <https://www.inami.fgov.be/fr/themes/cout-remboursement/par-mutualite/medicament-produits-sante/remboursement/Pages/unmet-medical-need.aspx>

^c Cet exercice de priorisation se fait à l'aide d'une analyse décisionnelle multicritères (MCDA), basée sur des travaux antérieurs du KCE ([Rapport KCE 272](#))



Pour revenir à ce projet initial, une première solution serait évidemment d'autoriser les patients et les prestataires de soins à introduire également des demandes, comme recommandé dans le [rapport KCE 272](#). Mais il serait probablement plus équitable encore de charger une instance scientifique de collecter des données sur les besoins des patients atteints de problèmes de santé susceptibles de figurer sur la liste, et ensuite de les prioriser. Il serait nécessaire que cette instance soit indépendante, afin de garantir que toutes les demandes soient prises en compte et pas seulement celles pour lesquelles il existe des associations de patients actives. Une telle collecte devrait se faire (au moins partiellement) de manière **standardisée** afin que les données relatives à des problèmes de santé parfois très différents puissent être comparées entre eux, et classés par ordre de priorité.

Si l'on veut que notre système de santé réponde effectivement aux besoins non rencontrés des patients, l'identification de ces besoins devrait idéalement servir de point de départ à *toutes* les décisions de remboursement (d'un médicament, d'une technologie, d'un dispositif médical...). Cela permettrait d'envisager aussi d'autres solutions que les seuls produits proposés par l'industrie, en laissant place à davantage de créativité. Imaginons par exemple que les patients insuffisants cardiaques à qui l'on a placé un pacemaker expriment de l'anxiété vis-à-vis du bon fonctionnement de cet appareil. Le besoin identifié serait donc de réduire cette anxiété, qui pèse sur leur qualité de vie. Rembourser un système de télé-monitoring pourrait être une solution technologique pour répondre à ce besoin, mais d'autres options pourraient également convenir, comme un suivi très régulier par le médecin généraliste ou un accompagnement psychologique. Si la décision de remboursement de ces différentes solutions était basée sur les besoins des patients, elle pourrait alors prendre en compte non seulement le prix et l'efficacité comparée des différentes options, mais aussi le niveau de besoin (p. ex. la gravité de la souffrance due à cette anxiété).

La réflexion menée par le KCE sur les besoins des patients, initiée autour de la procédure d'*Unmet Medical Need*, devrait donc idéalement pouvoir être transposée à l'ensemble des processus décisionnels de remboursement.

1.3. Les différentes dimensions du concept de besoin

La notion de « besoin non rencontré » comporte une **dimension individuelle**, liée au patient, et une **dimension sociétale** :

- le **besoin thérapeutique** fait référence au besoin d'un patient individuel de disposer d'un traitement (ou de toute autre solution de soins de santé) qui améliore sa qualité de vie, son espérance de vie, ou sa santé globale.
- le **besoin sociétal** fait référence à des besoins qui concernent l'ensemble de la société, comme par exemple un besoin de traitement pour un problème de santé très courant, ou un besoin de traitement moins coûteux (mais aussi efficace) qu'un traitement existant onéreux pour un problème de santé donné, afin d'atténuer son impact sur le budget des soins de santé. Ainsi, si un nouveau médicament peut réduire considérablement les dépenses publiques liées à un problème de santé (p. ex. parce qu'il évite une hospitalisation ou un handicap à vie), il répond au besoin sociétal d'allouer les ressources de manière plus efficiente (obtenir le même résultat avec moins de ressources, ou de meilleurs résultats avec les mêmes ressources).

Une maladie peut figurer sur la liste *Unmet Medical Need* en raison de son impact individuel, ou sociétal, ou les deux. Ces deux dimensions sont difficiles à fusionner en un seul concept car il s'agit de deux perspectives tout à fait différentes. Les critères du besoin thérapeutique sont généralement pertinents pour le patient, tandis que les critères du besoin sociétal peuvent être moins importants aux yeux des patients individuels mais avoir un poids considérable pour la communauté. C'est pourquoi le KCE avait également recommandé, dans son Rapport 272, de créer deux listes de priorités distinctes. Ainsi, un nouveau traitement pourrait être éligible pour entrer dans le programme *Unmet Medical Need* en raison de son classement élevé sur la liste des besoins thérapeutiques, sur la liste des besoins sociétaux ou sur les deux listes.

La présente étude a été lancée pour répondre à deux questions fort semblables introduites – indépendamment – par deux instances distinctes. La coupole flamande des organisations de patients, la **Vlaams Patiëntenplatform (VPP)** demandait 1/ d'examiner la possibilité pour



d'autres stakeholders d'introduire des propositions pour la liste *Unmet Medical Need* et 2/ de développer une **méthode permettant d'identifier de façon scientifiquement éprouvée les véritables besoins médicaux non rencontrés des patients**, afin de pouvoir les utiliser comme données probantes pour informer la procédure d'*Unmet Medical Need*. L'**Observatoire des maladies chroniques** de l'INAMI demandait pour sa part d'étudier comment les besoins des patients peuvent être définis d'une manière réaliste et scientifiquement solide et utilisés dans un cadre plus large que la seule procédure d'*Unmet Medical Need* (p. ex. dans le contexte des soins intégrés pour les malades chroniques).

L'étude portait dès lors, au départ, uniquement sur la mesure des besoins thérapeutiques des patients, c'est-à-dire le besoin de (meilleurs) traitements ou soins du point de vue des patients individuels. Le comité consultatif qui a été mis sur pied pour cette étude (voir 1.5) a alors demandé que la notion de « besoin » soit élargie à d'autres besoins plus généraux – mais toujours liés à la santé des patients individuels – tels que le besoin d'information, de soutien, etc. Pour cette raison, nous parlerons de façon générale des « besoins des patients » dans la suite de ce document.

1.4. Objectifs et questions de recherche

L'objectif de ce projet est de développer une méthode concrètement réalisable et scientifiquement étayée pour l'**identification des besoins des patients**, afin d'évoluer vers un système de soins de santé davantage axé sur les besoins. L'application de cette méthode devrait déboucher sur des informations scientifiquement fondées pouvant **contribuer de façon pertinente aux processus d'évaluation de la valeur ajoutée d'interventions de santé (évaluation des technologies de la santé ou Health Technology Assessment – HTA), aux processus de décisions relatives aux AMM et aux décisions de remboursement de l'INAMI**. Ces informations doivent permettre aux décideurs de déterminer (1) si un nouveau traitement répond à un véritable besoin des patients et (2) dans quelle mesure il répond à ce besoin (ou s'il vise d'autres résultats qui sont peut-être moins importants pour les patients mais qui servent aux firmes à revendiquer une valeur thérapeutique ajoutée pour leur produit).

De plus, la méthode proposée devrait permettre d'établir **une liste des besoins des patients** qui permettra aux développeurs (industriels et académiques) de concentrer leurs efforts sur les pathologies où les besoins des patients sont les plus élevés – l'objectif ultime étant de créer un **système de soins de santé davantage axé sur les besoins**. D'autres stakeholders, par exemple **les associations de patients, les mutuelles et les prestataires de soins**, pourraient également bénéficier d'informations détaillées sur les besoins les plus importants des patients afin de développer, façonner ou améliorer leurs activités.

La méthode devra :

- être suffisamment **générique** pour être applicable à un large éventail de problèmes de santé, de stades et de gravités variables, et à l'ensemble de la population dans toute sa diversité ;
- reposer sur des outils et des approches garantissant que des populations de patients différentes seront traitées de manière équivalente, de façon objective et sur la base de **données probantes** ;
- être **applicable en pratique** ;
- pouvoir être intégrée dans une **approche structurée** de l'identification des besoins des patients ;
- pouvoir être mise en œuvre moyennant un investissement raisonnable afin de maximiser les chances qu'elle soit effectivement utilisée.

Quatre questions de recherche ont été formulées pour atteindre ces objectifs :

1. Quelles sont les méthodes d'identification des besoins des patients décrites dans la littérature et quels sont les instruments validés qui ont été mis en pratique (en Belgique ou dans d'autres pays) ?
2. Quelles sont les sources de données existantes disponibles pour permettre la priorisation de pathologies pour l'identification des besoins des patients ?



3. Sur la base des résultats des questions de recherche 1 et 2, quelle méthode pourrait être développée pour identifier les besoins des patients en Belgique ?
4. Quels seraient les ressources humaines, les qualifications et le temps nécessaires pour permettre une identification systématique des besoins dans diverses populations de patients ?

1.5. Méthodes

Cette étude s'est faite en plusieurs étapes :

- Une analyse pragmatique de la littérature (y compris la littérature grise) pour identifier les différentes approches (qualitatives, quantitatives et mixtes) permettant de mesurer les besoins des patients, ainsi que les instruments utilisés et les dimensions prises en considération.
- Un tour d'horizon des sources de données existantes pouvant être utilisées soit directement pour identifier les besoins des patients, soit pour identifier des pathologies où les besoins sont potentiellement élevés.
- Sur la base des éléments identifiés dans la revue de littérature, élaboration d'un questionnaire générique destiné à mesurer les besoins des patients qui servira de point de départ avant une évaluation qualitative approfondie des besoins des patients pour une pathologie spécifique. Ce questionnaire a été testé via un panel Delphi auprès de représentants des patients, pour vérifier la pertinence et la clarté des questions.
- Une étude pilote basée sur l'utilisation du questionnaire générique auprès d'une population spécifique de patients (patients atteints de COVID long), suivie d'une recherche qualitative (forum en ligne et interviews approfondies) afin d'approfondir les besoins mis en lumière. Les enseignements tirés de cette étude pilote ont ensuite permis d'améliorer le questionnaire générique.
- Nous avons examiné les avantages et inconvénients des deux approches qualitatives utilisées et l'intérêt de les combiner dans le cadre d'une recherche sur les besoins des patients.

Un comité consultatif a accompagné l'équipe de recherche tout au long du projet. Ce comité consultatif était composé de représentants des patients et des utilisateurs de soins de santé (couple néerlandophone des associations de patients VPP, couple francophone des associations de patients LUSS (Ligue des Usagers des Services de Santé), couple des associations de patients atteints de maladies rares RaDiOrg et mutualités), de l'Observatoire des maladies chroniques (qui fait partie de l'INAMI) et de chercheurs ayant une expérience de la recherche sur les besoins des patients. Ce comité a été consulté de façon régulière sur tous les aspects du projet (« consultation intégrée à la recherche »).



2. MÉTHODES ET INSTRUMENTS POUR L'IDENTIFICATION DES BESOINS DES PATIENTS

Une revue pragmatique de la littérature a été effectuée pour identifier les méthodes permettant de mesurer les besoins des patients liés à la santé. La stratégie de recherche ainsi que les détails de la revue de littérature se trouvent dans le rapport scientifique en anglais. Nous n'en présentons ici que les points saillants.

2.1. Méthodes quantitatives

La majorité des publications retenues décrivent des approches quantitatives pour mesurer les besoins des patients dans un large éventail de problèmes de santé. Nous avons identifié au total 30 instruments, qui sont décrits en détail dans le chapitre 5 du rapport scientifique (leurs propriétés psychométriques en termes de validité de contenu, de construction et de fiabilité de cohérence interne figurent dans l'annexe 1.2.). Ces instruments ont servi à développer le contenu du questionnaire générique et le modèle d'implémentation. Nous présentons succinctement ici quelques exemples couramment utilisés.

2.1.1. Disability-Adjusted Life Year (DALY)

Le DALY est une mesure couramment utilisée pour évaluer la sévérité d'un problème de santé (et par extension, les besoins thérapeutiques). Il s'agit d'une mesure synthétique de l'impact (ou du fardeau) d'un problème de santé sur la population ou sur un individu, exprimée en nombre d'années de vie en bonne santé perdues, en raison d'une maladie ou d'un décès précoce. Les DALY sont calculés comme la somme des années de vie perdues dues à la mortalité prématurée (*Years of Life Lost – YLL*) et des années vécues avec une incapacité (*Years Lived with Disability ou Years Lost due to Disability – YLD*).

La plupart des DALY utilisés dans le cadre de l'estimation des besoins des patients proviennent de l'étude *Global Burden of Disease* (GBD) ¹ coordonnée par l'*Institute for Health Metrics and Evaluation* (IHME) de l'Université de Washington. Le GBD (2017) comprenait 38 milliards d'estimations pour 359 maladies et traumatismes et 84 facteurs de risque dans 195 pays et territoires.

Exemple d'utilisation des DALY aux Pays-Bas

Van Lier et al.² ont estimé l'impact sur la santé aux Pays-Bas d'un ensemble de 32 maladies infectieuses pour la période 2007 - 2011. Les maladies incluses dans l'étude étaient les infections sexuellement transmissibles (p. ex. chlamydia, gonorrhée, hépatite B), les maladies évitables par la vaccination (p. ex. diphtérie, rougeole, rubéole, infection invasive à méningocoques, tétanos), les maladies d'origine alimentaire (p. ex. campylobactériose, hépatite A, salmonellose, toxoplasmose) et les maladies respiratoires (p. ex. grippe, légionellose, tuberculose).

L'approche par DALY de cette étude met l'accent sur tous les résultats de santé qui peuvent être attribués à un de ces agents pathogènes spécifiques et prend en compte les séquelles potentielles à long terme. Elle permet d'améliorer l'estimation des bénéfices (futurs) pour la santé associés à la prévention des infections.

2.1.2. Camberwell Assessment of Need (CAN)

Le CAN³ est une famille de questionnaires développés par le King's College London en 1994. Ils sont utilisés pour identifier les besoins des personnes qui présentent un problème de santé mentale grave ou de longue durée. Des variantes ont été développées partout dans le monde pour d'autres groupes de population (p. ex. CANE (*CAN for the Elderly*) pour les personnes âgées). Les besoins sont mesurés dans 22 domaines du CAN (chaque domaine contient plusieurs items) : logement, alimentation, soins à domicile, soins personnels, activités quotidiennes, santé physique, symptômes psychotiques, informations sur la maladie et le traitement, détresse psychologique, sécurité personnelle, sécurité pour autrui, alcool,



drogues, compagnie, relations intimes, expression sexuelle, garde d'enfants, formation de base, téléphone, transports, argent et avantages financiers. Chaque item est évalué sur une échelle à trois points.

Exemple d'utilisation du CANE en Allemagne

Stein et al.⁴ ont utilisé l'outil d'évaluation CANE pour étudier les besoins rencontrés/non rencontrés et leur association avec la dépression chez les personnes âgées en Allemagne. Cette étude s'est faite par entretiens structurés par téléphone auprès d'un échantillon de 845 répondants de 75 ans ou plus ne présentant ni problèmes de compréhension, ni démence.

Les résultats de cette recherche ont révélé que la plupart des besoins non rencontrés se situaient dans les sections CANE relatives à la mémoire, la santé physique, la mobilité, la vue/audition/communication, et la continence.

2.1.3. Nottingham Health Needs Assessment (NHNA)

Le questionnaire NHNA^{5,6} a été spécifiquement développé pour l'évaluation des besoins de santé chez les patients cardiaques. Il couvre les données démographiques, l'emploi, la mobilité et le transport, l'accès aux établissements de santé locaux, les besoins et les préoccupations en matière d'information, la disponibilité des soignants, les soins de santé actuels, le logement, l'éducation, les loisirs et les équipements sociaux. Il comprend 49 items répartis en cinq domaines : besoins physiques (8 items), satisfaction (11 items), besoins d'information (7 items), besoins sociétaux (12 items) et préoccupations (8 items). Ces items peuvent être évalués sur une échelle à cinq points.

^d L'EQ-5D-3L est un questionnaire générique destiné à mesurer la qualité de vie liée à la santé selon cinq dimensions (5D) : mobilité, autonomie, activités

2.1.4. Needs and Provision Complexity Scale (NPCS)

L'outil NPCS^{7,8} mesure les besoins médicaux non rencontrés chez les patients souffrant d'affections neurologiques de longue durée. Il comprend deux parties ; la première (« *needs* ») porte sur les besoins en matière de soins de santé et de services de soutien et la seconde (« *gets* ») évalue dans quelle mesure ces besoins sont rencontrés par la prestation de services. Dans sa forme originale, les deux parties ont été conçues pour être remplies par des prestataires de soins, mais une version du NPCS-*Gets* rapportée par le patient a ensuite été développée. Le NPCS peut être utilisé à l'échelle de la population pour identifier les lacunes dans la prestation des services de santé, mais aussi au niveau du patient individuel, pour surveiller l'évolution de ses besoins et des prestations effectuées.

Exemple d'utilisation du NPCS en Norvège

Une évaluation de la qualité de vie liée à la santé a été réalisée en 2017 chez des patients atteints de la maladie de Huntington à l'aide du questionnaire EQ-5D-3L^d, puis complétée par la mesure des besoins non rencontrés en matière de soins de santé et de soutien social par le NPCS.⁷ Les résultats ont montré un pic de besoins non rencontrés au stade III de la maladie, alors que les patients aux stades I et II avaient des besoins plus faibles et que ceux des stades IV et V avaient des besoins plus élevés mais stables et plus bas par rapport au stade III. Une relation négative entre le niveau de besoins non rencontrés et la qualité de vie liée à la santé a également été mise en évidence.

courantes, douleur/gêne et anxiété/dépression. Chaque dimension comprend trois niveaux de sévérité (3L) : aucun problème, problèmes modérés, problèmes sévères.⁹

2.1.5. Consumer Assessment of Healthcare Providers and Systems (CAHPS) Health Plan survey

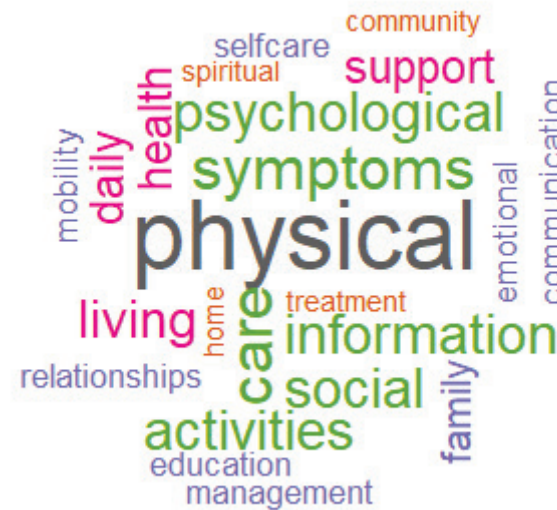
L'enquête CAHPS (USA)¹⁰ est une évaluation des programmes de soins commerciaux et de Medicaid par les bénéficiaires. Il existe deux enquêtes pour les adultes (une pour les programmes commerciaux et une pour Medicaid) et deux enquêtes pour les enfants. L'enquête comprend quatre sections : obtenir les soins nécessaires, obtenir des soins rapidement, qualité de la communication des médecins et information sur le programme de soins et service à la clientèle. Les répondants peuvent évaluer ces éléments sur une échelle à quatre points.

Le CAHPS demande également aux répondants d'évaluer leurs expériences des soins au cours des 6 derniers mois avec leur médecin personnel, le spécialiste qu'ils ont vu le plus souvent, les soins de santé reçus de tous les médecins et autres prestataires de santé et leur programme de santé en général. Ces évaluations sont notées sur une échelle de 0 à 10.

2.1.6. Points communs à toutes les méthodes quantitatives

La majorité des méthodes quantitatives identifiées sont conçues pour mesurer les besoins des patients dans des groupes de patients spécifiques (p. ex. les patients atteints de cancer, de problèmes de santé mentale, etc.) ; il est donc difficile de les généraliser. Toutefois, certains domaines reviennent dans les différentes méthodes. Nous avons donc fait appel à la méthode des nuages de mots pour visualiser les domaines les plus fréquemment cités ; la Figure 1 montre les domaines qui sont apparus dans au moins trois approches.

Figure 1 – Visualisation des domaines les plus fréquemment cités dans les méthodes quantitatives de mesure des besoins des patients



NB : La taille et la couleur des mots sont proportionnelles à la fréquence de leur occurrence dans les outils quantitatifs.

Les principales dimensions suivantes ont été identifiées :

- Dimension physique : référence aux besoins sur le plan physique et à la demande de soulagement des symptômes physiques (p. ex. la douleur) ;
- Dimension psychologique : référence au besoin de soutien psychologique pour faire face aux problèmes émotionnels liés à l'état de santé ;
- Dimension autonomie : référence aux besoins de la vie quotidienne et à la possibilité de prendre soin de soi ;



- Dimension sociale : référence aux besoins d'interactions sociales avec la communauté ou la famille et à la création de relations. Cette dimension inclut également la nécessité de disposer d'informations appropriées et la possibilité de communiquer ;
- Dimension d'accessibilité : référence aux besoins de transport pour accéder aux soins ou à des activités, aux listes d'attente, à l'accessibilité financière ;
- Dimension spirituelle : référence à des questions spirituelles liées au diagnostic de l'affection, telles que la recherche de sens, les contextes moraux ou les croyances religieuses.

Ces dimensions recoupent les besoins des patients chroniques identifiés dans des recherches précédentes du KCE^{e, 11, 12}. D'autres dimensions qui ne sont pas listées ci-dessus peuvent toutefois être pertinentes pour certains groupes de patients ou certains types de pathologies. Par exemple, une dimension relative au logement peut être particulièrement pertinente dans l'évaluation des besoins des patients souffrant de certains handicaps physiques.

2.2. Méthodes qualitatives

Seules quatre publications ont été identifiées dans lesquelles les besoins des patients sont mesurés à l'aide de techniques qualitatives. Trois d'entre elles utilisent des entretiens individuels approfondis avec des patients ou des aidants proches ; l'une d'entre elles renforce les résultats des entretiens individuels par des discussions de groupe (groupes nominaux). La quatrième étude décrit une méthode qui mesure les besoins des patients issus de minorités ethniques via des *focus groups*.

Exemple d'utilisation d'entretiens individuels aux USA

Schroedl et al.¹³ ont mené des entretiens individuels semi-structurés approfondis avec 20 patients admis pour exacerbation aiguë de bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO) dans un centre médical de Chicago. Le guide d'entretien avait été développé en collaboration avec deux pneumologues et un psychologue clinicien ayant une expertise en recherche qualitative :

Domaine d'entretien 1 : expérience de la vie avec une maladie pulmonaire

Pouvez-vous me dire ce qui ne va pas avec vos poumons ?

Pouvez-vous me dire à quoi ressemble une journée typique pour vous qui vivez avec votre maladie pulmonaire ?

Domaine d'entretien 2 : symptômes

Quels types de symptômes sont les plus gênants pour vous ?

Comment faites-vous pour vous sentir mieux ?

Domaine d'entretien 3 : vie sociale et relations

Votre maladie pulmonaire vous empêche-t-elle de faire les choses que vous aimez ? De quelle manière ?

Domaine d'entretien 4 : fin de vie

Avez-vous le sentiment que vos médecins vous ont fourni toutes les informations dont vous avez besoin pour comprendre votre maladie ?

L'analyse qualitative a permis d'identifier 6 thèmes principaux :

- Compréhension de la maladie : la plupart des participants ont correctement identifié leur diagnostic et reconnu l'aggravation de

^e Rapport KCE 115 <https://kce.fgov.be/fr/publication/report/organisation-des-soins-palliatifs-en-belgique> ; Rapport KCE 190 <https://kce.fgov.be/fr/publication/report/position-papier-organisation-des-soins-pour-les-malades-chroniques-en-belgique>



leurs symptômes au fil du temps. Seulement la moitié des participants comprenaient la gravité et le pronostic de leur maladie.

- Symptômes : l'essoufflement était universel et sévère.
- Limitations physiques : la maladie empêchait la participation à des activités.
- Détresse émotionnelle : des symptômes de dépression et/ou d'anxiété étaient présents chez la plupart des participants.
- Isolement social : la plupart des participants ont identifié des limitations sociales et se sentaient confinés à leur domicile.
- Inquiétudes quant à l'avenir : la moitié des participants ont exprimé des craintes quant à leur avenir.

2.3. Méthodes mixtes

Dans six études, les chercheurs avaient recours à une triangulation entre analyses quantitatives, qualitatives et/ou revues systématiques de littérature sous différentes combinaisons. Combiner ainsi les méthodes offre la possibilité d'examiner les besoins des patients sous différents angles et d'éventuellement explorer certaines facettes de ces besoins de façon plus approfondie.

2.4. Autres méthodes

Deux autres approches très intéressantes ont également été étudiées, mais n'ont pas été retenues car jugées trop lourdes en termes de ressources humaines et financières pour pouvoir être appliquées en routine. Il s'agit de la *James Lind Alliance Priority Setting Partnerships* et de l'approche participative de la *Vlaams Patiëntenplatform* (VPP) – voir paragraphe 5.2.5.2 du [rapport scientifique](#).

2.5. Conclusion

L'approche mixte, combinant des techniques quantitatives (enquêtes) et qualitatives (interviews, *focus groups*...) et soutenue par une revue préalable de la littérature scientifique, nous semble être l'approche la plus complète et la plus prometteuse pour saisir pleinement les besoins réels des patients. Elle permet en effet d'aborder différentes dimensions liées à la santé, et touche différents aspects de la vie des patients. Nous nous sommes donc appuyés sur cette approche pour développer notre méthodologie (voir chapitre 0).



3. SOURCES DE DONNÉES POTENTIELLES POUR IDENTIFIER LES PATHOLOGIES PRÉSENTANT LES BESOINS LES PLUS IMPORTANTS

La question à laquelle nous tentons de répondre dans ce chapitre est de savoir s'il serait possible d'effectuer une première sélection sommaire des pathologies présentant des besoins élevés pour les patients sur la base des données disponibles dans des bases de données existantes. Nous avons donc passé en revue différentes sources de données nationales et internationales^f, en nous concentrant sur celles qui incluent des indicateurs quantitatifs relatifs à la qualité de vie liée à la santé (*Health Related Quality of Life* – HRQoL) ou qui combinent la HRQoL à l'espérance de vie, à la durée de la pathologie et/ou à la prévalence. En effet, ces indicateurs donnent un bon aperçu de la gravité associée à une maladie ou à un handicap.

Par indicateurs de qualité de vie, nous entendons soit des indicateurs de qualité de vie en tant que tels (p. ex. EQ-5D-5L^g), soit une « mesure synthétique de la santé de la population » (*summary measure of population health* – SMPH) avec une composante HRQoL (p. ex. *Quality-Adjusted Life Years* – QALY ; *Disability-Adjusted Life Years* – DALY, voir section 2.1.1 ; *Years Lived with Disability* – YLD – voir Encadré 1). Les SMPH sont des indicateurs du fardeau de la maladie combinant plusieurs dimensions de la santé (la mortalité et la morbidité, combinées ou non avec la durée de la pathologie et/ou la prévalence). La manière dont ces différents scores sont calculés et interprétés est expliquée dans le rapport scientifique.

^f Une condition préalable était que ces bases de données soient systématiquement mises à jour et qu'elles aient vocation à continuer d'exister.

^g L'EQ-5D-5L est un questionnaire générique destiné à mesurer la qualité de vie liée à la santé selon cinq dimensions (5D) : mobilité, autonomie, activités courantes, douleur/gêne et anxiété/dépression. Chaque dimension comprend cinq niveaux de sévérité (5L)

Encadré 1 – QALY – DALY – YLD

QALY (*Quality-adjusted life years*) ou années de vie pondérées par la qualité : mesure qui combine l'impact d'un problème de santé (ou d'une intervention) sur la survie (mesurés en années de vie) et sur la qualité de la vie vécue. Les QALY sont couramment utilisés dans les études économiques pour évaluer le rapport coût-efficacité d'interventions de santé. Un QALY équivaut à une année vécue en parfaite santé.

Lorsque l'on calcule le nombre de QALY perdus à l'échelle d'une population à cause d'un problème de santé, ce nombre est fortement déterminé par la prévalence du problème de santé considéré. Or une prévalence élevée n'est pas nécessairement un bon indicateur des besoins thérapeutiques. Un classement en fonction des QALY perdus à l'échelle d'une population donnera donc des résultats très différents d'un classement établi sur la base du nombre de QALY perdus par patient, ou de la perte de qualité de vie liée à la santé. Par exemple, des maladies relativement peu fréquentes comme la dégénérescence maculaire ou la maladie de Parkinson seront classées assez bas en fonction du nombre total de QALY perdus, alors que leur impact sur la qualité de vie des patients (et donc, potentiellement, sur leur niveau de besoins non rencontrés) est très important.

DALY (*Disability-Adjusted Life Years*) ou années de vie corrigées pour l'incapacité : les DALY sont calculés en additionnant les années de vie perdues (*Years of Life Lost* – YLL) dues à la mortalité prématurée et des années de vies perdues en raison de la maladie (*Years Lived with Disability* – YLD) (voir aussi section 2.1.1).



YLD (Years Lived with Disability) ou années de vie vécues avec une incapacité: les YLD sont calculés en multipliant la prévalence d'un problème de santé par le poids de la perte de qualité de vie causée par ce problème (*Disability Weight* – DW). Un poids de 0 équivaut à la santé parfaite et un poids de 1 correspond à la mort.

3.1. Bases de données sélectionnées

Nous avons finalement retenu **quatre sources de données/initiatives nationales** (*Health Interview Survey* (HIS), *Belgian Burden Of Disease study*, liste INAMI *Unmet Needs*, et SHARE) et **une source de données internationale** (*Global Burden of Disease study*). Le Tableau 1 résume les principaux avantages et inconvénients de ces cinq sources de données.

3.1.1. L'Enquête de santé par interview (HIS)

L'enquête de santé par interview (*Health Interview Survey* – HIS) existe depuis 1997 et est répétée tous les 4 à 5 ans par Sciensano. Elle se fait par interviews en face à face (d'où son nom) et par un questionnaire auto-administré sur papier pour couvrir les sujets plus sensibles. Ses principaux objectifs sont d'évaluer l'état de santé de la population et d'identifier des problèmes de santé importants ainsi que les déterminants et les comportements qui pourraient les influencer.

La HIS comprend huit domaines principaux (santé et qualité de vie, style de vie, connaissances et pratiques préventives, santé mentale et bien-être, utilisation des services de santé, santé et société et santé dentaire). La plupart des résultats sont librement disponibles à travers diverses publications et rapports rassemblés sur un site web et un outil d'analyse interactif en ligne^h.

Depuis 2013, la HIS comporte une partie dédiée à la qualité de vie liée à la santé (HRQoL), sous la forme du questionnaire EQ-5D-5L⁹ qui comprend cinq dimensions (5D): mobilité, autonomie, activités courantes, douleur/gêne et anxiété/dépression, et cinq niveaux de sévérité dans

chaque dimension (5L). Les scores obtenus peuvent être utilisés pour le calcul des QALY.

La dernière collecte de données de HIS a été organisée en 2018¹⁴; elle a été réalisée auprès de 11 611 participants de plus de 15 ans représentatifs de la population belge. Dans cette dernière édition, la perte de HRQoL a été principalement attribuée aux maladies cardiovasculaires, aux problèmes liés à l'âge et aux problèmes de santé mentale. La perte de QALY, pour sa part, était principalement liée à des problèmes de santé résultant surtout de conditions de vie sédentaires: problèmes lombaires, arthrose, douleurs de nuque, dépression et hypertension artérielle. Dans le Tableau 2, les deux premières colonnes permettent de bien visualiser les différences entre les classements des problèmes de santé (par ordre décroissant d'importance) selon que ceux-ci sont classés en fonction de la perte de QALY à l'échelle de la population ou de la perte de HRQoL au niveau individuel.

3.1.2. L'étude Belgian Burden of Disease (BeBOD)

En 2016, Sciensano a lancé l'étude nationale sur le fardeau de la maladie en Belgique (*Belgian Burden of Disease* – BeBOD) qui vise à définir un cadre pour la quantification de la charge de morbidité en Belgique. Les résultats relatifs à la charge du cancer en 2018 sont à présent disponibles^{15, 16}.

Deux types de SMPH ont été calculés pour estimer la charge de morbidité du cancer: le nombre d'années vécues avec une incapacité (YLD) et le nombre d'YLD par cas. Les estimations de prévalence ont été dérivées exclusivement des données d'incidence du Registre belge du Cancer (*Belgian Cancer Registry* – BCR), qui inclut tous les cancers enregistrés en Belgique. Les paramètres de perte de qualité de vie utilisés dans les estimations du BeBOD sont extraits de la littérature.

En 2018, l'ensemble des cancers ont entraîné 68 806 YLD au niveau de la population belge, avec en tête de classement le cancer de la prostate, les tumeurs malignes de la peau, le cancer du sein, le cancer colorectal et le cancer de la vessie (liste: voir section 6.1.4 (Tableau 10) du [rapport](#)

^h <https://hisia.wiv-isp.be/SitePages/Home.aspx>



[scientifique](#))ⁱ. Ces résultats s'expliquent principalement par la forte prévalence de ces cancers en Belgique. Si l'on examine l'impact du cancer par patient (c'est-à-dire sur la base du nombre d'YLD par cas), le classement est très différent. C'est alors le mésothéliome qui se classe en tête (voir Tableau 2). Ce cancer relativement rare a donc un impact significatif sur la qualité de vie des patients.

Les résultats concernant le fardeau du cancer peuvent être explorés plus en détail via une plateforme interactive^j.

3.1.3. La liste du programme *Unmet Medical Need* de l'INAMI

La procédure *Unmet Medical Need* de l'INAMI, entrée en vigueur en 2016, est destinée aux médicaments qui n'ont pas encore obtenu d'autorisation de mise sur le marché mais qui traitent un besoin médical non rencontré majeur. Elle prévoit une compensation financière temporaire pour ces médicaments, à condition que l'affection qu'ils traitent soit bien classée sur la liste des besoins médicaux non rencontrés établie chaque année par l'INAMI (voir section 1.2). En 2021, la liste *Unmet Medical Need* de l'INAMI comprenait 75 affections, dont les scores les plus élevés (càd avec les besoins non rencontrés les plus importants) étaient attribués au COVID-19, au glioblastome et à la sclérose latérale amyotrophique (voir Tableau 2). La moitié des affections figurant sur la liste étaient des cancers (53,3 %).

3.1.4. L'enquête SHARE (Belgium)

SHARE (*Survey of Health, Ageing and Retirement in Europe*) est une enquête par interviews qui couvre la majeure partie de l'Union européenne, y compris la Belgique, et qui inclut une grande variété d'informations : variables de santé, mesures physiques et biomarqueurs, variables psychologiques, variables économiques et variables de soutien social ainsi que des informations sur les réseaux sociaux. La population cible de

SHARE est constituée de toutes les personnes âgées de 50 ans et plus au moment de l'échantillonnage et leur éventuel(le) partenaire.

La mesure de la qualité de vie utilisée dans SHARE est le CASP-12 (*Control Autonomy Self-completion Pleasure*, 12 items)^{17, 18}, qui a été spécifiquement développé pour les personnes âgées. Il s'agit d'un auto-questionnaire qui couvre quatre dimensions : autonomie, contrôle, réalisation de soi et plaisir. Il est demandé aux répondants de préciser sur une échelle en quatre points allant de « jamais » à « souvent » la fréquence à laquelle ils éprouvent certains sentiments et certaines situations. Les scores obtenus sont ensuite classés en quatre niveaux de qualité de vie : très élevée, élevée, modérée ou faible.

À ce jour, SHARE a procédé à 8 collectes de données (2004, 2007, 2009, 2011, 2013, 2015, 2017 et 2020 (axée sur le COVID-19)) ; 3 collectes supplémentaires sont prévues d'ici 2024. En 2017, 4 902 patients ont été inclus dans l'étude SHARE pour la Belgique. L'âge moyen était de 67,5 ans et 55,7 % étaient des femmes. Les trois pathologies considérées comme ayant le plus d'impact sur la qualité de vie sont le cancer, l'hypercholestérolémie et l'hypertension artérielle (voir Tableau 2).

ⁱ Le 8 novembre 2021, les estimations du fardeau des cancers en Belgique pour 2018 ont été mis à jour par Sciensano. En utilisant ces nouvelles estimations de YLD, ce sont les cancer de la prostate, du sein, colorectal, les

tumeurs malignes de la peau et le cancer de la trachée/bronche/poumon qui se retrouvent en tête de classement.

^j <https://burden.sciensano.be/shiny/cancer/>



3.1.5. L'étude *Global Burden of Disease*

Les études *Global Burden of Disease* (GBD) ont débuté au début des années 1990. Elles proposent un important ensemble de résultats comparatifs sur l'impact de différentes maladies, blessures et facteurs de risque sur la santé des populations.¹⁹

Nous avons collecté les estimations du *Global Burden of Disease* 2017 pour la Belgique, en nous focalisant sur les mesures des YLD et des DALY. Pour l'année 2017, des estimations du fardeau de la maladie pour la Belgique étaient disponibles pour 293 problèmes de santé. L'examen du nombre de YLD par cas place en tête les 'autres' affections neurologiques (c.a.d. autres que la maladie d'Alzheimer/démences, la maladie de Parkinson, l'épilepsie, la sclérose en plaques, la sclérose latérale amyotrophique (SLA) et les autres maladies du motoneurone, la migraine et les céphalées de tension), la schizophrénie et la tuberculose ultrarésistante associée au VIH/sida (voir Tableau 2).

aux indications exactes des médicaments remboursés, mais l'analyse globale des chiffres montre qu'ils sont nombreux à être utilisés pour le traitement de cancers ou de maladies neurodégénératives. Il est donc difficile d'utiliser ces données pour identifier les patients ayant d'importants besoins médicaux non rencontrés. On peut le regretter car cette source de données présente un intérêt potentiel évident pour l'analyse des besoins thérapeutiques des patients.

Encadré 2 – Le Fonds Spécial de Solidarité (FSS)

En Belgique, seuls les médicaments qui ont reçu une autorisation de mise sur le marché de l'Agence européenne des Médicaments (EMA) ou de l'Agence nationale des Médicaments (AFMPS) peuvent être remboursés, et ce *uniquement* dans les indications pour lesquelles ils ont obtenu cette autorisation. Des exceptions existent toutefois, soit via le programme *Unmet Medical Need* déjà évoqué, soit via le Fonds spécial de solidarité (FSS). Dans ces deux programmes, une commission décide d'un éventuel remboursement, par cohorte de patients pour le premier et sur une base individuelle pour le second.

Le FSS est habilité à recevoir les demandes de remboursement en dehors des indications autorisées. Les critères suivants doivent être remplis pour que la demande soit examinée : maladie rare, menace des fonctions vitales, absence d'alternative thérapeutique remboursée et preuve scientifique de l'efficacité/valeur ajoutée. Aucun indicateur de qualité de vie n'entre en ligne de compte.

Pour une question de protection des données personnelles, étant donné que certaines maladies sont extrêmement rares, nous n'avons pas accès



Tableau 1 – Sources de données retenues pour cette étude, avantages et inconvénients

Source	Principaux avantages	Principaux inconvénients
Enquête de santé par interviews (HIS)	• Représentatif de la population belge • Grande taille de l'échantillon • Inclut des estimations de HRQoL pour 38 problèmes de santé	• Données auto-rapportées • Nombre limité de problèmes de santé (communs) évalués; exclusion des problèmes rares • Exclusion de la population de moins de 15 ans des questions sur la fréquence des problèmes de santé
Étude <i>Belgian burden of disease (BeBoD)</i>	• Inclut des estimations de YLD • Données d'incidence extraites du <i>Belgian Cancer Registry</i>	• Données relatives au cancer uniquement, il n'y pas encore d'estimations de YLD pour d'autres problèmes de santé
Programme <i>Unmet Medical Need</i> de l'INAMI	• Liste de 75 problèmes de santé évalués • Attribution des scores en fonction (entre autres critères) de l'impact sur la qualité de vie des patients	• Attribution des scores par des experts
SHARE	• Inclut un indicateur de HRQoL (CASP-12)	• Données auto-rapportées • Limitation aux personnes de plus de 50 ans
<i>Global Burden of Disease</i>	• SMPH disponibles pour un large éventail de problèmes de santé • Possibilité de comparaisons entre pays	• Estimations largement basées sur des données provenant d'autres pays



Le Tableau 2 illustre les différences de classement en fonction du paramètre choisi pour mesurer la perte de qualité de vie.

Tableau 2 – Top 5 des problèmes de santé classés en fonction du fardeau de la maladie, par source de données

HIS 2018 perte de QALY (au niveau de la population)	HIS 2018 perte de HRQoL (au niveau de l'individu)	BeBOD 2018 YLD par cas	INAMI <i>Unmet Medical</i> Needs 2021	SHARE 2017CASP-12	GBD 2017 YLD par cas
Lombalgies	Infarctus du myocarde	Mésothéliome	COVID-19	Cancer	Autres affections neurologiques*
Arthrose	Accident vasculaire cérébral (ou conséquences)	Cancer de site primaire inconnu	Glioblastome nouvellement diagnostiqué	Hypercholestérolémie	Schizophrénie
Problème cervical	Grave état de morosité ou dépression	Cancer de la prostate	Sclérose latérale amyotrophique (SLA)	Hypertension artérielle	VIH/SIDA – Tuberculose ultra-résistante
Hypercholestérolémie	Incontinence urinaire	Cancer de la vessie	Maladie aiguë du greffon contre l'hôte	Autres fractures	VIH/SIDA – Tuberculose multi-résistante (mais non ultra-résistante)
Grave état de morosité ou dépression	Sténose de vaisseaux sanguins (abdomen ou membre inférieur)	Cancer du tractus urinaire (non spécifié)	Cholangiocarcinome localement avancé ou métastatique avec fusion ou réarrangement du récepteur 2 du facteur de croissance des fibroblastes (FGFR2)	Arthrose / autres problèmes rhumatismaux	VIH/SIDA Tuberculose sensible au traitement

* Maladies neurologiques autres que maladie d'Alzheimer et autres démences, maladie de Parkinson, épilepsie, sclérose en plaques, maladie du motoneurone (SLA), migraine et céphalées de tension.



3.2. Liste compilée

À partir des résultats et des informations des cinq sources de données retenues, nous avons établi une liste des problèmes de santé pour lesquels le fardeau de la maladie est le plus élevé et, par conséquent, les besoins des patients potentiellement les plus importants.

Étant données les caractéristiques spécifiques de chaque source de données, il était impossible de les comparer directement entre elles. De plus, pour certaines de ces sources, nous avons retenu plusieurs possibilités de classement (p. ex. pour HIS, le classement par perte de QALY et le classement établi d'après la perte de qualité de vie liée à la santé). En effet, comme mentionné plus haut, des indicateurs comme les QALY, YLD et DALY sont fortement influencés par la prévalence des problèmes de santé envisagés lorsqu'ils sont utilisés à l'échelle d'une population. Ils peuvent donc être utiles pour évaluer les besoins en soins de santé au niveau de la population, mais pas lorsque l'on veut évaluer les besoins individuels des patients. En revanche, les mesures telles que la perte de qualité de vie liée à la santé, le nombre d'YLD/QALY/DALY *par cas*, les scores 'subjectifs' de SHARE et la liste du programme *Unmet Medical Need* de l'INAMI sont surtout focalisées sur ces besoins individuels. Les deux types de mesures sont donc pertinents pour le décideur politique.

Par conséquent, nous avons fait le choix – arbitraire – de sélectionner, dans chaque source de données, les 20 problèmes de santé (16 pour l'étude SHARE) les plus haut classés, ce qui donne un total de 176 problèmes de santé. Une fois les doublons et les problèmes trop vaguement définis (p. ex. 'autres maladies cardiovasculaires') supprimés, il reste 99 problèmes de santé, qui sont présentés dans le Tableau 3 selon un classement par ordre alphabétique. Étant donné la manière dont les différentes bases de données ont été compilées, on observe de grandes variations dans le niveau de détail des problèmes de santé cités. Les cancers y tiennent la place la plus importante (37 problèmes sur 99). Les maladies neurologiques y sont au nombre de 9, les états pathologiques aigus au nombre de 8 et les problèmes psychiatriques au nombre de 6.

Tableau 3 – Liste des 99 problèmes de santé présentant des besoins potentiellement non rencontrés, par ordre alphabétique

Problèmes de santé
Accident vasculaire cérébral (ou conséquences)
Accident vasculaire cérébral ischémique
Allergie
Amylose à chaînes légères
Anémie hémolytique et autres ictères néonataux
Appendicite
Arthrose
Asthme
Bronchite chronique, BPCO ou emphysème
Cancer de l'estomac
Cancer de l'hypopharynx
Cancer de l'œsophage
Cancer de l'uretère
Cancer de l'utérus (pas autrement spécifié)
Cancer de la glande thyroïde
Cancer de la lèvre ou de la cavité buccale
Cancer de la lèvre, cavité buccale ou pharynx (pas autrement spécifié)
Cancer de la prostate
Cancer de la trachée, des bronches ou du poumon
Cancer de la vessie
Cancer de l'ovaire
Cancer des organes génitaux féminins (pas autrement spécifié)
Cancer du cerveau ou du système nerveux
Cancer du col l'utérus (autre que pas autrement spécifié)
Cancer du côlon ou du rectum



Cancer du corps utérin	Epilepsie
Cancer du foie ou des voies biliaires intrahépatiques	Fatigue chronique pendant au moins 3 mois au cours des 12 derniers mois
Cancer du larynx	Fracture de la hanche ou du fémur
Cancer du pancréas (BRCA+ ou pas)	Glioblastome nouvellement diagnostiqué
Cancer du péritoine et du rétropéritoine	Glioblastome récurrent
Cancer du poumon non à petites cellules (NSCLC) métastasé avec expression haute, faible ou sans expression du PD-L1 (1L)	Grave état de morosité ou dépression
Cancer du sein	Hémorragie intracérébrale
Cancer du sinus pyriforme	Hypercholestérolémie
Cancer du tractus urinaire (pas autrement spécifié)	Hypertension artérielle
Cancers malins de la peau	Incontinence urinaire
Carcinome à cellules squameuses de la tête et du cou récurrent et/ou métastasé (SCCHN) avec progression ou après chimiothérapie à base de platine	Infarctus du myocarde
Cataracte	Infections respiratoires basses
Céroïde-lipofuscinose neuronale de type 2 (CLN2)	Leucémie(lymphoblastique aigue)
Cholangiocarcinome localement avancé ou métastatique avec fusion ou réarrangement du récepteur 2 du facteur de croissance des fibroblastes (FGFR2)	Lithiases rénales
COVID-19	Maladie aigue du greffon contre l'hôte
Cystite chronique	Maladie cardiaque grave (autre que myocardique)
Débridement sélectif et précoce des brûlures profondes chez les enfants	Maladie cardiaque ischémique
Défauts de fermeture du tube neural	Maladie d'Alzheimer et autres formes de démence
Déficit en sphingomyélinase acide	Maladie de Parkinson
Dégénérescence maculaire	Maladie rénale chronique
Diabète	Mélanome malin (cutané)
Dystrophie musculaire de Duchenne	Mélanome uvéal métastatique
Édentulisme et perte de dents étendue	Mésothéliome (L2)
	Migraine
	Obstruction du travail lors de l'accouchement et rupture utérine
	Obstruction intestinale et iléus paralytique



Ostéoporose
Perte d'audition due à l'âge ou à d'autres causes
Polyarthrite rhumatoïde
Problèmes intestinaux d'origine vasculaire (ischémiques)
Psoriasis
Rétinopathie diabétique
Schizophrénie
Sclérose en plaques
Sclérose latérale amyotrophique (SLA)
Septicémie néonatale et autres infections néonatales
Sténose des vaisseaux sanguins (abdomen ou membre inférieur)
Suicide (pas par arme à feu)
Syndromes myélodysplasiques
Traitement de ≥3 ligne du cancer du sein métastatique HER2-positif (HER2+ mBC) après échec du trastuzumab emtansin (T-DM1)
Trouble bipolaire
Troubles anxieux
Troubles intestinaux (colon ou intestin grêle)
Tuberculose multi-résistante (mais non ultra-résistante)
Tuberculose ultra-résistante
Tumeurs solides localement avancées ou métastatiques liées à la fusion de gènes NTRK chez les patients adultes et pédiatriques

^k Les PROM (*patient-reported outcome measures*) sont des instruments permettant de mesurer les résultats de santé tels que rapportés par les patients; ils donnent une idée de la manière dont le patient évalue sa propre santé.

^l Les PREM (*patient-reported experience measures*) sont des instruments permettant de mesurer les expériences de soins telles que rapportées par les

Ulcère gastrique
Usage problématique d'opiacés
VIH/SIDA – Tuberculose multi-résistante (mais non ultra-résistante)
VIH/SIDA – Tuberculose sensible au traitement
VIH/SIDA – Tuberculose ultra-résistante

Une observation importante au terme de cette partie de la recherche est que peu de sources de données nationales incluent des indicateurs de qualité de vie et que celles qui le font utilisent des indicateurs hétérogènes, ce qui rend difficile toute comparaison de l'impact des différents problèmes de santé entre eux. L'intérêt de ce type d'indicateurs n'est pourtant plus à démontrer car ils constituent des outils puissants pour définir les priorités en matière de santé. Bien que certaines initiatives nationales aient été mises en place récemment (p. ex. l'étude BeBOD), la Belgique est en retard par rapport à d'autres pays européens où ce type d'indicateurs sont déjà bien implantés (p. ex. aux Pays-Bas). Le KCE avait déjà recommandé l'intégration de l'usage des PROM^k et PREM^l aux politiques de qualité des soins en Belgique^m. Certains projets actuellement en cours, comme le projet PaRIS de l'OCDE pourraient également contribuer à l'intégration des PROM et des PREM dans les bases de données existantes.

Un résultat intéressant de cette analyse des bases de données est que les pathologies pour lesquelles on sait qu'il existe peu de traitements (efficaces) – et pour lesquelles les besoins thérapeutiques sont donc élevés – figurent souvent en tête des listes de besoins possiblement non rencontrés dérivées des bases de données. Cela implique qu'en attendant le développement de ces traitements, les « autres » besoins des patients, par exemple les besoins non thérapeutiques, deviennent plus importants afin de garantir des

patients ; ils donnent une idée de la manière dont le patient a vécu son processus de soins.

^m Voir rapport KCE 303 : <https://kce.fgov.be/fr/l/E2%80%99utilisation-des-r%C3%A9sultats-et-exp%C3%A9riences-rapport%C3%A9s-par-les-patients-promprem-%C3%A0-des-fins-cliniques>



soins centrés sur le patient de haute qualité. Ceci souligne l'importance d'*interroger les patients* sur ces besoins (via une enquête et/ou une recherche qualitative), en plus de l'identification de leurs besoins thérapeutiques via les bases de données existantes.

Une autre remarque importante est que, au sein de chaque pathologie, les besoins des patients individuels peuvent varier.

4. ÉLABORATION D'UN QUESTIONNAIRE GÉNÉRIQUE POUR IDENTIFIER LES BESOINS DES PATIENTS

Ce chapitre décrit le développement d'un questionnaire générique destiné à mesurer les besoins des patients. Ce questionnaire devra être considéré comme un canevas de base pour l'élaboration de questionnaires plus spécifiques du problème de santé étudié.

Une version intermédiaire du questionnaire a été testée avec des patients atteints de COVID long dans le cadre d'une étude pilote (voir section 4.2.) Tous les détails de l'élaboration de ce questionnaire intermédiaire et de l'étude pilote se trouvent dans les chapitres 7 et 8 du rapport scientifique.

4.1. Élaboration du questionnaire générique

Une première version de questionnaire générique a été développée sur la base des éléments identifiés comme pertinents dans la revue de littérature. Ce premier projet comportait sept dimensions (voir chapitre 7 du [rapport scientifique](#)). Sa pertinence, sa clarté et son exhaustivité ont été évaluées par des représentants de patients (LUSS, VPP, RaDiOrg, mutualités, Observatoire des maladies chroniques et quelques associations de patients spécifiques) via une méthode Delphi à deux tours.

Sur la base du feedback du panel Delphi, certains items et dimensions du questionnaire ont été adaptés (simplification de certaines formulations, exemples illustratifs pour faciliter la compréhension, etc.) et d'autres ont été fusionnées. À ce stade, le questionnaire comportait les 12 sections suivantes :

1. **Confidentialité des données et consentement éclairé** : information légale et déclaration de consentement éclairé.
2. **Informations générales** : caractéristiques démographiques des répondants en termes de sexe, d'âge et de niveau d'éducation, ainsi que son statut de répondant (patient ou proche).



3. **Votre état de santé général** : évaluation par les répondants de leur état de santé avant l'occurrence de leur problème de santé et actuellement. Cette évaluation repose sur les cinq dimensions de l'EQ-5D-5L et sur une échelle visuelle analogique.
4. **Autres problèmes de santé** : mention des comorbidités éventuelles.
5. Symptômes (physiques et psychologiques) liés au problème de santé considéré : liste de 44 symptômes avec possibilité d'en ajouter d'autres.
6. **Recours aux soins de santé** : prestataires de soins consultés et degré de satisfaction pour chacun d'eux.
7. **Traitements et soins liés au problème de santé considéré** : champ ouvert pour mentionner les différents traitements reçus et évaluer le degré de satisfaction pour chacun d'eux.
8. **Lourdeur du traitement** : questions sur la pénibilité du/des traitement(s) et champ ouvert sur les effets indésirables ressentis.
9. **Accessibilité des soins** : soins non reçus et raisons pour lesquelles ces soins n'ont pas été reçus.
10. **Accessibilité des informations sur le problème de santé considéré** : degré de satisfaction vis-à-vis des informations reçues au sujet du problème de santé considéré.
11. **Conséquences financières** : existence de conséquences financières suite au problème de santé considéré et champ ouvert pour décrire ces éventuelles conséquences.
12. **Réseau d'aide autour de vous** : besoins d'aide pour les activités de la vie quotidienne et besoins relationnels.

À l'issue de l'étude pilote (voir section 4.2), les points 7 et 8 ont été fusionnés, ainsi que les points 6 et 9. Les résultats du processus Delphi et les étapes intermédiaires du questionnaire sont détaillés dans le chapitre 7 du rapport scientifique.

4.2. Étude pilote

Pour vérifier si notre approche méthodologique permet bien d'identifier les besoins des patients en situation réelle, nous souhaitons réaliser une étude pilote auprès d'une population spécifique de patients. Le choix s'est porté sur les personnes atteintes de COVID long, étant donné que le KCE avait reçu à ce moment une demande d'étude sur ce sujet. La population potentiellement concernée était en outre suffisamment large pour affiner le questionnaire générique et pour mettre en œuvre des approches qualitatives (forum en ligne et interviews individuelles) pour approfondir l'analyse des besoins des patients.

4.2.1. Enquête en ligne

Pour les besoins du thème spécifique du COVID long, une section sur l'épisode aigu de COVID-19 a été ajoutée au questionnaire générique : comment et par qui le diagnostic a-t-il été posé ? Y a-t-il eu hospitalisation ? (dans quel type d'unité ? pendant combien de temps ?). Comme prévu, certaines questions ont été adaptées aux spécificités du problème de santé « COVID long ».

Le recrutement des participants s'est fait via divers canaux de communication (site web du KCE, e-mailing, associations de patients, groupes de soutien de patients atteints de COVID long sur les réseaux sociaux et médias généraux). Les organisations faîtières des associations de patients (LUSS et VPP) et les mutualités ont également relayé l'appel. Le questionnaire a été mis en ligne via LimeSurvey le 27/01/2021 et s'est clôturé le 14/02/2021.

Au total, 1 320 questionnaires ont été retenus pour analyse. La majorité des répondants (74,8 %) étaient des femmes. La proportion de personnes ayant un niveau d'éducation élevé était relativement importante (55,9 %) et 82 % avaient un travail rémunéré avant leur épisode de COVID-19 aigu.



4.2.2. Étude qualitative

À la fin du questionnaire, il était demandé aux participants s'ils souhaitaient participer à l'une des deux modalités ultérieures de l'étude qualitative (un seul choix possible). Au total, 167 participants (12,7 %) à l'enquête ont souhaité participer au forum et 101 ont effectivement participé. La majorité étaient des femmes (77,3 %) et avaient un niveau d'éducation élevé (40,3 %). Par ailleurs, 33 interviews approfondies ont été réalisées ; ici aussi, la majorité des participants étaient des femmes (20 sur 33).

Des informations supplémentaires sur les participants aux différentes phases de cette étude pilote ainsi que l'analyse des réponses relatives au COVID long sont relatées dans le rapport KCE 344 sur le COVID longⁿ.²⁰

4.3. Enseignements du panel Delphi et de l'étude pilote

4.3.1. Questionnaire générique

Suite au panel Delphi et à l'étude pilote, nous avons pu tirer quelques conclusions intéressantes pour l'utilisation du questionnaire générique.

- **Il est nécessaire de collecter suffisamment d'informations sur le problème de santé concerné avant d'élaborer un questionnaire spécifique**

Pour élaborer un questionnaire sur les besoins des patients atteints d'un problème de santé particulier, il est nécessaire d'avoir une connaissance suffisante du problème en question, de ses symptômes et de ses traitements. Ces informations peuvent être trouvées via une revue de la littérature et/ou une consultation des patients concernés (idéalement via une association de patients, afin de bénéficier de leur connaissance collective du vécu des patients) et/ou de professionnels de santé experts du problème en question.

- **La possibilité à un aidant proche de remplir l'enquête au nom d'un patient doit être prévue.**

Certaines populations ou problèmes de santé ne peuvent être étudiés sans offrir la possibilité à un proche de remplir le questionnaire. Il faut donc que cette possibilité soit prévue dans le questionnaire et que des instructions claires soient données sur la façon de le remplir, le cas échéant. Ces instructions peuvent par exemple être formulées comme suit : « *La personne que vous représentez n'est pas en mesure de prendre une décision éclairée de participation pour le moment. En cochant cette case, vous participez à cette étude en fonction de sa volonté probable de participer. Veuillez répondre à toutes les questions comme si vous étiez la personne. Pour la plupart des questions, vous pouvez indiquer 'je ne sais pas' si vous ne savez pas comment la personne répondrait* ».

Lorsqu'il s'agit d'enfants ou de mineurs d'âge, les instructions peuvent être complétées comme suit : « *En cochant cette case, vous confirmez que vous agissez conformément à la volonté présumée de l'autre parent du mineur que vous représentez et que vous vous engagez à informer l'autre parent dès que possible de votre participation au nom de ce mineur.* »

Ces instructions sont destinées à réduire les faiblesses éventuelles des réponses formulées par un proche. Nous sommes conscients que ces faiblesses ne peuvent pas être complètement éliminées, mais nous considérons qu'il est plus important que tous les problèmes de santé et toutes les populations de patients puissent être étudiées que d'obtenir des réponses totalement impartiales.

- **Le questionnaire générique doit être adapté à chaque problème de santé investigué**

Le questionnaire générique n'est pas destiné à être utilisé tel quel ; il doit servir de canevas de base pour développer un questionnaire spécifique à

ⁿ Rapport KCE 344 : <https://kce.fgov.be/fr/besoins-et-suivi-des-patients-atteints-de-covid-long>



chaque problème de santé investigué. Il sera donc **toujours** nécessaire de l'adapter. Quelques exemples d'adaptations nécessaires :

- La question sur l'état de santé du patient avant et après l'apparition de son problème n'est généralement pas pertinente pour les troubles congénitaux.
 - La question sur le(s) traitement(s) reçu(s) et la satisfaction à l'égard de ce(s) traitement(s) peut être complétée par une question sur les besoins et les attentes des patients qui ne reçoivent actuellement aucun traitement, quelle qu'en soit la raison. Par exemple, on pourrait leur demander quel type de traitement ils souhaiteraient (p. ex. un traitement médicamenteux pour soulager la douleur, des séances de rééducation, etc.)
 - Toutes les questions relatives au problème de santé concerné doivent être adaptées à ce problème. Dans de nombreux cas, il suffit de remplacer « votre maladie » dans la formulation générique par le nom de la maladie ou du problème de santé évoqués.
- **Le format du questionnaire doit être adapté à la population de patients concernés**

Le format choisi pour le questionnaire est également un élément important, car il détermine la participation des patients à l'enquête et pourrait induire un biais de sélection. Par exemple, si le questionnaire est proposé en ligne (comme dans notre étude pilote), il existe un risque de ne pas atteindre les populations qui n'ont pas ou pas facilement accès à internet, soit par choix/style de vie, soit en raison de leur situation précaire. L'âge est un facteur important à cet égard.

- **Il est nécessaire de faire largement connaître l'existence de l'enquête**

On suppose souvent qu'il est plus difficile d'atteindre la population cible lorsqu'il n'existe pas d'association de patients. Cependant, notre expérience nous a montré qu'il est possible d'atteindre les patients concernés en multipliant les moyens de communication pour recruter des participants (conférence de presse, réseaux sociaux tels que Facebook, contact avec des organisations faïtières d'associations de patients). Bien sûr, cette

expérience a probablement été biaisée par le fait que le COVID long était un sujet suscitant beaucoup d'attention médiatique. Néanmoins, même si des efforts supplémentaires peuvent être nécessaires pour les problèmes de santé moins fréquents, nous pensons que faire appel à des organisations faïtières d'associations de patients, aux mutualités et aux prestataires de soins reste une solution efficace.

- **Les questions doivent être claires et sans ambiguïté**

Le panel Delphi a permis de constater que certaines questions n'étaient pas suffisamment clairement formulées ou pouvaient donner lieu à des interprétations en sens divers. C'est pourquoi plusieurs questions initialement ouvertes (p. ex. l'existence de comorbidités) ont été remplacées par une liste non exhaustive de réponses possibles (avec possibilité de choisir une ou plusieurs réponses).

- **Les options de réponse doivent être facilement exploitables par les chercheurs**

Les options de réponse au questionnaire doivent être choisies de manière à être facilement exploitables par les chercheurs, sans possibilité d'interprétation subjective. Ceci peut être facilité par l'utilisation d'une **liste non exhaustive de réponses possibles**, ce qui présente plusieurs avantages, notamment la facilité pour le patient (qui ne doit pas écrire lui-même certains termes compliqués) et la facilité d'analyse pour les chercheurs. Attention cependant, fournir une liste trop longue peut décourager les répondants et entraîner un abandon.

Bien que des **champs ouverts** soient souvent utiles pour recueillir des informations auxquelles les chercheurs n'avaient pas pensé, nous recommandons d'en limiter autant que possible le nombre étant donné la difficulté à les analyser (nécessité de recodage avec un risque inhérent de mauvaise interprétation par la personne qui réencode). Nous pensons que le fait d'offrir la possibilité de choisir « autre » comme option de réponse est suffisant pour indiquer que certains autres points devraient être explorés plus en profondeur dans la partie qualitative. Les principales difficultés rencontrées avec les champs ouverts lors de l'étude pilote étaient des réponses trop brèves pour pouvoir être interprétées valablement ou des réponses trop détaillées, parfois en rapport avec les questions suivantes.



Le défi consiste donc à trouver le bon équilibre entre proposer des réponses prédéfinies et laisser suffisamment de place aux apports personnels des répondants.

4.3.2. Étude qualitative : forum en ligne et interviews

Notre évaluation a montré que les forums en ligne et les interviews sont des techniques appropriées pour affiner l'identification des besoins des patients. Chacune a cependant ses limites, ses exigences, ses avantages et ses inconvénients qui varient en fonction de la population concernée, du problème de santé investigué et des ressources allouées à l'étude. Par exemple, un forum est intéressant pour stimuler l'interaction entre les participants ; par conséquent, il n'aura pas de succès sur les sujets où le consensus est important car il y aura peu de controverse entre les participants, et donc des échanges moins riches, ce qui n'apportera pas de valeur ajoutée par rapport à l'enquête en ligne.

L'expérience de notre étude pilote nous a permis de tirer les conclusions suivantes :

- Un forum en ligne permet d'identifier un grand nombre d'informations sur les besoins des patients ;
- La majorité des participants au forum a apprécié cette approche ;
- Les besoins identifiés via le forum et via les interviews individuelles étaient en grande partie les mêmes. Néanmoins, les informations générées par ces deux techniques de collecte de données avaient des caractéristiques différentes :
 - les interviews ont livré une histoire plus complète, avec des réponses plus contextualisées, mais seulement pour la moitié des besoins,
 - le forum a généré une plus grande diversité d'informations liées aux besoins et davantage de suggestions pour améliorer la situation des patients. Cela est probablement dû au nombre plus élevé de répondants. Malheureusement, le manque d'interactivité pendant le forum et le fait que les répondants n'ont pas toujours

réagi aux questions du modérateur n'ont pas permis de clarifier toutes les idées ;

- Quelques points d'attention ont été mis en évidence par rapport à l'utilisation d'un forum en ligne :
 - Pour éviter toute frustration chez les patients, il est important de formuler clairement dès le départ les objectifs du forum et la manière dont il va se dérouler ;
 - Les compétences des modérateurs et leur affinité avec la méthode sont importantes (modération, médiation, recherche qualitative). Pour les aspects médicaux, une connaissance minimale du problème de santé est souhaitable ; sinon, il convient de prévoir une personne ressource disposant de ces connaissances. Une affinité avec la communication écrite est nécessaire ;
 - Le choix de la plateforme utilisée pour le forum doit prendre en compte la convivialité et les possibilités d'interactivité ;
 - Tout problème ou préoccupation doit idéalement être discuté rapidement entre les modérateurs et l'équipe de recherche ;
- Il est nécessaire de prévoir une période d'environ 3 semaines pour la collecte des données, avec une communication préalable sur la planification de la publication de nouveaux sujets ;
- Il semble approprié de demander aux participants de se connecter au moins tous les 3 jours ;
- La modération requiert 2 à 3 heures par jour à répartir en petites périodes sur la journée ;
- Dans le cas du COVID long, l'invitation à participer à un projet de recherche qualitative après avoir répondu à une enquête en ligne a attiré des patients relativement plus instruits et /ou plus lourdement touchés par la maladie. En ce qui concerne le choix entre les deux dispositifs proposés, il semble que le forum ait attiré des personnes moins affectées par la maladie que les entretiens individuels.



En conclusion, notre étude pilote nous conforte dans l'idée que l'approche à partir d'un questionnaire générique adapté au problème de santé investigué (sur la base d'une revue de la littérature et de la contribution des associations de patients consultées), et suivi d'une étude qualitative auprès d'un échantillon restreint issu des participants à l'enquête, est la meilleure manière de capter avec suffisamment de nuances les besoins des patients atteints d'un problème de santé donné. Dans le chapitre suivant, nous proposons un modèle d'implémentation structurée basée sur cette approche.

5. UNE MÉTHODE POUR IDENTIFIER LES BESOINS DES PATIENTS EN BELGIQUE

Il n'est pas réaliste d'attendre de patients individuels, de citoyens ou de professionnels de la santé qu'ils effectuent des recherches quantitatives et qualitatives approfondies sur les besoins des patients avec l'objectif de créer une liste *evidence-based* de besoins identifiés. Il semble plus approprié de confier cette responsabilité à une instance scientifique qui dispose des compétences requises pour mettre en place et exécuter (ou coordonner) les études nécessaires à une telle collecte. Deux scénarios sont possibles : soit créer une nouvelle instance, soit mandater une instance ou organisation existante. L'approche proposée suggérée dans ce chapitre est indépendante du scénario qui sera finalement choisi. Nous parlerons donc simplement de « l'instance responsable ».

5.1. Comment utiliser les données

L'instance responsable aura pour premier objectif de collecter des données détaillées sur les besoins des patients sur différents problèmes de santé, pour ensuite les mettre à la disposition des stakeholders qui en ont besoin pour mener à bien leurs missions quelles qu'elles soient. Il est impossible de dresser un aperçu exhaustif de tous les stakeholders potentiels et de la manière dont ils pourraient mettre en œuvre ces informations, mais nous aimerions mettre en évidence ci-après quelques exemples concrets :

- L'INAMI pourrait intégrer ces informations dans son programme *Unmet Medical Need* mais aussi, de façon plus générale, dans l'ensemble des décisions de remboursement des produits et services médicaux ;
- Les chercheurs, l'industrie et les organismes de financement de la recherche pourraient utiliser ce type d'informations pour cibler le développement de nouvelles interventions ou de nouveaux traitements répondant aux besoins les plus importants chez les patients ;
- Les prestataires de soins pourraient utiliser ces informations dans leur pratique quotidienne pour aborder des aspects auxquels ils ne pensent peut-être pas immédiatement ;



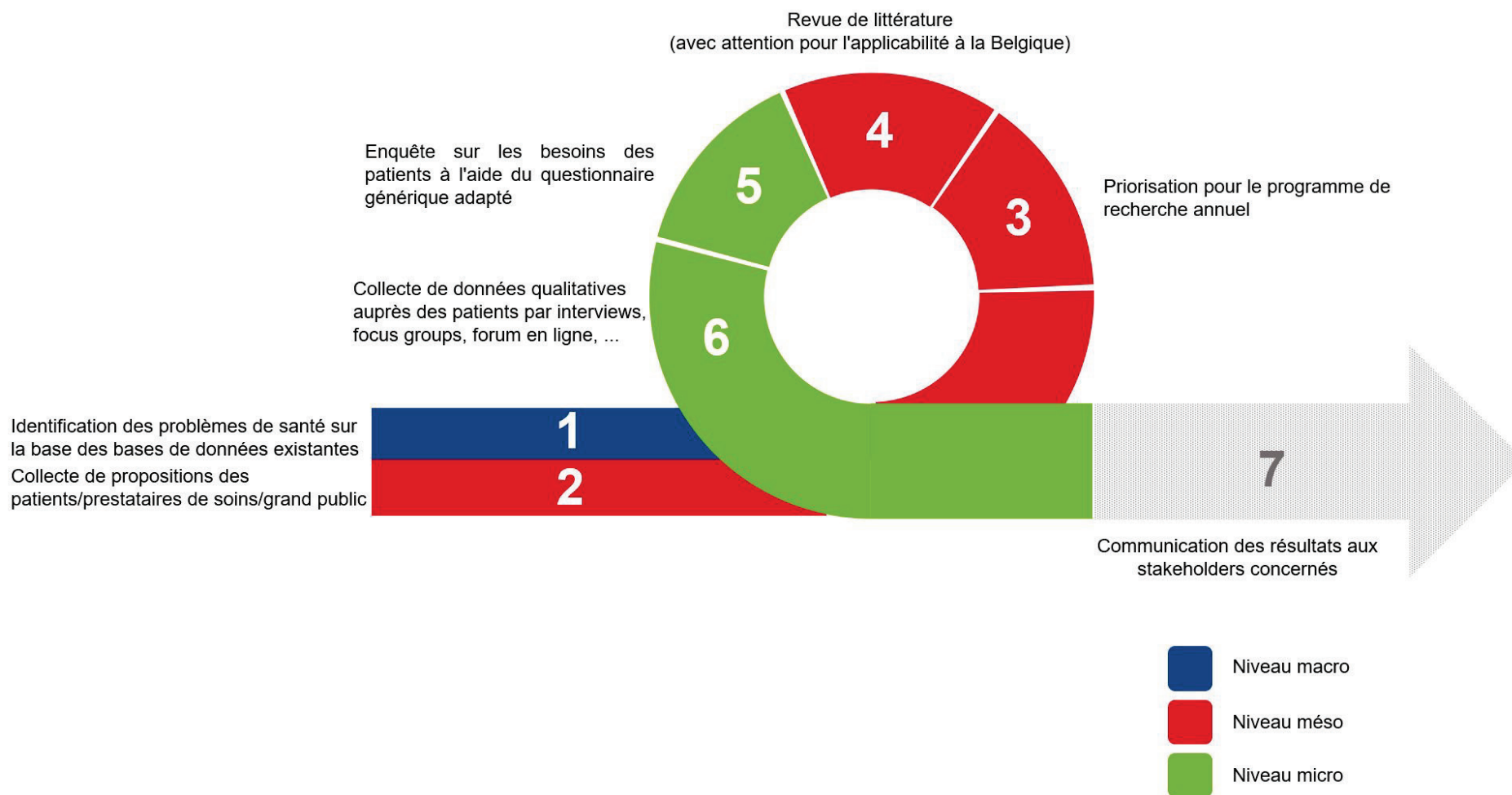
- Les mutualités et les associations de patients pourraient utiliser les informations sur les besoins des patients dans leurs stratégies d'information et d'éducation du patient et/ou du public, et dans leur communication avec les responsables des politiques de santé. Ainsi par exemple, dans l'étude pilote sur le COVID long, les patients ont souligné que le manque d'information sur leur état de santé était un problème majeur à leurs yeux. Ils ont ressenti un manque de reconnaissance de leur problème de santé et ont eu l'impression de devoir se justifier de façon répétée par rapport au fait qu'ils étaient malades.

5.2. Un modèle en sept étapes

Nous proposons donc un modèle global intégrant 7 étapes – réparties en 3 niveaux – pour l'identification des besoins des patients.



Figure 2 – Modèle pour l'identification des besoins des patients en Belgique





5.2.1. Étape 1

La première étape consiste à identifier les pathologies pour lesquelles une collecte de données plus approfondie sera nécessaire afin d'identifier les besoins précis des patients. Cette étape est une nécessité car les ressources disponibles pour mener des études sur les besoins des patients sont évidemment limitées. Cette sélection devrait être **alimentée – au moins en partie – par des données provenant de sources belges** chaque fois que c'est possible, comme l'étude de santé par interviews (HIS), la liste du programme *Unmet medical need* de l'INAMI, l'étude *Belgian Burden of Disease* et SHARE, auxquelles on peut ajouter les estimations pour la Belgique de l'étude *Global Burden of Disease*. Malgré les limites de chacune de ces bases de données, elles peuvent fournir une première indication approximative des (groupes de) pathologies où l'impact sur la qualité de vie liée à la santé est élevé (voir chapitre 3). Lors de cette étape, il faudra veiller à ne pas se concentrer uniquement sur les indicateurs de population, souvent fortement déterminés par la prévalence du problème de santé concerné, et à maintenir un équilibre entre les problèmes dont l'impact individuel est élevé et à ceux dont l'impact est important au niveau de la population. Le Fonds spécial de Solidarité de l'INAMI, l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) et l'Agence européenne des Médicaments (EMA) devraient également être impliqués lors de la priorisation des groupes de pathologies car ils détiennent des informations et une expertise importantes sur les besoins médicaux non satisfaits des patients. À l'avenir, d'autres bases de données pertinentes, actuellement en cours de développement, devront également être prises en compte dans cette étape.

5.2.2. Étape 2

L'étape 2 consiste à **inviter les patients ou associations de patients, les prestataires de soins et le grand public à introduire des propositions** de problèmes de santé qu'ils estiment devoir être pris en compte. Les demandes pourraient également porter sur un symptôme spécifique pouvant être la manifestation de problèmes de santé différents (p. ex. l'hémiplégie), élargissant ainsi le champ d'application, d'une approche purement axée sur la maladie à une approche axée sur la condition.

L'importance de cette étape est de pallier aux limitations des bases de données étudiées à l'étape 1, c'est-à-dire l'hétérogénéité des indicateurs de qualité de vie utilisés et l'hétérogénéité dans la granularité des définitions des pathologies. Les propositions peuvent concerner les pathologies définies à l'étape 1, ou d'autres problèmes de santé. Cette dernière possibilité doit rester ouverte, notamment pour les maladies rares, les maladies nouvelles ou les problèmes de santé pour lesquels il n'existe pas d'associations de patients.

5.2.3. Étape 3

L'étape 3 consiste à **sélectionner des problèmes de santé spécifiques** pour établir le **programme annuel de l'instance responsable**. La sélection devrait se baser sur une première *long list* établie sur la base des résultats des étapes 1 et 2, via une procédure de sélection basée sur des critères explicites et des considérations éthiques (p. ex. ne pas désavantager les patients souffrant d'affections moins répandues).

L'instance responsable devra développer une procédure (*process note*) pour la sélection des problèmes de santé en vue de la constitution du programme annuel, en précisant les critères de sélection et les modalités d'évaluation et de classement des propositions. Cette procédure devrait être répétée chaque année, et les sujets non retenus une année pourraient être reconsidérés l'année suivante.

5.2.4. Étape 4

L'étape 4 consiste à réaliser, pour chaque problème de santé sélectionné, **une revue de la littérature** afin (1) d'identifier les données probantes existantes sur les besoins des patients et le fardeau de leur problème de santé, (2) de collecter des informations sur les traitements disponibles et leur efficacité, et (3) de préparer les modifications à apporter au questionnaire générique (voir étape 5). En effet, tant pour les chercheurs que pour les décideurs, il est primordial d'être suffisamment et correctement informé sur un problème de santé, ses traitements ou ses stratégies de gestion – et sur les lacunes en matière de données probantes à ce sujet – pour pouvoir faire des choix en toute connaissance de cause. Ces informations sont également cruciales pour comprendre et interpréter les



besoins des patients. Il faut toutefois rester attentif à prendre en compte la pertinence des informations recueillies pour le contexte belge (disponibilité de certains traitements, normes de soins différentes...).

Certaines initiatives belges pourraient également fournir des informations utiles dans cette étape. Par exemple, le projet PaRIS (OCDE) sur les PROM et les PREM de patients chroniques par rapport aux soins de santé de première ligne (résultats pour la Belgique attendus fin 2022) ou le projet de la *Vlaams Patiëntenplatform* (VPP) relatif aux besoins d'innovation des patients chroniques.²¹

L'instance responsable devra élaborer une procédure (*process note*) pour la consultation des bases de données de la littérature (lesquelles consulter, de quelle manière synthétiser les données probantes collectées, comment les traduire en adaptations du questionnaire générique à l'étape 5).

5.2.5. Étape 5

L'étape 5 consiste à **collecter des données auprès de patients belges** (ou de proches dans les cas où le patient ne peut pas s'exprimer) via une enquête. Dans cette étude, nous avons développé un **questionnaire générique** permettant ce type de collecte de données. Ce questionnaire doit être considéré comme un canevas élaboré, qui doit être adapté au problème de santé spécifique étudié, sur la base de la revue de littérature de l'étape 4 et de consultations de patients et de prestataires de soins. Ceci permet de prendre en compte certains besoins spécifiques qui ne sont pas inclus dans le questionnaire générique. Des questions spécifiques au sujet de ces besoins peuvent être ajoutées au questionnaire. Nous recommandons toutefois de ne pas ajouter trop de questions ni de modifier la formulation des questions afin de préserver sa validité et sa faisabilité. L'objectif de cette approche est d'utiliser un questionnaire similaire pour tous les états de santé et toutes les populations, afin de garantir l'égalité de traitement des différentes populations et de minimiser les biais introduits par les chercheurs lorsqu'ils interrogent les patients sur leurs besoins. Si des informations plus

approfondies sont nécessaires – par exemple pour traduire les résultats de l'étude des besoins des patients en mesures (politiques) concrètes – elles doivent être abordées dans la partie qualitative de l'exercice de collecte des données. Le choix de la méthode d'administration du questionnaire (en ligne, papier, auto-administré ou avec l'aide d'un tiers) devra également être réfléchi, entre autres afin de permettre la prise en compte de l'ensemble de la population cible (y compris les patients avec une faible littéracie numérique, et ceux qui n'ont pas recours aux soins).

L'instance responsable devra élaborer une procédure (*process note*) pour l'adaptation du questionnaire générique (qui doit le réviser, comment impliquer les patients dans cette étape, si des prétest et une étude pilote sont nécessaires, auprès de combien de personnes, etc.), le recrutement des patients (avec l'aide de tous les acteurs pertinents dans le domaine de l'étude, y compris du secteur social et associatif), la collecte de données, etc.

5.2.6. Étape 6

L'étape 6 consiste à **approfondir les besoins identifiés** par l'enquête au moyen de techniques de **recherche qualitative** (interviews individuelles, *focus groups*, forum en ligne...). Le choix de la technique sera adapté à la population de patients, à leurs préférences et à leurs capacités. Il peut être intéressant d'inclure les prestataires de soins de santé et les aidants proches dans cette étape, en particulier s'ils sont eux-mêmes confrontés à des besoins importants en raison de l'état des patients ou si les patients ont une capacité limitée à s'exprimer.

L'instance responsable devra élaborer une procédure (*process note*) pour la recherche qualitative (choix d'une technique, modalités d'implication des patients et/ou des prestataires de soins, etc.) La *process note* du KCE sur l'implication des patients peut servir de source d'inspiration^o.

^o <https://kce.fgov.be/fr/guide-op%C3%A9rationnel-pour-l%E2%80%99implication-des-patients-dans-les-projets-de-recherche-au-kce>



5.2.7. Étape 7

L'étape 7 consiste à **communiquer les résultats aux stakeholders**, à charge pour eux d'en faire ensuite usage. Par les stakeholders concernés, on entend ici les autorités de santé, l'INAMI, les mutualités, les associations de patients, les prestataires de soins, les organismes de financement de la recherche, l'industrie pharmaceutique et des dispositifs médicaux, etc. Certains organismes actifs au sein des entités fédérées pourraient également faire usage des résultats pour améliorer leurs politiques et leurs activités.

Pour une utilisation adéquate des données dans le cadre de la demande de remboursement par l'INAMI, il convient d'exiger d'inclure des indicateurs des besoins des patients dans le dossier de demande de remboursement d'une intervention de santé, ainsi que la preuve de l'impact de l'intervention sur ces indicateurs. Pour ce faire, il faudrait prévoir de collecter de manière systématique des indicateurs des besoins des patients, aussi dans les études cliniques.

L'instance responsable devra élaborer une procédure (*process note*) pour la communication des résultats des études aux différents stakeholders. Le rôle de certains stakeholders spécifiques pour la diffusion de ces résultats pourra y être décrit.

5.3. Quelles sont les ressources nécessaires pour mettre en œuvre cette approche ?

Sur la base de notre expérience de l'étude pilote, il nous semble raisonnable de prévoir pour la mise en œuvre de recherches sur les besoins des patients:

- des experts en **recherche quantitative** (notamment un analyste de données) pour l'analyse des données des bases de données existantes et des réponses aux enquêtes auprès des patients ;
- des experts en **recherche qualitative** (techniques d'interview, de modération orale (*focus groups*) et écrite (forums en ligne)) et des experts en recherche sociologique pour l'interprétation et la contextualisation des résultats qualitatifs.

- des experts médicaux, paramédicaux et en santé publique pour aider à interpréter les résultats des analyses de bases de données, les réponses en champ libre dans l'enquête et la revue de littérature, et pour contribuer à l'adaptation du questionnaire générique ;
- des experts en revue de littérature scientifique ;
- un expert en communication chargé de diffuser largement l'enquête auprès de tous les participants potentiels et de communiquer (activement) les résultats aux stakeholders ;
- un personnel de soutien pour l'organisation de l'enquête (y compris les aspects informatiques, l'envoi d'invitations (et de rappels), la prise de contact avec les personnes concernées par les interviews/*focus groups* ;
- des ressources financières pour, par exemple, des petites attentions pour les participants, les licences pour les outils en ligne, les sous-traitances éventuelles.

La gestion globale de l'instance responsable nécessite l'engagement d'un gestionnaire de programme pour l'organisation et de la planification du programme annuel, y compris le lancement de l'appel à propositions. Il est également important d'impliquer les patients et/ou leurs représentants tout au long du processus, ainsi que les prestataires de soins et éventuellement d'autres stakeholders. Cela nécessite du temps et des ressources tant de la part de l'instance responsable que des stakeholders.



6. CONCLUSION

Cette étude propose une méthode d'identification des besoins des patients dont la charge de morbidité est potentiellement lourde. Sa mise en œuvre devrait permettre aux soins de santé et à la politique de santé de s'axer davantage sur les besoins réels des patients. Différentes initiatives en ce sens existent déjà au niveau fédéral comme l'usage compassionnel et les programmes médicaux d'urgence de l'AFMPS, le programme *Unmet Medical Need* de l'INAMI, le Fonds Spécial de Solidarité (voir Encadré 2) ou l'Observatoire des maladies chroniques. Cependant, ces initiatives n'ont pas toujours à leur disposition les données probantes nécessaires pour exploiter pleinement leurs possibilités. Avec notre proposition, nous espérons contribuer à des prises de décision plus solidement étayées et davantage orientées sur la demande en Belgique. En intégrant les besoins réels des patients dans les équations de remboursement, l'INAMI et le ministre de la santé peuvent améliorer l'efficacité des soins de santé, car c'est précisément là où les besoins sont les plus élevés que les gains potentiels en santé ou en qualité de vie des patients sont les plus importants.

L'orientation patient est une valeur centrale du système de soins de santé belge ; en lui donnant une assise scientifique plus solide, elle ne peut que gagner en qualité. On peut en attendre un impact à différents niveaux de la société : diminution de la charge de morbidité dans la population, diminution des coûts (liés aux soins, aux revenus de remplacement, etc.) et de la pression sur la sécurité sociale, amélioration de la (ré)intégration sur le marché du travail, diminution du fardeau des aidants proches, etc. Nous sommes également convaincus que l'identification des besoins des patients, telle que nous la proposons, ne servira pas seulement l'AFMPS et l'INAMI mais aussi de nombreux autres stakeholders, tant au niveau politique qu'opérationnel et tant au niveau national qu'international.

Nous songeons en particulier à l'Agence européenne des Médicaments, qui a mis en place le programme PRIME pour stimuler le développement de nouveaux médicaments ciblant des besoins médicaux non rencontrés en renforçant le soutien aux firmes lors de l'introduction d'une demande d'autorisation de mise sur le marché et en accélérant l'évaluation de nouveaux produits qui rencontrent des besoins importants des patients. Dans ce cadre, une évaluation scientifiquement étayée des besoins non rencontrés des patients, telle que proposée dans l'étude actuelle, ne peut que trouver sa place. Des collaborations pourraient également être envisagées avec d'autres pays, de manière à pouvoir investiguer un plus grand nombre de pathologies sur un plus grand nombre de patients, ce qui pourrait avoir un impact formidable, en particulier pour les maladies rares.



■ RECOMMANDATIONS^P

Dans le domaine des soins de santé, la prise de décision fondée sur des données probantes et axée sur les besoins des patients tient compte des besoins des patients dans les décisions de remboursement, les activités de R&D, la recherche (para)médicale, les traitements, les campagnes d'information, etc. Elle améliore à la fois la qualité et l'efficacité des soins de santé : plus l'accent est mis sur les besoins importants des patients, plus les gains possibles en termes de santé ou de qualité de vie des patients sont élevés, et donc meilleurs sont les résultats pour une quantité donnée de ressources. L'orientation vers le patient est également une valeur importante dans le système de santé belge et est considérée comme une composante de soins de santé de haute qualité.

Afin de promouvoir une prise de décision fondée sur des données probantes et axée sur les besoins, nous adressons les recommandations suivantes :

RECOMMANDATION 1 :

Au Ministre de la Santé publique et des Affaires sociales :

- 1.1. Favoriser et promouvoir une politique de santé axée sur les besoins des patients qui auront été identifiés par des approches scientifiques.
- 1.2. Donner mandat à une instance scientifique et indépendante existante, pour mettre en place un programme d'identification des besoins des patients et pour explorer les collaborations internationales possibles pour cette activité.
- 1.3. Soutenir la méthode proposée dans ce rapport lors du mandat de cette instance et lui fournir les ressources financières nécessaires, en tenant compte des compétences requises pour la réalisation des études sur les besoins des patients.

RECOMMANDATION 2 :

Au Service Public Fédéral Santé publique, Sécurité de la Chaîne alimentaire et Environnement :

- 2.1. Définir les priorités politiques dans le domaine des « thèmes liés aux patients » en se basant sur les résultats des études sur les besoins des patients.

^P Le KCE reste seul responsable des recommandations.

**RECOMMANDATION 3 :**

À l'Agence européenne des Médicaments (EMA) et à l'Agence fédérale des Médicaments et des Produits de santé (AFMPS)

- 3.1 Utiliser les résultats des études sur les besoins des patients dans l'évaluation des médicaments pour lesquels un accès accéléré au marché est demandé.

RECOMMANDATION 4 :

Aux organes de l'INAMI impliqués dans l'évaluation du remboursement des traitements ou d'autres interventions de santé :

- 4.1 Prendre en compte les résultats des études sur les besoins des patients lors de l'évaluation et de l'appréciation de la pertinence du remboursement d'un traitement ou d'autres interventions en santé. La rencontre, scientifiquement démontrée, des besoins importants des patients, devrait être une condition du remboursement.

RECOMMANDATION 5 :

Aux organes de l'INAMI impliqués dans le programme Unmet Medical Need (Conseil général, Commission d'avis en cas d'intervention temporaire dans l'usage d'un médicament (CAIT), Collège des médecins-directeurs) :

- 5.1 Utiliser les résultats des études sur les besoins des patients dans l'évaluation et le classement des propositions pour la liste des besoins médicaux non satisfaits en plus des informations fournies par les experts médicaux et/ou les entreprises pharmaceutiques.
- 5.2 Utiliser les informations sur les besoins les plus importants des patients et l'impact attendu du traitement proposé sur ces besoins dans l'évaluation des demandes de cohorte des entreprises pharmaceutiques qui sollicitent un remboursement temporaire dans le cadre du programme *Unmet Medical Need*.

RECOMMANDATION 6 :

Aux représentants des patients, l'Observatoire des maladies chroniques et aux mutualités :

- 6.1 Participer activement aux études sur les besoins des patients en soumettant des propositions à l'instance responsable et faire connaître ces initiatives aux patients y compris ceux qui ne sont pas représentés par des organisations de patients.



6.2 Soutenir les études sur les besoins des patients par des procédures d'implication des stakeholders.

6.3 Utiliser les résultats des études sur les besoins des patients pour hiérarchiser les activités destinées à des groupes de patients spécifiques et éventuellement à d'autres stakeholders.

RECOMMANDATION 7 :

Aux prestataires de soins de santé :

7.1 Utiliser les résultats des études sur les besoins des patients dans leur pratique quotidienne pour améliorer la qualité des soins et l'expérience des patients.

RECOMMANDATION 8 :

Aux scientifiques, aux organismes de financement de la recherche et à l'industrie :

8.1 Aligner la recherche et le développement de nouvelles interventions en santé sur les principaux besoins des patients.

RECOMMANDATION 9 :

À Sciensano, au Registre du cancer et aux autres propriétaires de bases de données en santé :

9.1 Promouvoir et participer à des initiatives visant à collecter des données sur la charge de morbidité des maladies au niveau national et individuel, en utilisant des indicateurs épidémiologiques intégrant la prévalence, la mortalité, la morbidité, la durée et l'impact sur la qualité de vie des problèmes de santé ou des facteurs de risque.



■ RÉFÉRENCES

1. Institute for Health Metrics and Evaluation (IHME). Global Burden of Disease Study. In. Washington.
2. van Lier A, McDonald SA, Bouwknegt M, group EPI, Kretzschmar ME, Havelaar AH, et al. Disease Burden of 32 Infectious Diseases in the Netherlands, 2007-2011. PLoS ONE [Electronic Resource]. 2016;11(4):e0153106.
3. Slade M, Thornicroft G, Loftus L, Phelan M, Wykes T. Adult Camberwell Assessment of Need (CAN). Royal College of Psychiatrists; 1999.
4. Stein J, Liegert P, Dorow M, König HH, Riedel-Heller SG. Unmet health care needs in old age and their association with depression - results of a population-representative survey. Journal of Affective Disorders. 2019;245:998-1006.
5. Asadi-Lari M, Packman C, Gray D. Unmet health needs in patients with coronary heart disease: implications and potential for improvement in caring services. Health and Quality of Life Outcomes. 2003;1(1):26.
6. Asadi-Lari M, Packman C, Gray D. Psychometric properties of a new health needs analysis tool designed for cardiac patients. Public Health. 2005;119(7):590-98.
7. van Walsem MR, Howe EI, Ruud GA, Frich JC, Andelic N. Health-related quality of life and unmet healthcare needs in Huntington's disease. Health & Quality of Life Outcomes. 2017;15(1):6.
8. Aragón Aragón MJ, Chalkly M, Goddard M. Defining and measuring unmet need to guide healthcare funding: identifying and filling the gap. York: University of York; 2017.
9. EuroQol. EQ-5D. The Netherlands; 2020.
10. Agency for Healthcare Research and Quality. CAHPS Health Plan Survey: methodology. Rockville: Agency for Healthcare Research and Quality; 2019.



11. Keirse E, Benguin C, Desmet M, Deveugele M, Menten J, Simoens S, et al. Organisation of palliative care in Belgium. Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2009. KCE Report 115C
12. Paulus D, Van den Heede K, Mertens R. Position paper: organisation of care for chronic patients in Belgium. Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2012. 190C
13. Schroedl CJ, Yount SE, Szmulowicz E, Hutchison PJ, Rosenberg SR, Kalhan R. A qualitative study of unmet healthcare needs in chronic obstructive pulmonary disease. A potential role for specialist palliative care? *Annals of the American Thoracic Society*. 2014;11(9):1433-8.
14. Sciensano. Health Interview Survey [Web page]. Brussels, Belgium; 2018 [cited 10 April 2020]. Available from: <https://his.wiv-isp.be/SitePages/Home.aspx>
15. Devleesschauwer B. Country Report: the Belgian National Burden of Disease Study 2020. *European Journal of Public Health*. 2018;28(suppl_4):cky213. 830.
16. Gorasso V, Silversmit G, Arbyn M, Cornez A, De Pauw R, De Smedt D, et al. The non-fatal burden of cancer in Belgium, 2004–2018. 2021.
17. Hyde M, Wiggins RD, Higgs P, Blane DB. A measure of quality of life in early old age: the theory, development and properties of a needs satisfaction model (CASP-19). *Aging & mental health*. 2003;7(3):186-94.
18. Wiggins RD, Netuveli G, Hyde M, Higgs P, Blane D. The evaluation of a self-enumerated scale of quality of life (CASP-19) in the context of research on ageing: A combination of exploratory and confirmatory approaches. *Social Indicators Research*. 2008;89(1):61-77.
19. Murray CJ, Lopez AD, Organization WH. The global burden of disease: a comprehensive assessment of mortality and disability from diseases, injuries, and risk factors in 1990 and projected to 2020: summary. World Health Organization; 1996.
20. Castanares-Zapatero D, Kohn L, Dauvrin M, Detollenaere J, Maertens de Noordhout C, Primus C, et al. Long COVID: Pathophysiology – epidemiology and patient needs. Health Services Research (HSR). Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2021. KCE Reports (344) Available from: https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/KCE_344_Long_Covid_scientific_report.pdf
21. Becher K, Rohden C, Vandenbroeck P, Van den Hende W. Een patiëntgedreven innovatie-agenda. Vlaams Patiëntenplatform; 2014.



COLOPHON

Titre :	Comment identifier les besoins des patients ? – Synthèse
Auteurs :	Charline Maertens de Noordhout (KCE), Jens Detollenaere (KCE), Célia Primus-de Jong (KCE), Laurence Kohn (KCE), Brecht Devleeschauwer (Sciensano), Rana Charafeddine (Sciensano), Irina Cleemput (KCE)
Facilitateur de projet :	Nathalie Swartenbroekx (KCE)
Coordinateur de projet et superviseur senior :	Irina Cleemput (KCE)
Rédaction de la synthèse :	Karin Rondia (KCE)
Relecture :	Diego Castanares (KCE), Marijke Eyssen (KCE), Mélanie Lefèvre (KCE)
Comité consultatif :	Ann Ceuppens (Onafhankelijke Ziekenfondsen), Sabine Corachan (LUSS - Ligue des Usagers des Services de Santé), Françoise De Wolf (Solidaris), Siska Germonpré (Socialistische Mutualiteit), Wies Kestens (Onafhankelijke Ziekenfondsen), Anneleen Lintermans (VPP - Vlaams Patiëntenplatform), Murielle Lona (ML-OZ – Mutualités Libres-Onafhankelijke Ziekenfondsen), Karen Mullié (Observatorium Chronische Ziekten), Betty Ryckaert (Observatorium Chronische Ziekten), Katlijn Sanctorum (RaDiOrg – Rare Diseases organisation Belgium), Else Tambuyzer (VPP), Marijke Van Duynslaeger (Socialistische Mutualiteit), Anne Van Meerbeeck (VPP), Lisa Van Wilder (UGent), Rebekka Verniest (CM), Ilse Weeghmans (VPP)
Stakeholders :	Michael Berntgen (EMA – European Medicines Agency), Robrecht De Schreye (Sciensano), Charles Denonne (FAGG – AFMPS - Federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten – Agence fédérale des médicaments et des produits de santé), Stefanie Devos (BeMedTec), Martine Dewitte (RIZIV – INAMI - Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering – Institut national d'assurance maladie-invalidité), Wim Penninckx (FAGG), Sander Roosens (RIZIV – INAMI), Maelle Van De Walle (Sciensano), René Westhovens (RIZIV – INAMI), Harun Yaras (SPF Santé Publique – FOD Volksgezondheid),
Validateurs externes :	Pauline Boeckxstaens (UGent), Juanita Haagsma (Erasmus Universiteit Rotterdam, Pays-Bas), Olivier Schmitz (UCL - Université catholique de Louvain)
Remerciements :	Jef Adriaenssens (KCE), Finaba Berete (Sciensano), Jan Bogaerts (EORTC), Nicolas Bouckaert (KCE), Cécile Camberlin (KCE), Carl Devos (KCE), Stephan Devriese (KCE), Martine Dewitte (RIZIV – INAMI), Kris Doggen (Sciensano), Dimitri Mortelmans (University of Antwerp), Caroline Obyn (KCE), Johan Van der Heyden (Sciensano), Carine Van de Voorde (KCE), Amélie Van Vyve (Sciensano), Leen Verleye (KCE), ainsi que toutes les personnes qui ont participé à l'étude du KCE sur le COVID long et qui ont par-là contribué à ce projet-ci.



Intérêts déclarés : Tous les experts et stakeholders consultés pour ce rapport ont été sélectionnés en raison de leur implication dans le domaine du besoins des patients. A ce titre, il est possible que chacun d'eux présente, jusqu'à un certain point, un inévitable conflit d'intérêt.

Layout : Ine Verhulst

Disclaimer :

- **Les experts externes ont été consultés sur une version (préliminaire) du rapport scientifique. Leurs remarques ont été discutées au cours des réunions. Ils ne sont pas co-auteurs du rapport scientifique et n'étaient pas nécessairement d'accord avec son contenu.**
- **Une version (finale) a ensuite été soumise aux validateurs. La validation du rapport résulte d'un consensus ou d'un vote majoritaire entre les validateurs. Les validateurs ne sont pas co-auteurs du rapport scientifique et ils n'étaient pas nécessairement tous les trois d'accord avec son contenu.**
- **Finalement, ce rapport a été approuvé à l'unanimité par le Conseil d'administration (voir <http://kce.fgov.be/fr/content/le-conseil-dadministration-du-centre-dexpertise>).**
- **Le KCE reste seul responsable des erreurs ou omissions qui pourraient subsister de même que des recommandations faites aux autorités publiques.**

Date de publication : 13 janvier 2022

Domaine : Health Services Research (HSR)

MeSH : Needs assessment, Research Design, Surveys and Questionnaires, Qualitative Research

Classification NLM : W84.3

Langue : Français

Format : Adobe® PDF™ (A4)

Dépôt légal : D/2021/10.273/49

ISSN : 2466-6440

Copyright : Les rapports KCE sont publiés sous Licence Creative Commons « by/nc/nd »
<http://kce.fgov.be/fr/content/a-propos-du-copyright-des-publications-du-kce>.





Comment citer ce rapport ?

Maertens De Noordhout C, Detollenaere J, Primus-De Jong C, Kohn L, Devleesschauwer B, Charafeddine R, Cleemput I. Comment identifier les besoins des patients ? – Synthèse. Health Services Research (HSR). Bruxelles: Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE). 2021. KCE Reports 348Bs. D/2021/10.273/49.

Ce document est disponible en téléchargement sur le site Web du Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé.