

**Projet BRAIN-TEAM : QUALVI**  
Base de données  
de recueil d'histoire naturelle  
et de qualité de vie



**BRAIN-TEAM**  
Filière Nationale de Santé  
Maladies rares du système nerveux central

**Journée des associations de patients  
2019**

# Contexte du projet



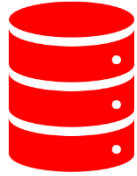
**Constat commun** pour les maladies neurodégénératives et par extension toutes les maladies des CRMR BRAIN-TEAM :

- errance diagnostique *avant le diagnostic*, difficulté d'assertion du diagnostic
- nécessité d'améliorer la qualité de vie après le diagnostic
- **Besoin du recueil d'histoires naturelles** des maladies neurodégénératives
  - clés de compréhension pour mieux orienter le diagnostic
  - nouveaux indicateurs pour les arbres décisionnels de diagnostic
- **Recueil des éléments de qualité de vie** pertinents pour le malade
  - quels sont les points de qualité de vie prioritaires pour le malade
  - Comment les mesurer
  - Comment les améliorer et éventuellement adapter la prise en charge médicale, para-médicale

**Nécessité de faire une étude observationnelle pour recueillir ces données patients**

# PROJET BRAIN-TEAM

## 2019-2023



## QUALVI

*Une base de données de recueil de qualité de vie et d'histoire naturelle des maladies*

**projet e-santé** : un outil numérique utilisable sur smartphone, tablette ou ordinateur

**remplissage** : par le patient lui-même

**construction** : les items de données seront créés en collaboration avec les patients experts de la filière BRAIN-TEAM.

Elle sera testée par un premier panel de patients experts & volontaires (nombre des questions, complexité des questions, accès facile à l'aide...)

**3 objectifs** : aide au diagnostic précoce, prise en charge, promotion d'essais thérapeutiques (indicateurs d'évaluation pertinents)

# Les enjeux



**Le patient est le mieux placé** pour connaître son historique de maladie et ce qui importe pour améliorer sa qualité de vie

- **C'est à lui de répondre aux questions** et non à son médecin
- **MAIS : difficulté à définir** les questions si on ne sait pas :
  - ce qui est informatif pour l'histoire de la maladie
  - ce qui est pertinent pour le patient pour sa qualité de vie ET actionnable



**Le questionnaire doit être bien défini dès le départ** sinon les données ne seront pas utilisables

- Choix des questions à établir
- Les questions sont-elles pertinentes pour toutes les maladies ?
- Quelle durée le projet doit-il couvrir ?



**Par où on commence? Avec qui ? Quel support ?  
Patient-oriented ou performance-oriented ?**


# Soumission aux experts



**Le projet QUALVI est lauréat du 1<sup>er</sup> atelier de co-design en e-santé de la Fondation Maladies Rares**

 Accompagnement par des **experts spécialisés dans les études épidémiologiques** :

- **Hélène Hoarau**, co-coordinatrice de l'Unité de la recherche et de l'innovation en Soins et en Sciences Humaines (URISH) - pour l'aspect co-construction avec les patients de l'outil
- **Stéphane Faury**, chercheuse au sein du Laboratoire EA 4136 'Handicap, Activité, Cognition, Santé' - pour une discussion autour des items qualité de vie de la base de données
- **Claude Messian**, chef de projet entrepôt BNDMR, responsable de l'équipe Analyses et données
- **Diana Désir-Parseille**, chargée de l'administration de la recherche à la Fondation Maladies Rares

 **Recommandation :**

Le projet devra se construire en 2 grandes étapes :

1. **création du questionnaire, choix des maladies** : sera un projet en soi et devra être mis en place par des professionnels de l'épidémiologie accompagnés de patients-experts
2. **choix du support, inclusion des patients** : se fera seulement lorsque les items à étudier seront bien identifiés

# Définition des objectifs et finalités selon les experts



**But de cette base** = « patient-oriented »

- **favoriser une ré-orientation** thérapeutique médicamenteuse ou para-médicale (suite au questionnaire de qualité de vie),
- **créer des arbres décisionnels** (suite à la partie du questionnaire histoire naturelle),
- fournir des **indicateurs** pour promouvoir le lancement d'**essais thérapeutiques**.

- Une partie "performance-oriented" est tout à fait possible pour compléter les questionnaires.
- En fonction des items choisis et des chaînages avec d'autres bases de données, plusieurs études satellites seront possibles.

# 1. Travail préliminaire

- Appel à un **spécialiste épidémiologiste des populations et maladies** pour décider des maladies, au sein d'un groupe de travail.
- Revue de la littérature pour le **choix des échelles**.
- Appel à un **anthropologue de la santé** pour l'histoire naturelle de la maladie, si possible spécialisé sur les symptômes :
  - entretiens individuels "semi-directifs" avec les patients-experts afin d'identifier les items
  - travail avec un psychologue sur les entretiens réalisés par l'anthropologue
  - ne pas choisir des critères spécifiques à une seule maladie, choix de questions transversales
  - faut-il des entretiens avec l'aidant, l'association ? Selon la pathologie quel est le questionnaire le plus adapté ?
- **Réunions de focus groups** (médecins, patients-experts, SHS...)
  - plusieurs questions issues des questionnaires DELPHI
  - Attention au choix des items actionnables
- De préférence reprise de questions déjà "validées" et pertinentes, d'où validation de questionnaires éventuellement internationaux.
  - Attention à ne pas confondre perception et réalité : bien tenir compte dans la question.
- Faire comparer les questionnaires / pertinence des questionnaires aux médecins

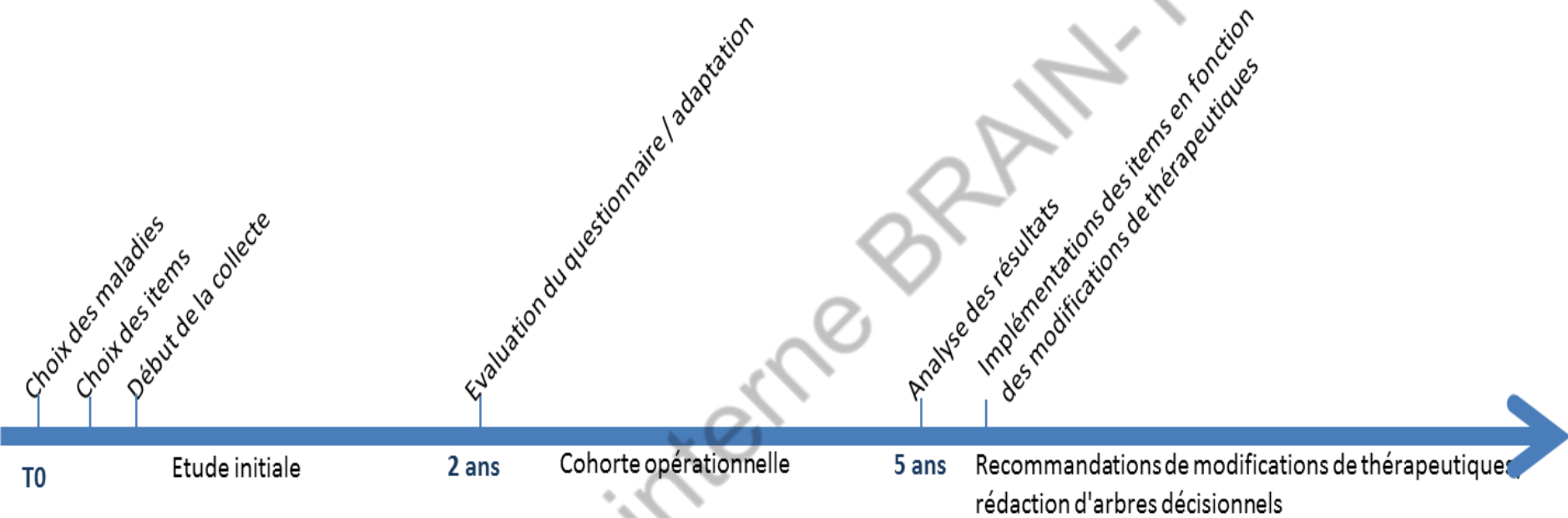
## 2. Réalisation et suivi



- **Choix de l'application** avec un partenaire technique
- **Démarrage de la cohorte** avec les maladies choisies
  - Les patients sont validés par les médecins des centres de référence et compétence qui donnent accès à l'application
  - Les patients entrent leurs données dans la base de données
- **Evaluation** à 2/3 ans avec quelques maladies
- A 5 ans, possibilité de faire un chainage avec le SNDS (Système national des données de santé)
- Pas de chainage possible à partir de BaMaRa (Base Maladies Rares nominative spécifique à chaque hôpital)
  - Par contre, on peut envisager un transfert de nos données vers BNDMR et le chainage avec BNDMR (Banque Nationale de Données Maladies Rares) permettrait de recueillir le nombre de consultations à l'hôpital pour l'étude à 5 ans.
- A 5 ans, évaluation du questionnaire d'histoire naturelle et modification éventuelle



# Déroulé du projet



**Doodle : réunion fin d'année 2019  
pour lancement de la 1<sup>ère</sup> phase**

**(AAP Sciences Humaines et Sociales de la Fondation Maladies Rares)**

# Les patients-experts dans tout ça ?



- Ils répondront aux questionnaires de l'anthropologue de santé
- Ils participeront aux groupes de travail pour le **choix des questions et des maladies**
  - Attention à garder en tête la nécessité de couvrir la majorité des maladies BRAIN-TEAM sans être superficiel
  - Respecter le choix des maladies : certaines prévalences sont trop faibles pour que les études donnent des résultats informatifs sur ce type d'étude "patient-oriented"
- Ils testeront la base / participeront à son évaluation
- Ils assureront la promotion de l'outil auprès de leurs associations / CRM

# Votre avis nous intéresse !

Document interne BRAIN-TEAM

CONTACTS

**Chef de projet**

Sophie Bernichtein

sophie.bernichtein@aphp.fr

01 42 16 14 29

**Chef de projet adjoint**

Bénédicte Belloir

benedicte.belloir@aphp.fr

01 42 16 13 34

**Chargées de mission : [mission@brain-team.fr](mailto:mission@brain-team.fr)**

Marie Berre

01 42 16 09 43

Isabelle Maumy

06 98 50 16 06



# Commentaires des experts



- **Questionnaire complété uniquement par le patient.**
  - grand biais introduit lorsque l'aidant remplit aussi le questionnaire
  - le fait que le patient ne puisse plus répondre est un élément de réponse en soi : l'aidant ne peut pas prendre le relai.
- **Qualité de vie** : on peut demander au patient de compléter ses médicaments grâce à des référentiels avec complétion automatique.
- Une fois les maladies choisies, les patients devront obligatoirement avoir un diagnostic "confirmé" et pas un diagnostic "probable".
- Comme c'est une étude longitudinale, il faudra que l'appli envoie des alertes
- Idéalement pour éviter les perdus de vue, prévoir de **faire des relances**
  - Prévoir une "carotte" : tirage au sort d'un cadeau par exemple ! Avoir un chercheur associé identifié.

Document Interne BRAIN-TEAM