

**L'EXPÉRIENCE PATIENT,  
NOUVELLE FORME DE DÉMOCRATIE PARTICIPATIVE EN SANTÉ  
Palais du Luxembourg 14 Octobre 2019**

**Compare (Communauté de Patients pour la recherche) :  
pour accélérer la recherche sur les maladies chroniques**



Pr. Philippe Ravaud





## Actuellement, pour chaque nouvelle question de recherche

- Ecrire un projet de recherche
- Trouver un financement
- Obtenir les autorisations réglementaires
- Recruter de nouveaux patients
- Collecter des données
- Analyser ces données

**10 ans de l'idée à la publication selon le National Institute of Health Research**

# Limites de la recherche clinique actuelle sur les maladies chroniques

- Trop lente
- Trop chère
- Trop cloisonnée :
  - silos par maladie,
  - silos par type de recherche (Essais Randomisés vs études Observationnelles, quantitatives vs qualitatives)
- Trop morcelée (taille des études insuffisante)
- Trop éloignée de la vie réelle
- Pas assez agile
- **Pas assez participative**
- Entraîne un fardeau trop important pour les malades
- Souvent faite sans lien avec les autres recherches existantes
- Fréquemment redondante
- Peu efficiente

# Une évolution majeure


- Données générées pour le soin ,
- Données générées pour la qualité des soins,
- Données générées pour la recherche

Autrefois on générait des données dans un but unique maintenant ces données sont utilisées indifféremment pour l'une ou l'autre de ces activités



## Repenser la recherche clinique

- **Impliquer** plus largement les malades (« **Patient Revolution** ») dans la conception et la réalisation de la recherche
- Développer une **recherche plus participative** ( impliquant à la fois les malades et les chercheurs)
- **Aborder** les problèmes des malades **non abordés par les recherches classiques**
- **Tirer avantage des nouvelles technologies et des données disponibles**
- **Dépasser les «silos» habituels**
- **Maximiser l'argent investi dans la recherche**



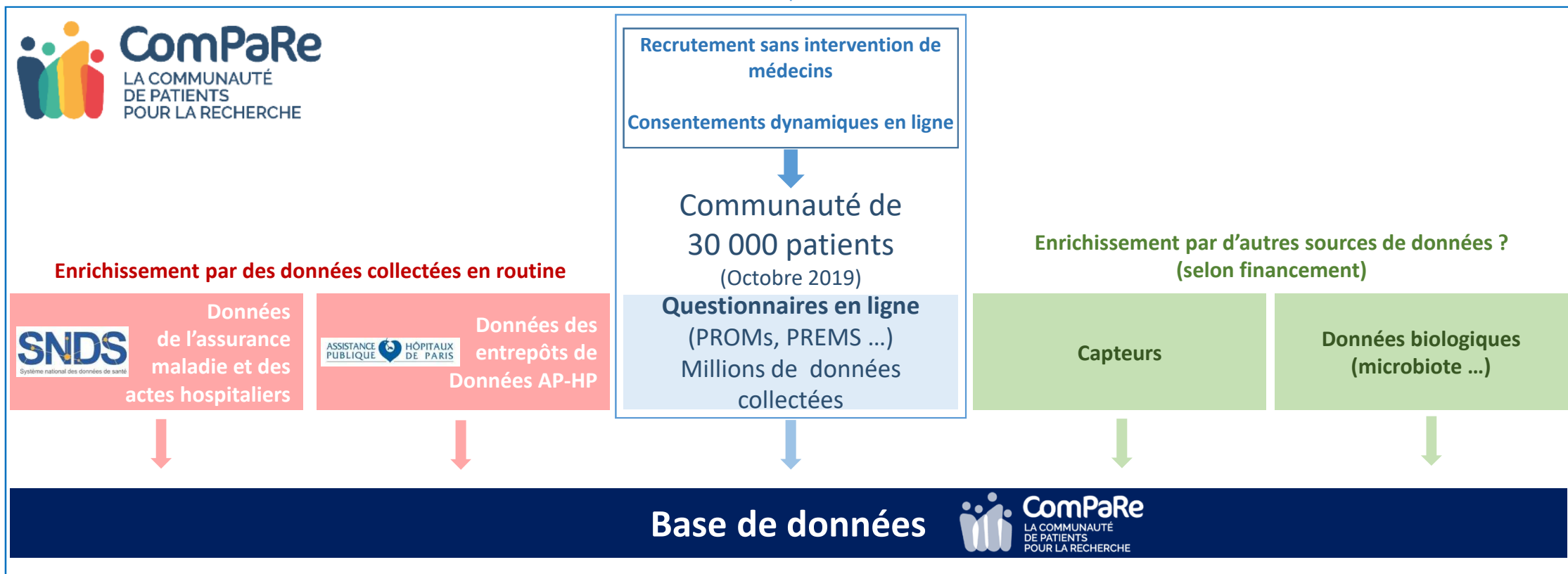
## Objectifs

- Créer **une large cohorte de malades chroniques** (100 000 ou 200 000 participants) **volontaires acceptant de donner du temps pour la recherche**
- Cohorte ou **plate-forme de recherche participative** permettant de répondre à **de multiples questions scientifiques** :
  - Sur les maladies chroniques en général
  - Sur certaines maladies chroniques en particulier (par exemple le diabète)
  - Sur la multimorbidité

# ComPaRe : Communauté de patients désirant accélérer la recherche sur les maladies chroniques



# ComPaRe : Communauté de patients désirant accélérer la recherche sur les maladies chroniques







**Communauté  
de  
Patients  
pour la  
Recherche**

**&**

**Plateforme d'accélération  
de la recherche  
sur les  
maladies chroniques**

Les patients partagent en ligne leur expérience de la maladie, leur vécu et deviennent acteurs de la recherche.

Les chercheurs conduisent des études sur les maladies chroniques et sur la multimorbidité.

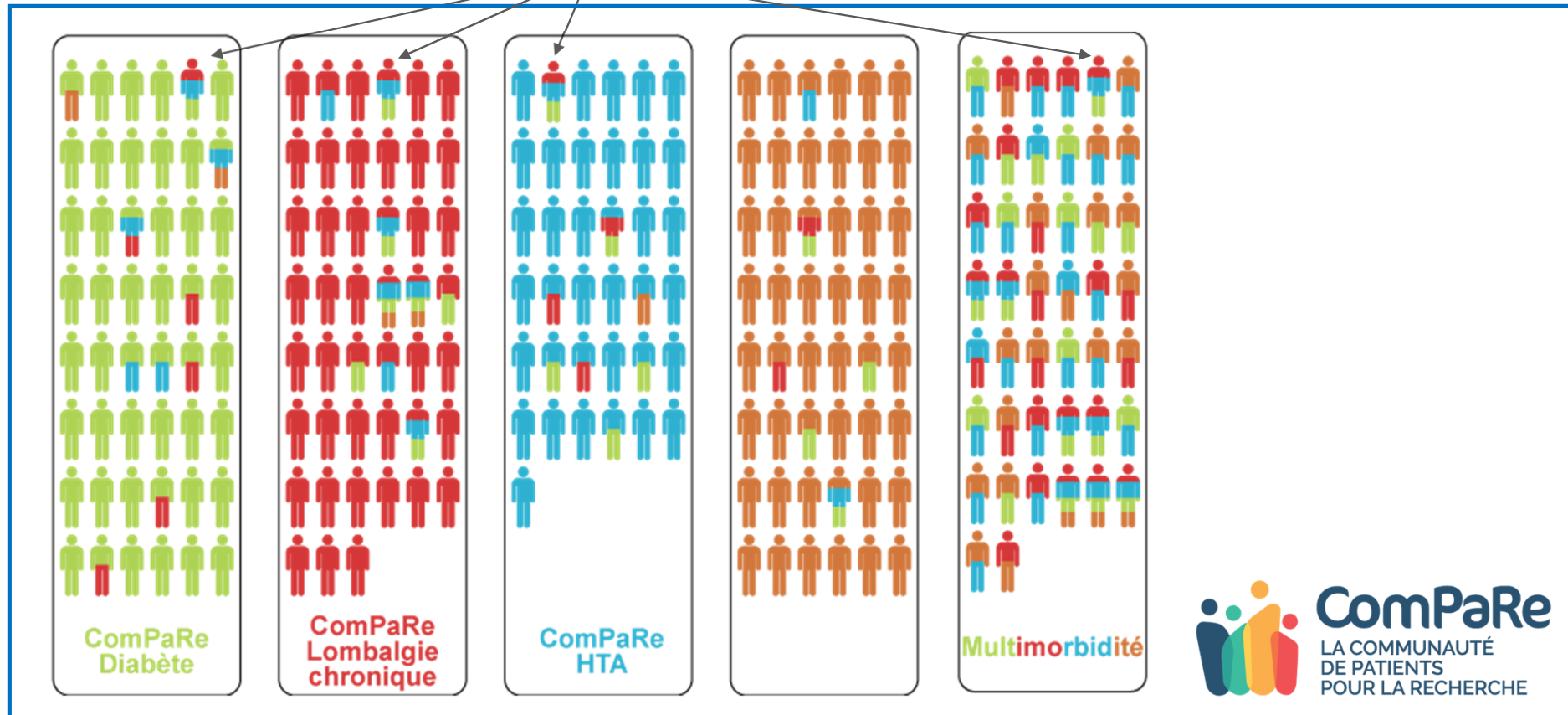


# Développer des cohortes «maladies»

Lombalgie chronique —  
Hypertension artérielle —  
Diabète —



Répondre à des questions sur chaque maladie





# Répondre à des questions sur la multimorbidité

Percentage of patients with the row condition who also have the column condition

Coronary heart disease  
Hypertension  
Heart failure  
Stroke/transient ischaemic attack  
Atrial fibrillation  
Diabetes  
Chronic obstructive pulmonary disease  
Painful condition  
Depression  
Dementia

Percentage who only have the row condition\*  
Mean No of conditions in people aged <65 years with row condition  
Mean No of conditions in people aged ≥65 years with row condition

	Coronary heart disease	Hypertension	Heart failure	Stroke/transient ischaemic attack	Atrial fibrillation	Diabetes	Chronic obstructive pulmonary disease	Painful condition	Depression	Dementia	Percentage who only have the row condition*	Mean No of conditions in people aged <65 years with row condition	Mean No of conditions in people aged ≥65 years with row condition
Coronary heart disease	52	14	13	11	22	13	24	17	9		8.8	3.4	4.4
Hypertension	18	5	10	6	18	8	19	14	2		21.9	2.5	3.6
Heart failure	59	57	16	26	23	18	23	17	4		2.8	3.9	5.6
Stroke/transient ischaemic attack	29	61	8	13	19	13	22	21	5		6.0	3.6	4.8
Atrial fibrillation	37	55	21	20	19	13	18	14	5		6.5	3.3	5.0
Diabetes	23	54	6	9	6	8	21	18	2		17.6	2.9	6.5
Chronic obstructive pulmonary disease	19	33	6	8	6	11	23	18	2		14.3	2.8	4.5
Painful condition	16	36	9	6	9	13	10	31	3		12.7	3.1	4.3
Depression	10	23	2	5	2	9	7	27	3		25.4	2.6	4.9
Dementia	21	41	6	18	10	13	9	17	32		5.3	4.1	4.6

Le problème majeur émerge même si les malades ou les associations n'en n'ont pas conscience

\* Percentage who do not have one of 39 other conditions in the full count

## ➤ Répondre à de multiples questions de recherche

- Evaluation
  - du ressenti des malades sur leur maladie et les soins qui leur sont donnés
  - du « fardeau » du traitement
  - des parcours et trajectoires de soins
- Etude du **Personome** » défini comme l'ensemble des éléments de vie d'un individu (facteurs psychologiques, sociaux, culturels, comportementaux et économiques) qui influencent la survenue des maladies, leur phénotype et la réponse aux traitements.
- Développement de critères de jugement rapportés par les malades
- Développement des scores ou algorithmes de prédiction (gravité d'une maladie, ou réponse à un traitement)
- Développement de nouveaux concepts ( « minimally disruptive medicine »)
- Evaluation d'interventions (applications destinées à modifier un comportement, éducation, ....)

L'exposome est un concept correspondant à la totalité des expositions à des facteurs environnementaux (c'est-à-dire non génétiques) que subit un organisme humain de sa conception à sa fin de vie en passant par le développement in utero, complétant l'effet du génome.



## Faire avancer des recherches sur les maladies chroniques réalisées **hors de ComPaRe**

Les patients volontaires pourront être sollicités pour participer à **différents types de recherche réalisées en dehors de ComPaRe**

- cliniques
- fondamentales
- sciences sociales
- développement d'outils de mesure

La participation à ces études réalisées en dehors de ComPaRe leur sera proposée en fonction de leur profil

Autre expérience:  
« Seintinelles »

-Recrutement de 10 000 frères et sœurs de malades diabétiques pour une étude génétique

- Essai clinique de phase III pour un nouveau traitement par laser de la rétinopathie diabétique dans 2 centres en France



## Changer de modèle de recherche

- Passer d'une **myriade d'études indépendantes, de taille modeste, nécessitant un financement et recueillant des données spécifiques qui ne seront utilisées qu'une fois**
- A un modèle de recherche **collaborative**, où des informations de sources multiples :
  - provenant du patient
  - provenant de ses proches pour certaines maladies
  - provenant de bases de données médico administratives (SNIIRAM)
  - collectées en routine pour les soins (dossiers médicaux, etc.)seront **combinées, organisées, partagées pour** répondre à de multiples questions de recherche différentes
- **ComPaRe a pour ambition d'innover en développant ce nouveau modèle**



## Changer de modèle : Impliquer les malades à tous les stades de la recherche sur leur maladie

- **Citizen Science**
- **Des patients donnant du temps pour la recherche**
  - Simplement en remplissant des questionnaires
  - Ou en s'impliquant plus activement (ambassadeurs Compare, etc)
- **50%** des participants à ComPaRe veulent faire plus que simplement répondre à des questionnaires
- Implication des malades
  - Dans la gouvernance de COMPARE
  - dans l'identification des questions de recherche
  - dans la conception et l'analyse de certains projets

## Inspirer des questions de recherche

- Site web permettant à tous les patients d'enregistrer leurs idées de recherche sur chaque maladie ou sur les maladies chroniques en général
- Collecte de données avec des questionnaires utilisant des **questions ouvertes**
- Grande quantité de **données non structurées, en texte libre** (1000 participants = 200 000 mots)
- Analyse combinant de **Crowdsourcing** (par les patients) et **Natural Language Processing**

*« Il faut **mesurer la capacité à vivre comme Monsieur ou Madame tout le monde**. Pour moi un médicament fonctionne quand j'ai pu aller faire des courses comme tout le monde! Quand j'ai pu regarder un film, suivre une conférence jusqu'au bout sans m'endormir... »*

**Questions de recherche avec une perspective différente de celles des chercheurs**

- Questions conceptuelles
- Questions pragmatiques





## Changer de modèle : **Simplifier la logistique de la recherche**

- ComPaRe est une boîte à outils qui va permettre de :
  - **Faciliter** l'identification des patients éligibles pour leurs projets de recherche
  - **Accélérer** le recrutement des participants
  - **Permettre** le partage de données entre différentes équipes
  - **Simplifier** les démarches administratives pour débiter une recherche
  - **Réduire** les coûts d'étude
- Les projets des équipes désirant participer à ComPaRe seront évalués par des **chercheurs et des patients** du comité scientifique spécifique de la maladie.



## Changer de modèle : Imaginer un modèle économique disruptif

- Passer d'un **financement par projet individuel** à un **financement partagé** dans le cadre d'un **large projet collaboratif**
- Passer d'un modèle avec une **source de financement unique** dédiée à un projet spécifique à de **multiples sources de financement contribuant un projet commun**
- Accepter la notion d'investissement et la non rentabilité immédiate (le rendement d'une cohorte ne peut être immédiat)



## Changer de modèle économique **de la théorie à la pratique**

- Difficultés extrêmes de financement par absence de mécanisme approprié existant
  - projet atypique ne rentrant dans aucune case et incapacité du système à financer ce qui ne rentre pas dans les cases
  - Financement en silos : Mie X ou Y pour association X ou Y
  - Financement : infrastructure / projet
- De la difficulté de penser « out of the box » dans un cadre de la recherche en France

Quelques exemples de travaux  
réalisés à l'aide de COMPARE



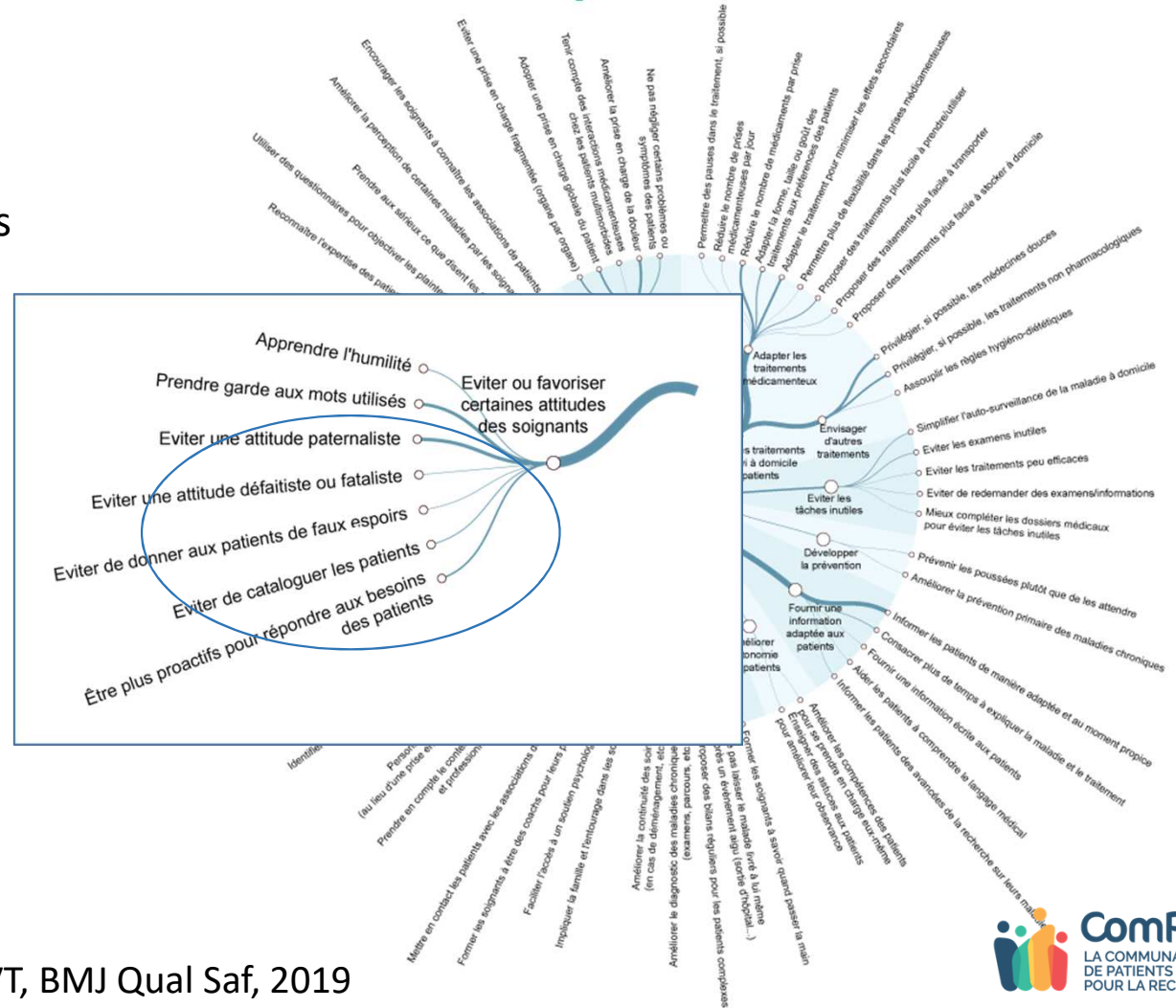


# Crowdbraiding: idées des patients pour améliorer la prise en charge des malades chroniques

- Analyse collaborative impliquant **1636 patients**
- Collecte des idées des patients en utilisant une question ouverte:

« Si vous aviez une baguette magique, que changeriez vous dans votre prise en charge ? »

- **3600 idées** groupées en **150 propositions « uniques »**
- Pour améliorer :
  - **les consultations**
  - l'hôpital
  - le système de santé



# Crowdbraiding: idées des patients pour améliorer la prise en charge des malades chroniques

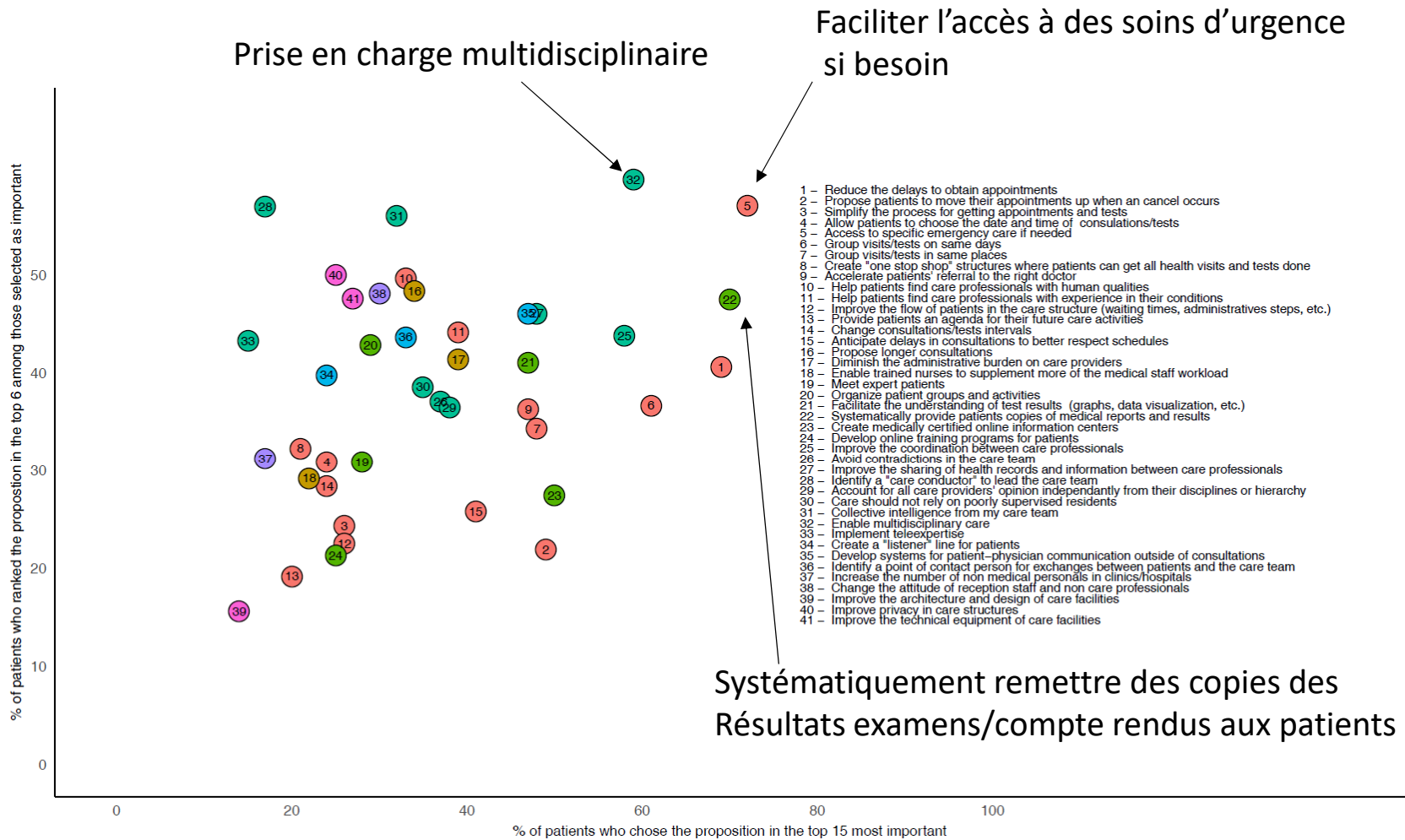
- Analyse collaborative impliquant 1636 patients
- Collecte des idées des patients en utilisant une question ouverte:

« Si vous aviez une baguette magique, que changeriez vous dans votre prise en charge ? »

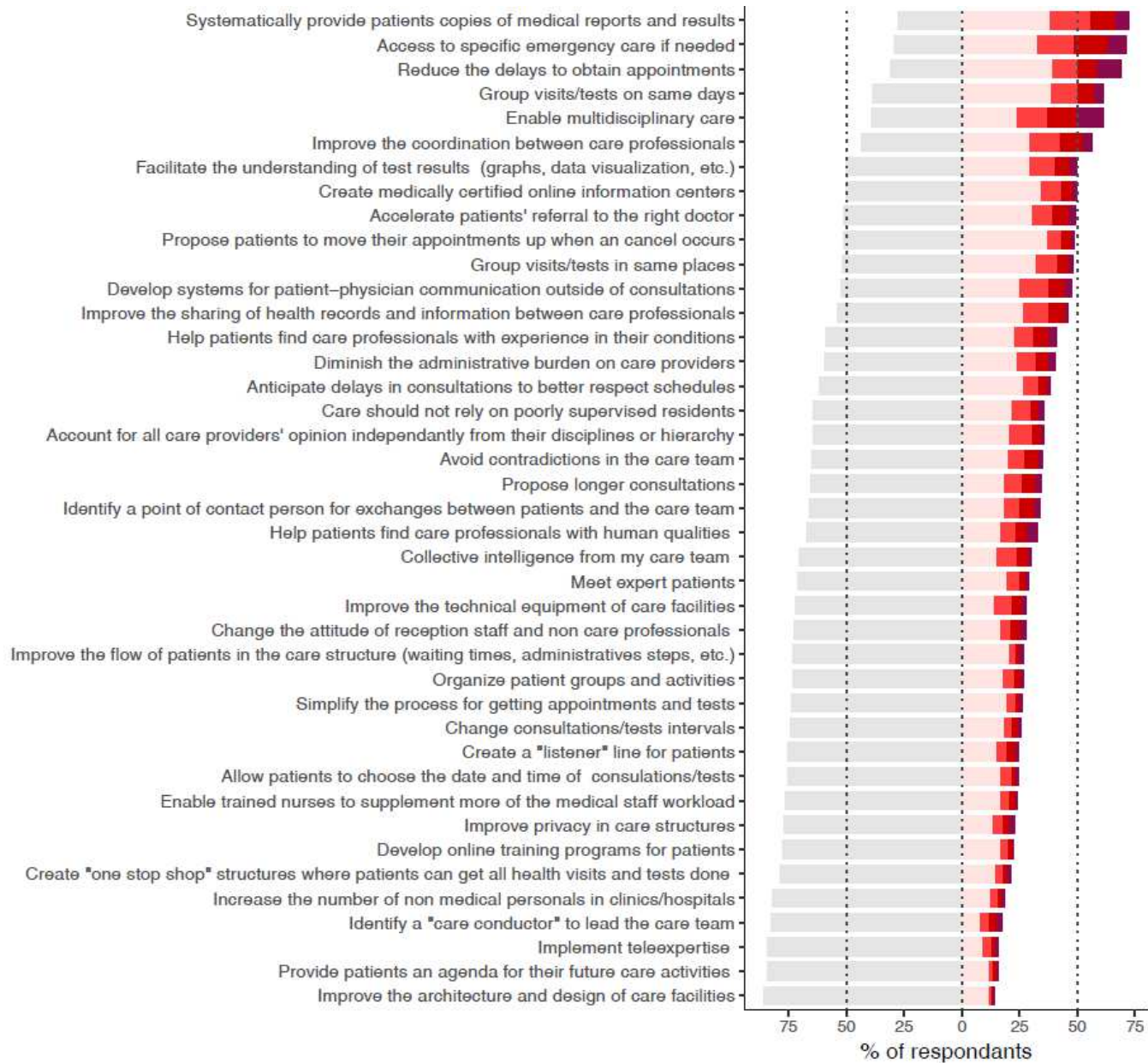
- **3600 idées** groupées en **150 propositions « uniques »**
- pour améliorer
  - **les consultations**
  - l'hôpital
  - le système de santé

Partir en vacances plus d'un mois peut parfois être compliqué : toutes les pharmacies refuseront de donner une avance.  
Vouloir avoir ne serait-ce qu'une petite "réserve" est perçu de manière très péjorative, or, c'est le fondement de toute indépendance.  
Vous avez l'eau courante chez vous, pas un livreur qui vous ramène pile poil 1.5L par jour, sans prendre en compte le fait qu'il fasse chaud ou froid."

# Priorités des patients pour améliorer les structures de santé (n=3198)







# Fardeau du traitement acceptable



## MAYO CLINIC PROCEEDINGS

- Le fardeau du traitement représente l'impact de la prise en charge du patient (traitements, consultations, examens, démarches administratives...) sur sa vie
- 38% des patients chroniques ne se sentent pas capable d'investir toute leur vie, autant de temps, d'énergie et d'argent dans leurs soins (échantillon de 2,413 patients de ComPaRe calibré pour représenter la population Française souffrant de maladies chroniques)
- Définition d'une « Patient Acceptable Symptomatic State » (Seuil de fardeau du traitement acceptable) pour aider les médecins et chercheurs à interpréter le fardeau du traitement des patients, et développer une « Minimally Disruptive Medicine »

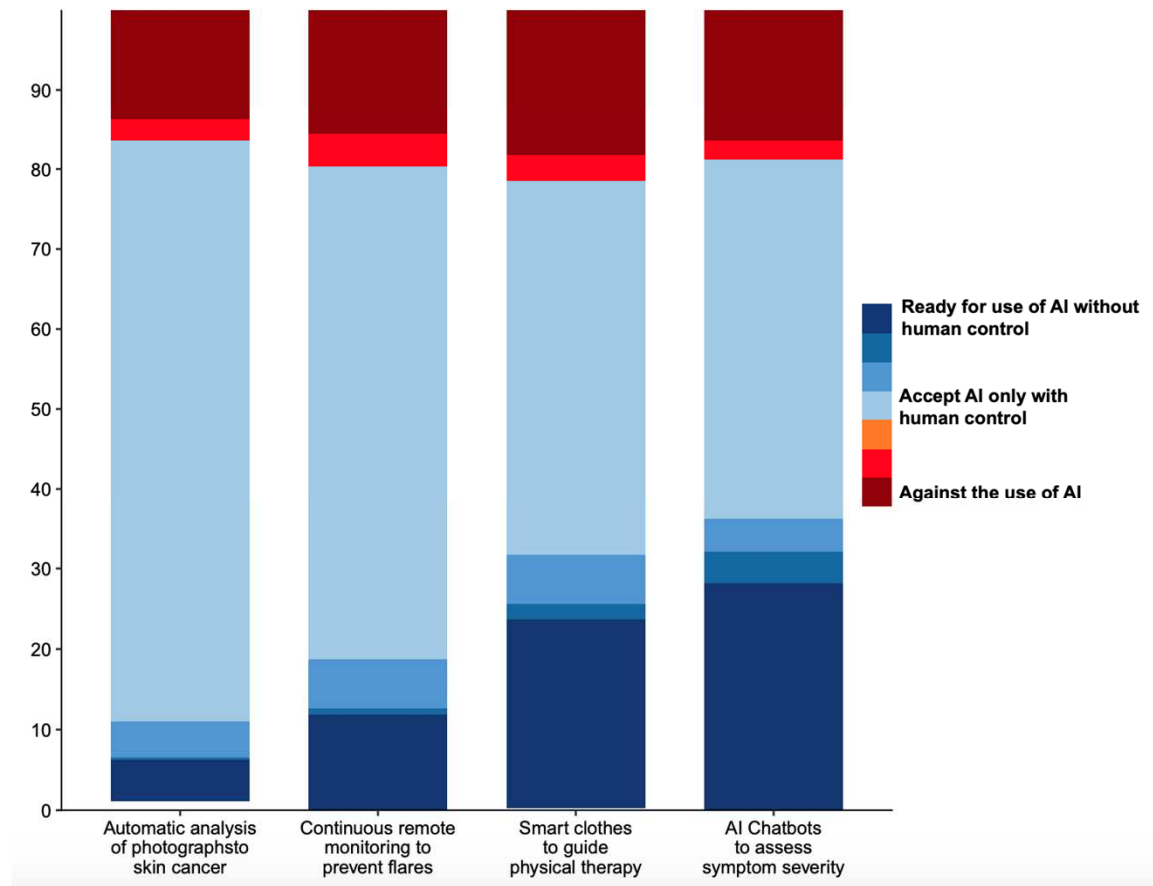


ARTICLE OPEN

## Patients' views of wearable devices and AI in healthcare: findings from the ComPaRe e-cohort

Viet-Thi Tran<sup>1,2,3</sup>, Carolina Riveros<sup>3</sup> and Philippe Ravaud<sup>1,2,3,4</sup>

- 1183 patients atteints de maladies chroniques entre Mai et Juin 2018
- Age moyen 49,7 ans





## Les partenaires associatifs de ComPaRe



- Environ 40 associations de patients sont partenaires de ComPaRe
- Ces associations représentent de nombreuses maladies chroniques, de la plus fréquente à la plus rare, à l'image de l'étude ComPaRe (SEP, endométriose, cardiopathies, spondylarthrite, névralgie du trijumeau, maladie de Verneuil...)

# ➤ Nous avons besoin de vous !



## Je m'inscris en quelques minutes

Je crée un compte, j'indique mes maladies et mes traitements et je réponds à de courts questionnaires d'introduction.



## Je reçois des questionnaires

Je suis régulièrement invité.e à répondre à des questionnaires concernant ma maladie, le fardeau de mon traitement, mes symptômes ...



## Je fais avancer la recherche sur les maladies chroniques

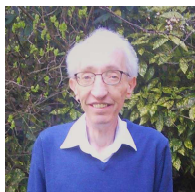
Grâce à mes réponses, la recherche sur ma maladie et sur les maladies chroniques en général avance !



<https://www.compare.aphp.fr>



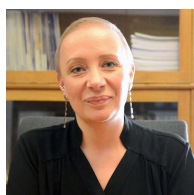
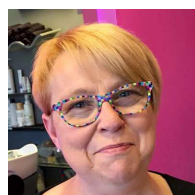
## Merci aux 30 000 patients qui contribuent à ComPaRe !



**Manon et Arnaud** ont participé à l'analyse des données qualitatives de l'étude « Baguette magique »



**Jean-Philippe** a réalisé de nombreuses vidéos professionnelles pour ComPaRe

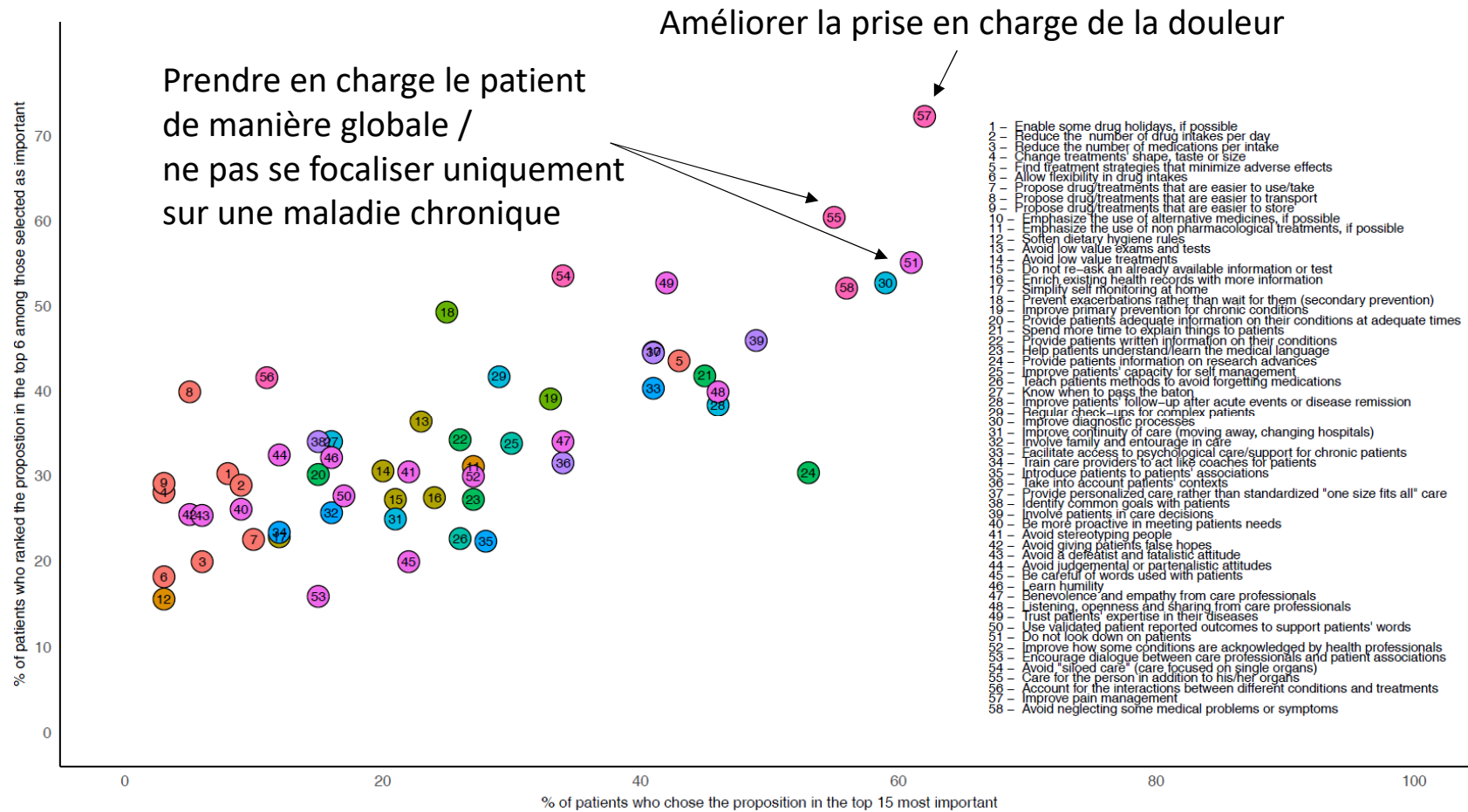


**Delphine, Laëtitia et Mathilde** font la promotion de ComPaRe dans les médias et sur les réseaux sociaux et participent aussi à de nombreux événements de ComPaRe.

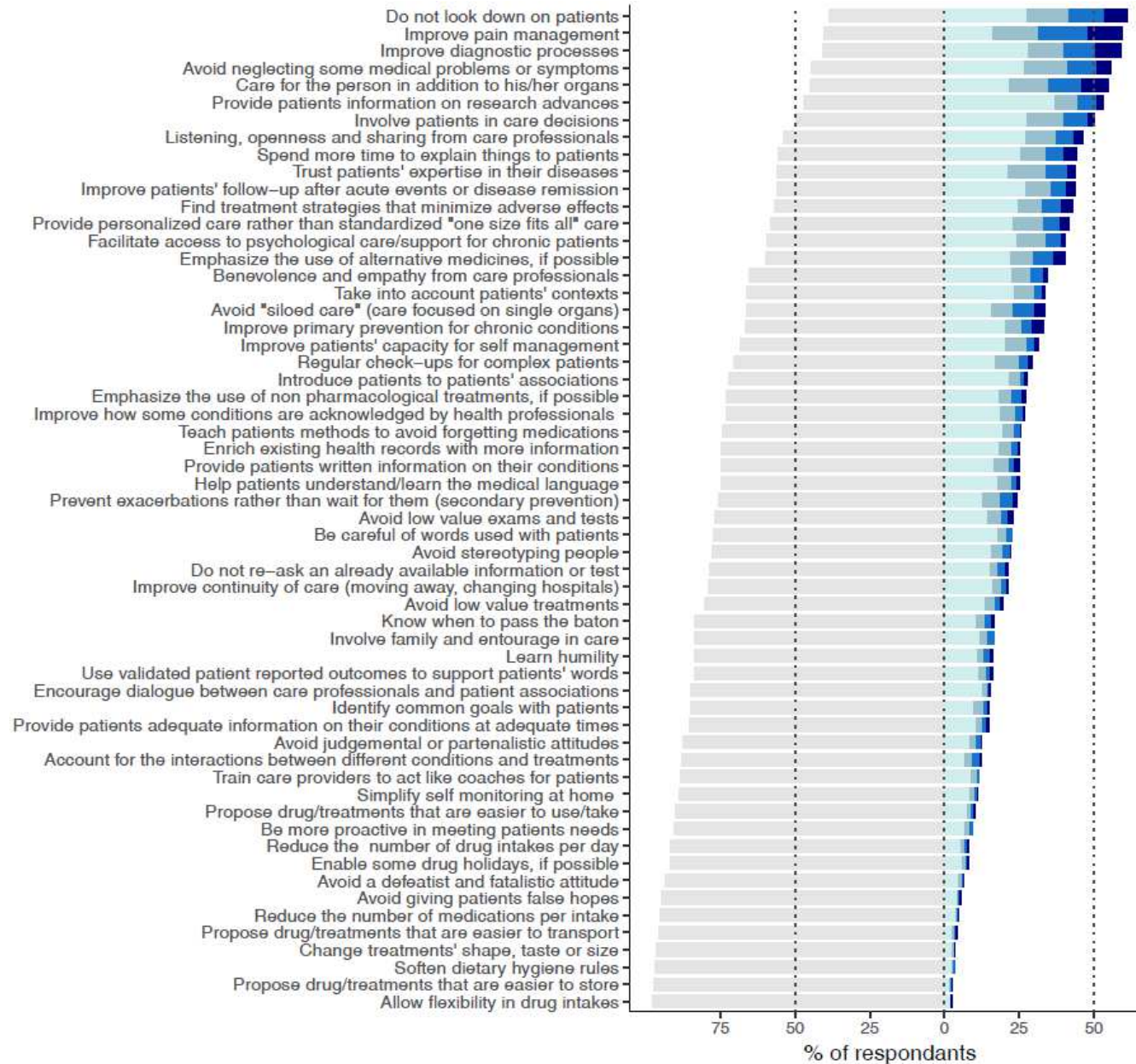
- Merci aux 28 patients qui **ont travaillé avec les chercheurs à la conception des projets de recherche ComPaRe en 2019**
- Merci aux 80 patients qui ont **testé des questionnaires ComPaRe en 2019**



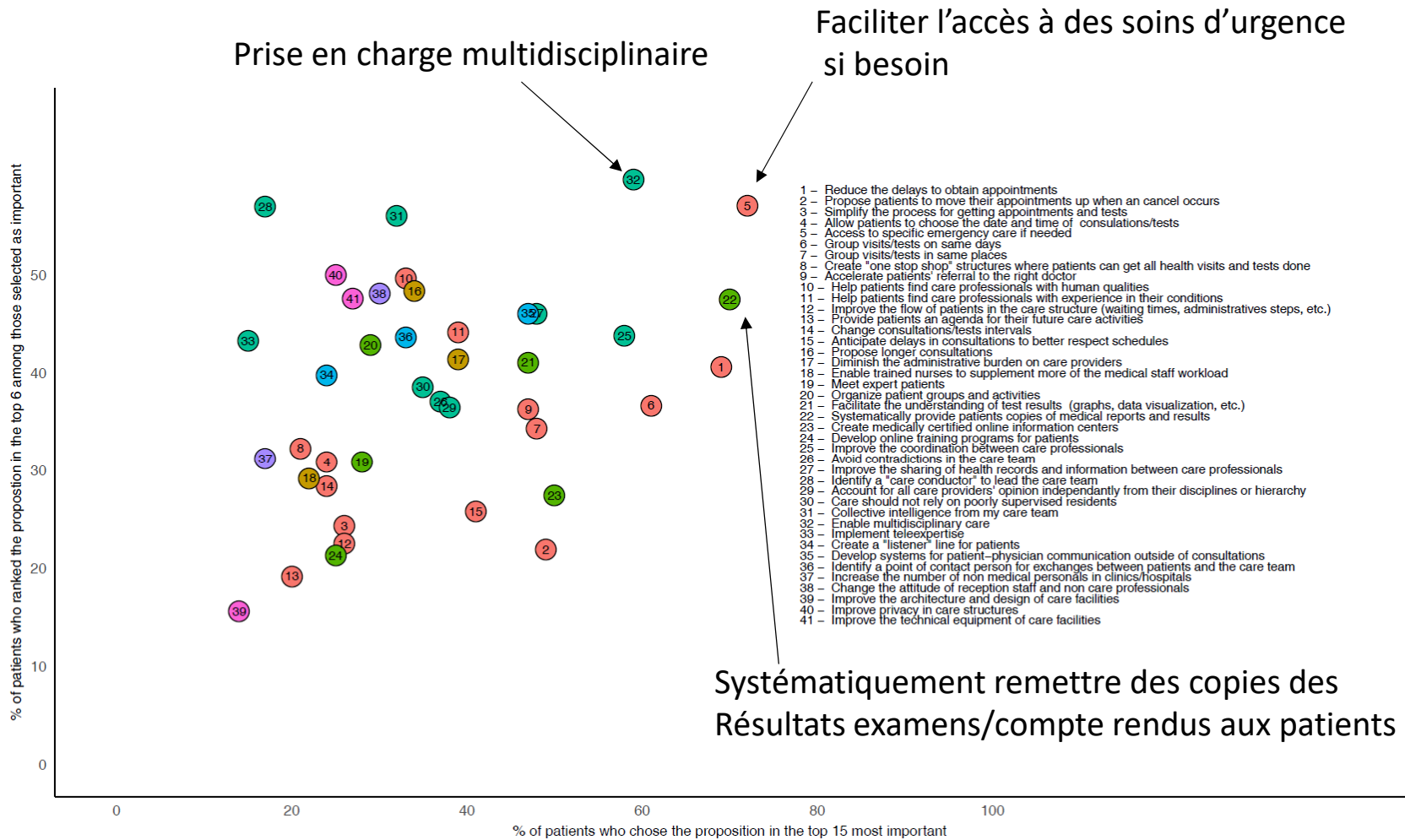
# Priorités des patients pour améliorer les consultations (n=3198)

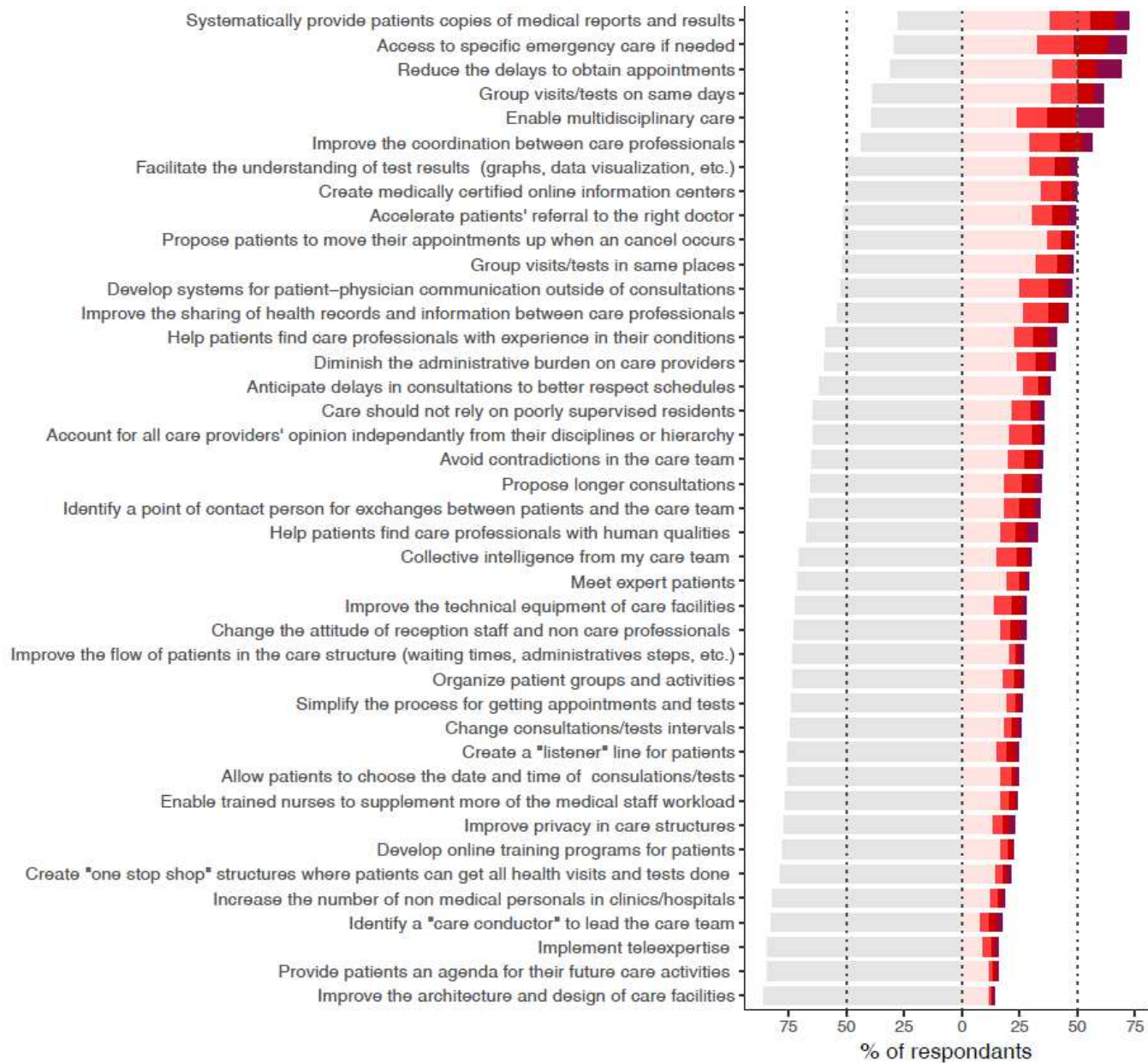






# Priorités des patients pour améliorer les structures de santé (n=3198)

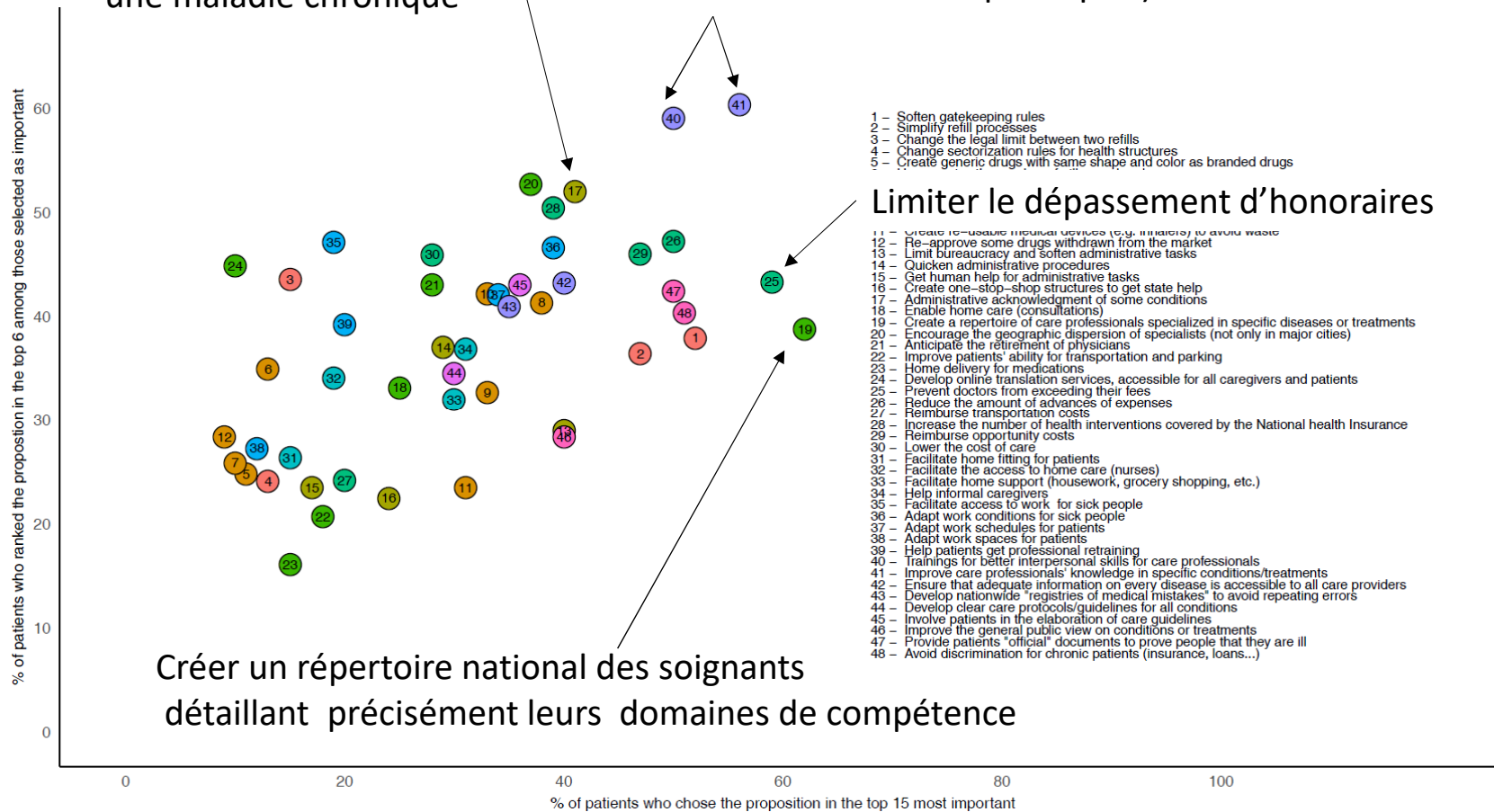


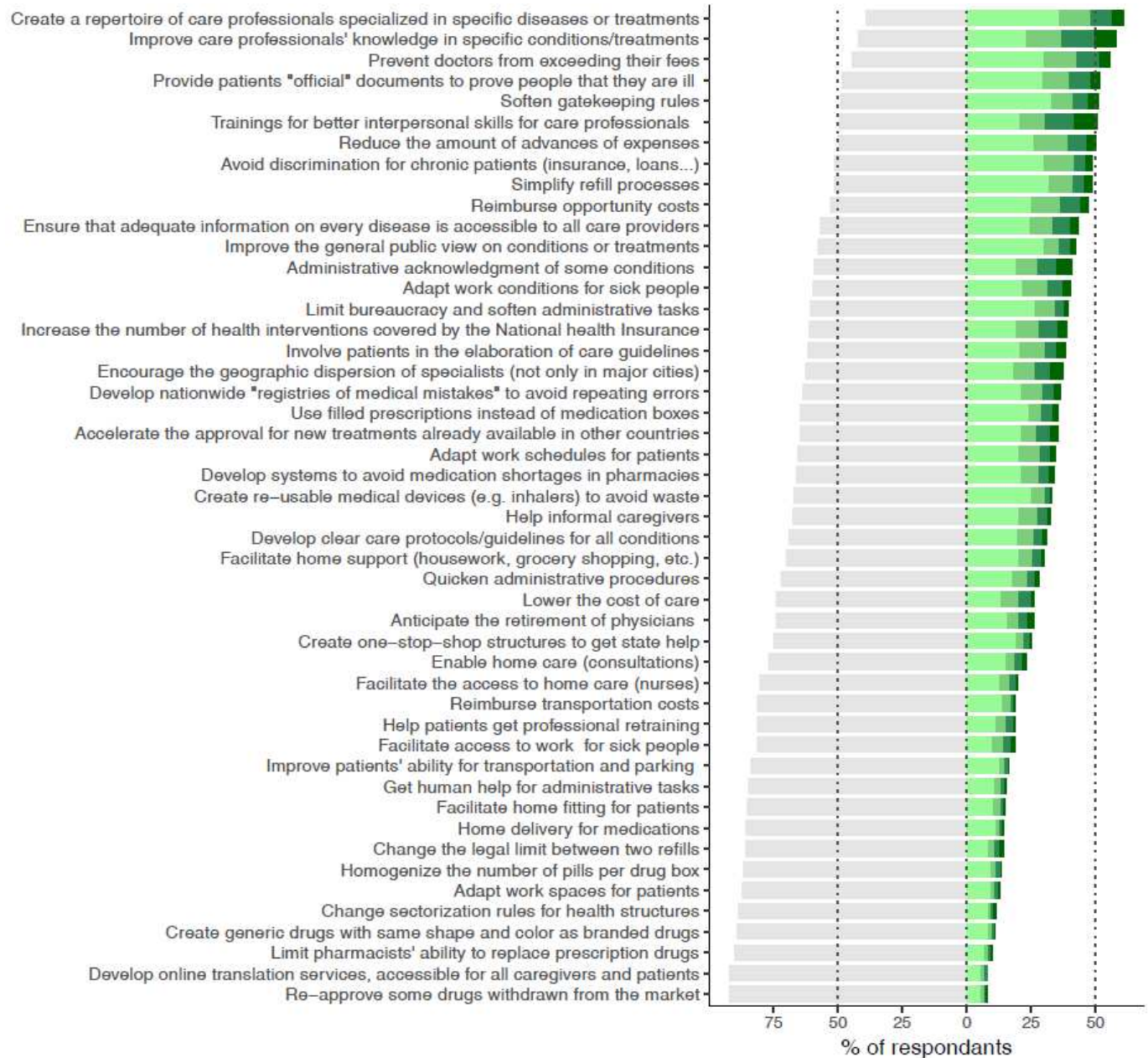


# Priorités des patients pour améliorer le système de soins (n=3198)

Fournir aux patients un document « officiel » prouvant qu'ils ont une maladie chronique

Améliorer la formation des soignants (humain / compétences sur des maladies spécifiques)







# Science Translational Medicine ATAAS

## Network News: Powering Clinical Research

Joseph V. Selby,<sup>1</sup> Harlan M. Krumholz,<sup>2,3</sup> Richard E. Kuntz,<sup>3,4</sup>  
Francis S. Collins<sup>3,5\*</sup>

Most clinical studies start from scratch and require years to achieve full enrollment (many never do). This “one-off” approach requires repeated construction and deconstruction of the clinical research infrastructure.

If our nation is to continue to support such a research agenda in a time of serious fiscal restraint, we need a new strategy.

[www.ScienceTranslationalMedicine.org](http://www.ScienceTranslationalMedicine.org) 24 April 2013 Vol 5 Issue 182 182fs13