

La mesure des résultats de santé rapportés par les patients

Stefanie Hostettler^a, Esther Kraft^b, Christoph Bosshard^c

^a Dr sc., ETH Zurich, division DDQ; ^b lic. rer. oec., cheffe de la division DDQ; ^c Dr méd., vice-président de la FMH, responsable du département DDQ/ASQM

En se fondant sur la littérature scientifique, la division Données, démographie et qualité (DDQ) de la FMH rédige des documents de base sur différents thèmes relatifs à la qualité. Publiés dans le *Bulletin des médecins suisses*, ils servent de base à la FMH pour se prononcer officiellement dans un document intitulé «La position de la FMH». Nous vous présentons ici le document de base et la prise de position de la FMH consacrés à la mesure des résultats de santé rapportés par les patients.

«The ultimate measure by which to judge the quality of a medical effort is whether it helps patients (and their families) as they see it.»
(Berwick 1997)

Contexte

Le nombre d'options de traitement possibles et disponibles ne cesse de croître avec les progrès de la médecine, et des différences apparaissent dans la prise en charge médicale [1]. Pour savoir quelle option aura le plus de bénéfices pour le patient (au sens de ses besoins, valeurs et préférences), il est indispensable de prendre en compte son point de vue. La mesure des résultats de santé rapportés par les patients (PROM) permet de recueillir le ressenti d'un patient par rapport à son état de santé, par ex. les limitations de la mobilité, etc. Les mesures PROM répétées montrent l'évolution de ces limitations au fil du temps ou suite à une intervention. Elles ont été initialement dévelop-

pées parce que beaucoup de résultats obtenus au cabinet (par ex. tension, HbA_{1c}) ne comprenaient aucune information sur le bien-être du patient au quotidien [2]. C'est pourquoi, ces dernières années, les PROM sont devenues un outil important incluant des paramètres relevant du patient (par ex. objectif de traitement défini par le patient) pour évaluer la pertinence d'autres possibilités de traitement [3–5]. Entretemps, des programmes nationaux pour la saisie systématique des PROM ont vu le jour pour différentes méthodes de traitement (par ex. en Angleterre, en Suède et aux USA) [6, 7]. Le présent document de base récapitule la manière dont les PROM sont comprises et appréhendées dans la littérature scientifique consultée, et pourquoi les PROM sont importantes pour les patients, les fournisseurs de prestations et les décideurs politiques. Il discute notamment des avantages, des limites, des difficultés et des mesures nécessaires pour l'implémentation des PROM.

Les références se trouvent sous www.bullmed.ch → Numéro actuel ou → Archives → 2018 → 40.

Résumé

La mesure des résultats de santé rapportés par les patients (PROM) fournit un point de vue du patient concernant son état de santé et les effets d'une intervention / d'un traitement. Les PROM relevées systématiquement, associées à des informations fondées sur les faits (*evidence-based*), aident à axer la prise en charge médicale sur les besoins formulés par le patient, ses valeurs et ses préférences. Les données PROM agrégées permettent d'évaluer l'efficacité des différentes méthodes de traitement et d'identifier quelle manière de procéder aura les meilleures chances de succès dans le contexte des objectifs concrets, des circonstances et de la polymorbidité du patient.

PROM: la mesure des résultats de santé rapportés par les patients

Les PROM se présentent principalement sous la forme de questions posées aux patients pour mesurer comment ils ressentent leur propre état de santé [3, 8]. Typiquement, il s'agit d'interroger de manière systématique les notions suivantes: i) état de santé atteint; ii) processus de guérison (rapidité, qualité de la chaîne des soins); iii) durabilité [9]. Les PROM expriment les effets d'une maladie (par ex. insuffisance cardiaque, asthme) sur l'état de santé ressenti et la capacité fonctionnelle du point de vue du patient. Les PROM

peuvent poser des questions sur la capacité fonctionnelle physique, le bien-être psychique, les symptômes, l'état de santé général, etc. [10]. L'utilisation des PROM avant, pendant et après un traitement / une intervention permet de voir l'évolution individuelle au niveau du patient: par ex. amélioration de la capacité fonctionnelle physique, meilleure qualité de vie [11]. Plus largement, au sens de recommandations basées sur l'expérience, les PROM permettent aussi d'évaluer la performance des systèmes de santé. Le tableau 1 indique les différents usages possibles des PROM.

Tableau 1: Différents usages possibles des PROM [12].

Système de santé	Evaluation de la performance Rapport coût-bénéfice
Organisation de santé	Comparaison de la prestation Amélioration de la qualité
Etudes cliniques	Dépistage/screening (par ex. pour rechercher des caractéristiques spécifiques) Résultat du traitement
Pratique clinique	Diagnostic Monitoring des progrès
Informations aux patients et au corps médical	Choix du traitement Choix du médecin

Les outils génériques utilisés pour les PROM (par ex. SF-36, EQ-5D) mesurent la qualité de vie générale en fonction de l'état de santé et s'appliquent indépendamment de la maladie. Les résultats peuvent être comparés entre différents groupes de patients ou de population. Les outils PROM spécifiques à une maladie (par ex. *Oxford Knee Score*, PHQ-9[®]) mesurent la gravité d'une maladie spécifique ou d'un aspect déterminé d'une maladie [3]. Un questionnaire spécifique peut mettre en lumière des détails importants, qu'un instrument générique n'aurait pas détectés. Le choix d'un outil générique ou spécifique dépend de l'objectif et du problème traité.

Pour les personnes ne pouvant pas répondre elles-mêmes (par ex. enfants, patients atteints de démence), il existe les résultats de santé rapportés par un observateur (*Observer-reported outcomes*). Ils sont conçus de sorte que le questionnaire est rempli par une personne autre que le patient (par ex. proches, personnel d'une étude) [13]. Cette personne observe et évalue par exemple un comportement, une attitude laissant sous-entendre une limitation [14].

Les outils PROM adaptatifs (par ex. *Patient-Reported Measurement System: PROMIS[®]*) sont exclusivement assistés par ordinateur. Un algorithme compile les contenus des PROM en sélectionnant des questions valides d'une banque de données correspondant à l'état spécifique du patient. Cette méthode offre une précision de

mesure élevée et permet de questionner en peu de temps un patient sur un élément central [5, 15].

Un outil PROM de qualité élevée est valide¹, fiable² et réagit aux changements. Lors du choix de l'outil, il est important que les caractéristiques du groupe de personnes sur lequel repose l'évidence (âge, genre, maladie, etc.) soient comparables avec le groupe étudié. Plusieurs guides et publications existent sur le développement, l'évaluation, l'implémentation et les rapports concernant les PROM [10, 14, 16–19].

A l'inverse des PROM, les mesures d'expériences rapportées par le patient (PREM) se focalisent sur des indicateurs relevant des processus de la prise en charge médicale (par ex. communication avec les médecins et les soignants, temps d'attente avant le premier rendez-vous, coordination et sortie). Il existe d'autres types d'informations rapportées par le patient (par ex. via une activité ou la consommation d'alcool) et de données générées par le patient (par ex. *Fitness Tracker*, automesure de la pression artérielle) [17, 20].

Quel bénéfice génèrent les PROM?

Au niveau patient-médecin

Sans que cela soit prouvé, il semblerait que l'utilisation systématique des PROM encourage des traitements axés sur les patients, favorise la communication entre le patient et le médecin et améliore la gestion / le suivi des patients (monitorage et adaptation du déroulement du traitement, identification de maladies non détectées, etc.) [21–25]. Un groupe de chercheurs a analysé le lien entre une culture des soins axée sur le patient, la participation active des patients à leur traitement (*patient engagement*) et les PROM [26]. Grâce aux PROM, il a été démontré que des soins axés sur le patient et la participation active de ce dernier au traitement sont associés à moins de symptômes dépressifs et à une meilleure capacité fonctionnelle physique, mais aussi sociale. Une étude randomisée sur l'application des PROM à des patientes atteintes d'un cancer du sein métastasé est arrivée à montrer un prolongement significatif de la vie [27].

Au niveau du système de santé

Les données PROM agrégées (par ex. sous forme d'un registre médical) peuvent être utilisées pour évaluer l'efficacité de différentes mesures thérapeutiques en fonction de la polymorbidité et des circonstances (par ex. intervention chirurgicale ou non chirurgicale pour les problèmes de hanche), mais aussi en tant que rapport transparent des résultats de santé des patients [12]. La figure 1 montre le potentiel des PROM et, notamment, comment la qualité du traitement peut être

1 L'instrument mesure le concept prévu (*Content Validity*). Les sujets, les domaines et le concept sont structurés logiquement entre eux et permettent d'examiner l'hypothèse du concept (*Construct Validity*).

2 L'instrument livre des indications cohérentes et reproductibles sur l'effet du traitement.

améliorée grâce à un système évolutif. Les possibilités d'amélioration sont identifiées, les adaptations sont apportées en conséquence et peuvent être évaluées. De plus, les PROM complètent les guides de pratique médicale en fournissant des exemples de bonne pratique pour les processus de prise en charge médicale notamment des patients âgés, féminins, polymorbides, qui en règle générale sont très peu ou pas du tout pris en considération dans ces guides. La situation individuelle, les valeurs et les objectifs des patients polymorbides sont très différents. De ce fait, la méthode «planifier, faire, vérifier, agir» (modèle PDCA) permet de formuler l'objectif individuel du patient pour son traitement et offre ainsi une référence pour estimer la qualité des soins.

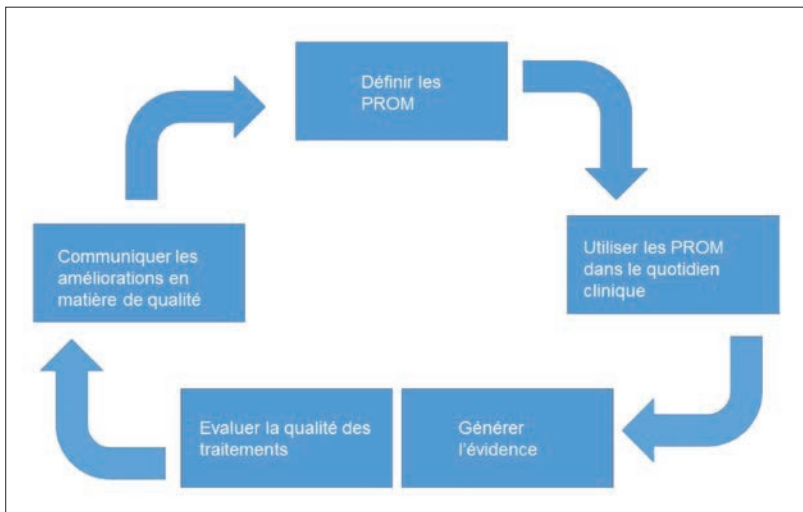


Figure 1: Modèle PDCA (Plan-Do-Check-Act) Graphique modifié d'après Velikova G. et al. [28].

Quelles sont les difficultés et les limites?

Une difficulté consiste à définir le moment opportun pour remettre le questionnaire au patient. S'il est distribué trop peu de temps après une intervention, il est possible que les effets du traitement ne soient pas encore perceptibles. Si le délai est trop long, des facteurs extérieurs à l'intervention peuvent influencer le résultat. De manière générale, il existe un risque de distorsions créées par des influences indépendantes au traitement et favorisant les erreurs d'interprétation. Lorsque plusieurs personnes sont impliquées dans plusieurs étapes du traitement, la collecte et le classement des effets constituent également un défi [3]. Pour le relever et générer des données les plus fiables possibles, il peut s'avérer nécessaire de collecter des données sur les facteurs dérangeants et/ou de les mettre en lien avec d'autres banques de données. Les défis et difficultés diffèrent en fonction de la spécialisation ou du sujet

traité, il faut donc aussi en tenir compte lors de l'analyse et de l'interprétation des résultats.

L'introduction, l'utilisation et l'évaluation des PROM impliquent des ressources humaines et financières (formation, support technique, expertise statistique, etc.).

Exemples d'initiatives en faveur des PROM

Depuis 2009, l'Agence américaine des produits alimentaires et médicamenteux (FDA) recommande la saisie de PROM lors de l'introduction et de l'évaluation de nouvelles technologies, de nouvelles méthodes de traitement ou nouveaux produits médicaux [10]. Dans le cadre du *Patient Protection and Affordable Care Act* (Obamacare), le Congrès américain a fondé en 2010 l'Institut de recherche sur les résultats de santé centrés sur le patient (*Patient-Centered Outcomes Research Institute*: PCORI). Cet institut encourage la recherche centrée sur le patient de l'efficacité comparative (*Comparative Effectiveness Research*: CER)³ ainsi que le développement de méthodes centrées sur le patient, et il a lancé le réseau national de recherche clinique centrée sur le patient (*National Patient-Centered Clinical Research Network*: PCORnet, <https://www.pcori.org/>) [29]. L'OCDE se prépare à collecter, standardiser et analyser des indicateurs rapportés par le patient (*Patient Reported Indicator Survey*: PaRIS). Pour elle, le point de vue du patient sur son état de santé et son ressenti par rapport à la prise en charge médicale est une partie essentielle du traitement centré sur le patient. Les données récoltées aideront à obtenir une meilleure vue d'ensemble d'un système de santé, à établir des comparaisons internationales et à éviter des traitements inutiles (<http://www.oecd.org/health/paris.htm>).

L'ONG *International Consortium for Health Outcomes Measurement* (ICHOM) est une organisation indépendante qui développe actuellement des mesures du résultat de santé standardisées incluant le point de vue du patient. Ces mesures visent à recueillir ce qui est important pour le patient au quotidien et permettent d'évaluer des alternatives de prise en charge (<http://www.ichom.org/>). Aujourd'hui, il existe 23 différents blocs standardisés qui couvrent plus de 50% de la charge de la morbidité des pays occidentaux.

Le *European Registry of Quality Outcomes for Cataract and Refractive Surgery* (eurequo) met en lien les données cliniques avec les données PROM. Cela permet de tenir compte des informations relevant du patient au moment de poser une indication (par ex. opération chirurgicale). Le questionnaire Catquest-9SF est disponible en plusieurs langues. Les médecins (qui partici-

³ Une CER est la production et la synthèse d'une évidence qui compare les avantages et les risques de méthodes alternatives pour la prévention, le diagnostic, le traitement ou la gestion d'une maladie ou pour l'amélioration des soins de santé.

pent) comparent les résultats de leurs patients avec les valeurs de référence du pool de données (<http://www.eurequo.org/>).

Implémentation des PROM

Le manuel *User's Guide to Implementing Patient-Reported Outcomes Assessment in Clinical Practice* propose des informations pratiques et méthodologiques pour l'implémentation des PROM [18, 30]. A titre d'exemple, les objectifs et la question traitée doivent être clairement définis pour choisir un outil PROM. L'accès aux questionnaires doit être facile et les questions courtes et simples à comprendre. Les questionnaires doivent être adaptés au quotidien clinique et pouvoir être intégrés aux dossiers des patients, sans gêner le flux de travail.

Pour inciter la participation des patients, il est important d'informer que les PROM leur offrent la possibilité d'exprimer leur propre ressenti de leur propre état de santé. Sur la base de leurs valeurs et de leurs préférences, ils peuvent prendre des décisions conjointement avec les médecins, leurs proches et les autres professionnels de santé impliqués. L'utilisation de ces questionnaires a un impact positif sur la relation médecin-patient (avec l'aide des PROM, les médecins peuvent mieux répertorier et classer les symptômes de leurs patients) et débouche sur une meilleure adhésion des patients (respect des plans de traitement) [22, 31]. Les résultats d'enquêtes montrent que les patients ressentent les PROM comme étant utiles et qu'ils les recommanderaient [32–34]. Pour les patients, il est primordial de recevoir un feedback sur les indications qu'ils donnent.

Du point de vue des médecins, les PROM offrent plusieurs avantages: elles encouragent à inclure le point de vue du patient dans le traitement et rendent les consultations plus efficaces (gain de temps, car les patients ont déjà répondu à certaines questions systématiques par voie électronique en salle d'attente) [22]. Le patient et le médecin poursuivent des objectifs identiques et pertinents et orientent le traitement en conséquence. Les médecins traitants obtiennent un retour rapide sur le succès du traitement et peuvent influencer sur la direction à suivre pour le traitement en fonction de situations concrètes. Ils peuvent ainsi élar-

gir le champ de leurs expériences et apprendre grâce au système (cycle PDCA). Par ailleurs, les PROM servent de justificatif pour une gestion de la qualité centrée sur le patient (par ex. pour mettre en avant le bénéfice d'un acte médical ou pour la qualité de l'indication, documentation comprise).

Conclusion et perspectives

Les PROM encouragent des traitements incluant le point de vue du patient. En complément des informations cliniques (tests de laboratoire, imagerie, etc.), les PROM permettent d'opter pour des soins qui, du point de vue du patient, lui offrent le meilleur bénéfice. Idéalement, elles sont intégrées dans le dossier électronique du patient et dans les processus des travaux de routine: par ex. en tant qu'instrument d'anamnèse standardisé et systématique assorti d'un objectif fixé. Les PROM permettent de visualiser les étapes vers l'objectif à atteindre (à condition que les objectifs individuels aient été formulés au préalable).

Intégrées dans des outils informatiques (par ex. annonce électronique hebdomadaire des symptômes avec – en fonction de la gravité – une information automatique au médecin), les PROM conduisent à une meilleure auto-efficacité⁴ (*self-efficacy*), à moins de séjours aux urgences, à plus de qualité de vie et à de meilleures chances de survie pour les patients atteints de cancer [27, 34, 35]. Les données de registre incluant le point de vue des patients donnent des indications sur les variations dans la prise en charge et montrent pourquoi certains patients profitent d'une intervention déterminée et d'autres non. Un encouragement ciblé de la recherche sur les PROM (par ex. pour les maladies rares) est nécessaire pour que les patients, les proches et les fournisseurs de prestations puissent prendre des décisions sur les soins en étant bien informés. Par ailleurs, les patients, fournisseurs de prestations et décideurs doivent être associés au choix des thèmes, à la planification des études et à l'interprétation des résultats. Les PROM posent les jalons d'une bonne qualité de l'indication et des résultats de santé et pourraient contribuer à éviter des traitements inutiles. Elles mettent les coûts de la santé en relation avec les bénéfices pour les patients et le système en général (capacité de travail, maintien de l'autonomie).

4 La croyance que possède un individu en sa capacité de réaliser avec succès des actions souhaitées sur la base de ses propres compétences.

Correspondance:
FMH/ASQM
Elfenstrasse 18
CH-3000 Berne 15
Tél. 031 359 11 11
asqm[at]fmh.ch