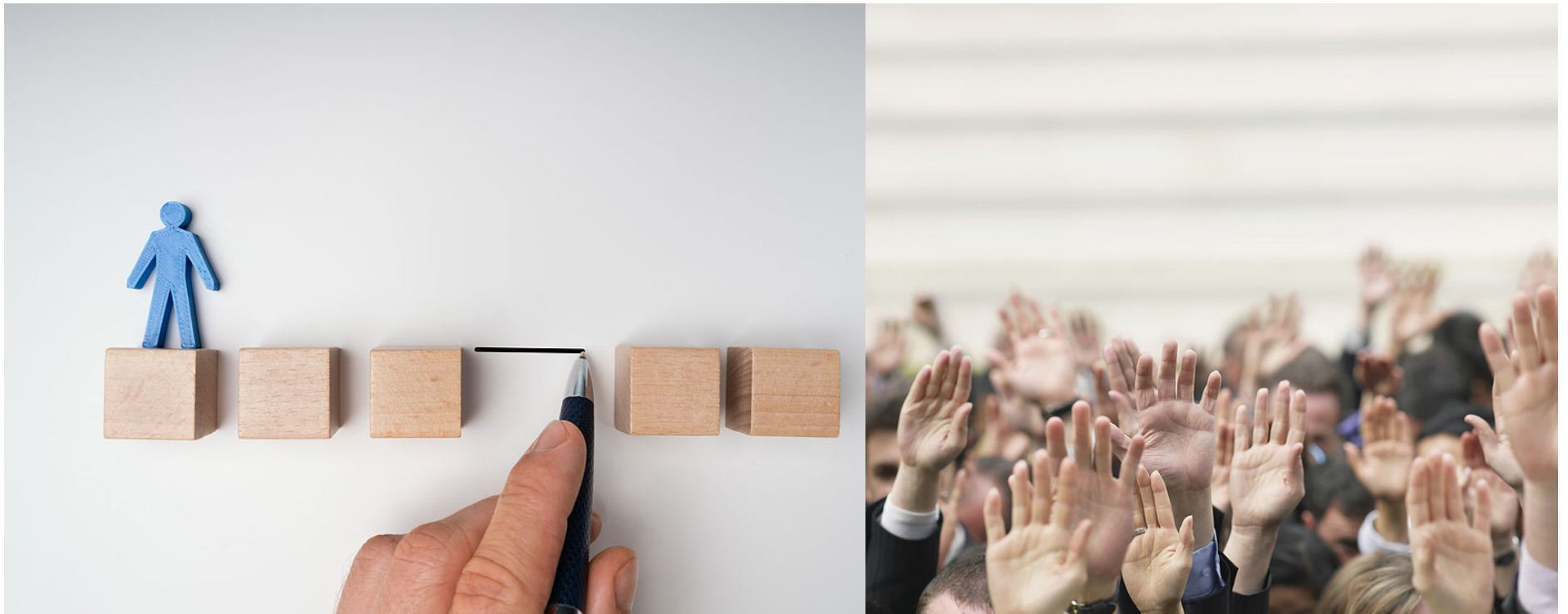


SYNTHÈSE

NEED : ÉVALUER LES BESOINS NON RENCONTRÉS LIÉS À LA SANTÉ DES PATIENTS ET DE LA SOCIÉTÉ



SYNTHÈSE

NEED : ÉVALUER LES BESOINS NON RENCONTRÉS LIÉS À LA SANTÉ DES PATIENTS ET DE LA SOCIÉTÉ

CHARLINE MAERTENS DE NOORDHOUT, MURIEL LEVY, RANI CLAERMAN, MATS DE JAEGER, ROBBY DE PAUW, LAURENCE KOHN, CLAUDIA SCHÖNBORN, IRINA CLEEMPUT



■ PRÉFACE

« *A Europe that cares, prepares and protects* » : c'est avec ce slogan que la Belgique a inauguré sa présidence du Conseil de l'Union européenne, en janvier 2024. Notre pays a choisi de mettre à l'ordre du jour un certain nombre de thématiques fondamentales, comme la nécessité de disposer d'un contingent suffisant de travailleurs de la santé, la prévention, les programmes d'urgence, les stratégies de lutte contre la résistance aux antimicrobiens ou contre les pénuries de médicaments, etc. Ce ne sont là que quelques exemples des ambitions que nourrit la Belgique pour améliorer la politique de santé à l'échelon européen.

« *A Europe that cares* », c'est aussi une Europe qui donne la priorité aux plus importants besoins non rencontrés liés à la santé et qui s'engage à identifier, mesurer et évaluer ces besoins, puis à agir en fonction des informations ainsi récoltées. Une politique de santé et d'innovation en santé guidée par les besoins prioritaires des patients et de la société figure donc en bonne place à l'agenda de la présidence belge.

Le KCE et Sciensano ont uni leurs forces pour développer un cadre (le « cadre d'évaluation NEED ») comportant 23 critères pour l'évaluation des besoins non rencontrés des patients et de la société, conçu pour être utilisé au niveau européen. L'objectif est ambitieux : mettre sur pied une infrastructure de recherche européenne indépendante pour coordonner la recherche sur les besoins non rencontrés. Dans ce cadre, nous voulons créer une base de données abritant des données scientifiques sur les besoins non rencontrés pour un grand nombre de maladies et problèmes de santé individuels. Notre intention est que ces données soient publiquement accessibles, afin que tout un chacun puisse prendre en compte les besoins les plus importants des patients et de la société.

Pas moins de 16 États-membres ont déjà exprimé leur soutien explicite à l'initiative, qui bénéficie aussi temporairement d'une aide financière de la Politique Scientifique Fédérale belge (BELSPO). Le projet suscite un grand enthousiasme, mais aussi énormément d'attentes. On n'a toutefois rien sans rien, et son avenir dépendra beaucoup de la disponibilité de moyens suffisants pour consacrer des recherches scientifiques approfondies à un maximum de pathologies. L'équipe de recherche ne manque en tout cas pas de dynamisme et se démène au quotidien avec une motivation sans précédent pour mettre sur pied une base de données scientifique utilisable et utile pour une série d'acteurs du secteur des soins de santé, à commencer par les patients eux-mêmes. Nous tenons aussi à remercier Marijke Eyssen, directeur général a.i. du KCE de janvier 2020 à février 2024, pour son soutien à ce projet.

En 2023, le KCE fêtait ses 20 années d'existence. En 2024, c'est l'initiative NEED qui voit le jour... et nous lui souhaitons d'ores et déjà un très bel avenir !

Christophe JANSSENS
Directeur Général Adjoint

Irina Cleemput
Directeur de programme a.i.

Ann Van den Briel
Directeur Général



■ SYNTHÈSE

TABLE DES MATIÈRES

■	PRÉFACE	1
■	SYNTHÈSE	2
1.	INTRODUCTION	4
1.1.	CONTEXTE	4
1.1.1.	Un système largement basé sur l'offre	4
1.1.2.	Évoluer vers un système de santé guidé par les besoins.....	5
1.1.3.	NEED : une approche radicalement différente	6
1.2.	OBJECTIFS, QUESTIONS DE RECHERCHE ET MÉTHODOLOGIE	7
2.	DÉFINITIONS	7
2.1.1.	Des besoins médicaux non rencontrés... ..	7
2.1.2.	... aux besoins non rencontrés liés à la santé	8
2.1.3.	Le fossé entre l'offre et le besoin	8
3.	LE CADRE D'ÉVALUATION NEED	9
3.1.	UN BREF HISTORIQUE	9
3.2.	LE CADRE D'ÉVALUATION NEED	9
3.2.1.	Dimensions.....	10
3.2.2.	Domaines	10
3.2.3.	Critères	11
3.2.4.	Indicateurs.....	12
3.3.	DE LA THÉORIE À LA PRATIQUE	13
3.4.	FORCES ET FAIBLESSES DU MODÈLE	13
3.4.1.	Un projet novateur.....	13



- 3.4.2. Certaines maladies et besoins risquent de passer entre les mailles du filet 14
- 3.4.3. Les difficultés du recrutement 14
- 3.4.4. Des données qui n'existent pas (encore)..... 14
- 4. LE CADRE NEED ET LES MALADIES RARES 15**
- 4.1. MALADIES RARES ET MÉDICAMENTS ORPHELINS..... 15
 - 4.1.1. Des défis spécifiques 15
 - 4.1.2. L'union fait la force 15
- 4.2. APPLICABILITÉ DU CADRE NEED AUX MALADIES RARES 16
 - 4.2.1. Questions de recherche et méthodologie 16
 - 4.2.2. Une définition fortement influencée par la réglementation sur les médicaments orphelins . 16
 - 4.2.3. Identifier les besoins non rencontrés dans le contexte des maladies rares : de nombreux défis..... 17
 - 4.2.4. Des critères et indicateurs spécifiques pour les maladies rares..... 18
 - 4.2.5. Le modèle d'implémentation en quatre étapes, adapté aux maladies rares ? 21
- 5. CONCLUSION 22**
- **RECOMMANDATIONS 24**
- **ANNEXE 28**



1. INTRODUCTION^a

1.1. Contexte

1.1.1. Un système largement basé sur l'offre

Le secteur de la santé est de ceux qui ne cessent d'évoluer : il ne se passe pas une semaine ou même un jour sans que l'on voie émerger une perspective nouvelle, un traitement plus ciblé, une approche plus judicieuse dans un domaine ou un autre. Les possibilités dont nous disposons aujourd'hui pour accompagner, soigner et soutenir les personnes vivant avec un problème de santé étaient encore inimaginables il y a quelques décennies à peine, et il est indéniable qu'un nombre croissant de maladies peuvent être de mieux en mieux traitées. On aurait évidemment tort de s'en plaindre. Néanmoins, force est également de constater qu'en dépit de cette offre de plus en plus étoffée, **de nombreux besoins restent encore sans réponse**, aussi bien au niveau des patients que de la société dans son ensemble (voir Encadré 1). Cela s'explique notamment par le fait que, même si l'offre est de plus en plus abondante, elle est aussi répartie de façon inégale : les investissements et développements ont tendance à se concentrer sur les domaines économiquement rentables.

Encadré 1 – Besoins non rencontrés

Le cas d'école d'un **besoin de santé non rencontré** est celui d'une maladie pour laquelle aucun traitement n'existe, mais cette notion recouvre aussi une foule d'autres situations. Il arrive par exemple qu'un traitement soit disponible mais présente de nombreux inconvénients (effets secondaires, modalités d'administration contraignantes, coût, etc.), perde de son efficacité avec le temps (résistance aux antibiotiques) ou ne permette pas d'éviter une invalidité ou une perte d'autonomie.

Par ailleurs, les besoins liés à la santé vont **bien au-delà d'un traitement efficace** et peuvent toucher tant les patients que, plus largement, la société. Ils englobent des aspects comme la prévention, le diagnostic, la coordination des soins ou l'organisation de la prise en charge, l'information disponible pour les patients, le soutien pratique ou financier, etc. pour ne citer que quelques exemples.

Nous aurons l'occasion de revenir plus en détail sur la notion de besoin non rencontré au sens de cette étude au chapitre 2.

S'il est utopique d'espérer pouvoir répondre un jour à la totalité des besoins en matière de santé, les lacunes existantes ne sont pas non plus une fatalité. Nombre d'entre elles découlent en effet des spécificités du système en place, et plus particulièrement du fait que l'offre d'interventions de santé n'est, trop souvent, pas développée en fonction des besoins réels.

L'**écosystème d'innovation** actuel reste en effet fortement axé sur les intérêts des acteurs commerciaux, dont l'offre privilégie les problèmes de santé les plus rentables : des études ont observé que les innovations dans le secteur du médicament, par exemple, sont souvent motivées plus par le nombre potentiel d'utilisateurs que par le fardeau que représente la maladie pour celles et ceux qui en sont atteints. L'innovation se concentre aussi de façon disproportionnée sur le développement de produits monnayables (en

^a Note générale : toutes les sources des informations qui figurent dans cette synthèse peuvent être retrouvées dans les rapports scientifiques dont elle dérive, « *Needs examination, evaluation and dissemination (NEED)* :

assessment framework » (Rapport KCE 377C1) et « *Needs examination, evaluation and dissemination (NEED): applicability to rare diseases* » (Rapport KCE 377C4).



particulier les médicaments), tandis que d'autres approches utiles suscitent beaucoup moins d'intérêt (p.ex. prévention primaire, amélioration de la qualité/organisation des soins, traitement non-médicamenteux, approbation de médicaments existants pour de nouvelles indications, etc.).

Par ailleurs, les **pouvoirs publics** prévoient souvent des incitants (soutien à la recherche, remboursement accéléré...) pour encourager l'innovation dans les domaines où elle reste à la traîne, mais il ne s'agit souvent guère que de mesures ponctuelles qui restent insuffisantes pour changer la donne. En outre, comme il n'existe pas actuellement de méthode permettant d'évaluer l'importance relative des différents besoins, les développeurs ont beau jeu de mettre en avant le fait que leur nouveau produit répond à un besoin non rencontré, même si l'importance individuelle et sociétale de celui-ci est limité (p.ex. un traitement plus efficace contre la rhinite virale). Le grand défi est donc de concentrer les efforts sur les besoins non rencontrés les plus importants.

D'un point de vue structurel, le système et les procédures en place restent aussi largement réactifs et donc, là aussi, axés sur l'offre : les produits qui sont évalués, autorisés et éventuellement remboursés sont ceux que les acteurs de l'innovation ont choisi de développer et de mettre à disposition, pas nécessairement ceux dont les patients et la société ont le plus besoin.

Supposons par exemple qu'un nouveau traitement oncologique permette d'accroître légèrement la survie mais avec un impact important sur la qualité de vie du patient. Même s'il a un effet démontrable sur la survie par rapport aux options existantes, on peut se demander s'il répond réellement à un besoin non rencontré.

1.1.2. Évoluer vers un système de santé guidé par les besoins

C'est donc un véritable changement de paradigme qui est nécessaire, en Belgique comme dans la plupart des pays du monde : plutôt que d'attendre passivement que des solutions (pas toujours optimales) arrivent, il est nécessaire de développer **une réflexion globale sur les besoins prioritaires des patients et de la société** en matière de santé afin de pouvoir orienter les stratégies de recherche et d'innovation en conséquence, et ce de façon proactive. Il est en effet essentiel que ces besoins soient pris en compte tout au long du parcours de développement d'une intervention de soins, y compris en amont, dès le stade de la réflexion préalable.

Plusieurs initiatives ont été lancées à l'échelon belge et international dans le but de stimuler cette évolution vers un système davantage axé sur les besoins, et le Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE) aussi s'investit depuis plusieurs années dans la recherche sur la prise en compte des besoins des patients et de la société. Le KCE a déjà consacré deux projets de recherche à cette thématique, sur lesquels nous aurons l'occasion de revenir brièvement dans le chapitre 3. Cette nouvelle étude s'inscrit dans le prolongement de ces projets antérieurs.

Toutefois, pour parvenir à une telle approche proactive et centrée sur les besoins, encore faut-il d'une part pouvoir **identifier les maladies ou problèmes de santé** pour lesquels il existe ou subsiste encore des **besoins importants** qui ne sont pas rencontrés par le système de santé actuel, d'autre part dresser la liste de ces besoins et **évaluer** leur importance. Ce n'est en effet qu'ainsi qu'il sera possible d'identifier les priorités d'une manière structurée et scientifiquement fondée, et d'évoluer vers un système qui soit moins dicté par les forces du marché et davantage gouverné de façon collective dans l'intérêt de tous.



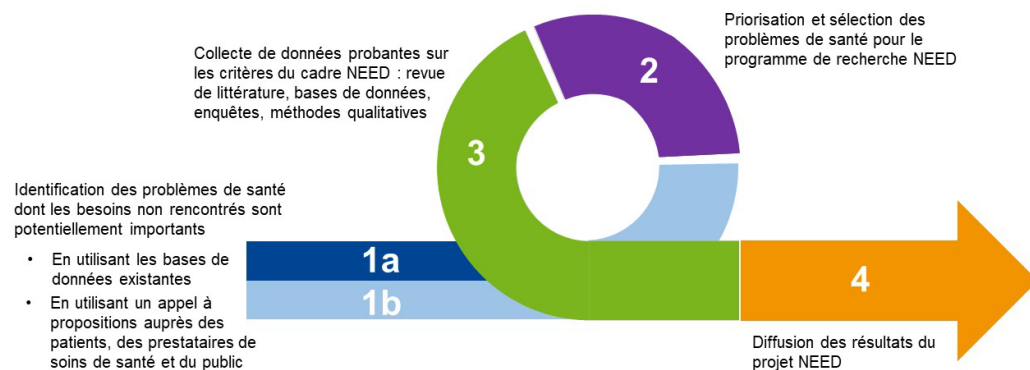
1.1.3. *NEED : une approche radicalement différente*

L'initiative NEED (acronyme de *Needs Examination, Evaluation, and Dissemination* ou « examen, évaluation et dissémination des besoins »), dans laquelle s'inscrit la présente étude, représente un véritable tournant dans l'évolution vers une stratégie de santé et d'innovation davantage guidée par les besoins. Son objectif ultime est de mettre en place une **infrastructure de recherche** qui se chargerait de compiler de façon systématique des données sur les besoins non rencontrés liés à la santé pour un large éventail de maladies et problèmes de santé – au niveau micro, au départ d'une perspective centrée sur le patient, mais aussi au niveau macro, celui de la société dans son ensemble. Le concept NEED se focalise donc sur **la réalité du problème de santé dans son contexte actuel**, compte tenu des traitements et autres dispositions existantes.

L'approche NEED repose sur un modèle d'implémentation en quatre étapes (Figure 1).

Dans cette synthèse, nous nous focaliserons surtout sur la 3^e étape de ce processus, qui comprend le développement d'un **cadre d'évaluation NEED** où sont définis les critères et méthodes d'identification des besoins non rencontrés des patients et de la société pour un problème de santé donné. Pour chaque maladie ou problème de santé, des preuves scientifiques pour chaque critère de besoin seront récoltées et placées dans une base de données européenne. Celle-ci pourra aider les décideurs à mieux prendre en compte les besoins non rencontrés qui ont été identifiés pour l'approbation et la mise à disposition de nouveaux produits et services de santé, mais aussi aider les autres acteurs concernés (associations de patients, chercheurs et financeurs de la recherche, mutuelles, etc.) à fixer leurs priorités d'action.

Figure 1 – Les 4 étapes du modèle d'implémentation NEED



Source : KCE



1.2. Objectifs, questions de recherche et méthodologie

L'objectif premier de cette nouvelle étude était d'établir un cadre reprenant un ensemble de critères pour identifier les besoins non rencontrés liés à la santé au niveau des patients et de la société – un outil qui devrait permettre, à terme, d'alimenter une base de données de ces besoins pour un large éventail de problèmes de santé. Cette information pourra ensuite être utilisée afin d'éclairer et de soutenir l'évolution vers une politique de santé davantage axée sur les besoins, y compris sur le plan de l'innovation.^b

Le cadre d'évaluation a également été testé sur deux pathologies, la [maladie de Crohn](#) et le [mélanome malin](#).

Enfin, une seconde étude a été réalisée pour investiguer l'applicabilité du cadre NEED aux maladies rares (voir chapitre 4).

Pour développer et évaluer le cadre NEED, les auteurs se sont appuyés sur les questions de recherche suivantes :

1. Quels sont les cadres, méthodes et stratégies qui existent à l'heure actuelle pour identifier les besoins des patients et de la société ?
2. Quels critères permettraient de décrire de manière adéquate les besoins non rencontrés des patients et de la société ?
3. Comment les données probantes touchant à ces critères peuvent-elles être collectées (sources existantes, collecte de données ad hoc...) ?
4. L'outil est-il utilisable dans la pratique et permet-il effectivement d'évaluer des besoins non rencontrés ? Quels sont les enseignements qui peuvent être tirés des deux études de cas ?

^b L'évaluation du niveau global (faible, moyen ou élevé) de besoins non rencontrés pour chaque maladie ou problème de santé est également une étape cruciale du processus, mais sort du cadre de ce rapport.

^c Règlement (CE) No 726/2004 du Parlement européen et du Conseil du 31 mars 2004

2. DÉFINITIONS

Avant d'entrer dans le vif du sujet, il semble opportun de nous arrêter brièvement sur la notion de besoin non rencontré au sens où elle est utilisée dans le cadre de cette étude. Il n'existe en effet pas de réel consensus sur la signification de ce terme ou, à plus forte raison, sur les éléments qui permettent d'identifier un besoin non rencontré.

Encadré 2 – La notion de besoin

Au sens le plus large du terme, les besoins peuvent être définis comme les éléments nécessaires à la survie, au bien-être et au développement de tout être humain. Ce sont, en substance, **les conditions fondamentales qui doivent être remplies pour assurer notre bien-être physique, psychologique et social**, comme par exemple l'accès à la nourriture et à l'eau potable, des conditions de vie et de travail sûres, des relations interpersonnelles significatives ou encore l'accès aux soins de santé.

2.1.1. Des besoins médicaux non rencontrés...

À l'origine, la notion de **besoins médicaux non rencontrés** a été élaborée dans le cadre du développement des médicaments et des « programmes d'usage compassionnel », au niveau de l'Union européenne^c dans un premier temps puis au niveau belge^d. Ces programmes permettent d'utiliser un produit pharmaceutique qui n'est pas encore officiellement autorisé dans des situations où aucune alternative satisfaisante n'est disponible sur le marché, soit parce qu'une telle alternative n'existe pas du tout, soit parce

^d Loi du 1^{er} mai 2006 portant révision de la législation pharmaceutique et Arrêté Royal du 14 décembre 2006 relatif aux médicaments à usage humain et vétérinaire



que le nouveau produit présente une plus-value thérapeutique majeure par rapport à ceux qui existent déjà.

Dans ce contexte, un besoin non rencontré peut être défini comme une maladie grave ou susceptible de mettre la vie du patient en danger, et pour laquelle il n'existe pas encore de traitement autorisé et remboursé.

2.1.2. ... aux besoins non rencontrés liés à la santé

Les besoins non rencontrés dont il est question dans ce rapport, désignés par le terme de **besoins non rencontrés liés à la santé**, se distinguent de ce concept initial à trois égards.

Tout d'abord, les besoins non rencontrés au sens de cette étude désignent les **besoins spécifiques** touchant à un problème de santé donné.

Ensuite, l'objectif est ici **d'identifier proactivement les lacunes de l'offre existante** dans l'espoir de pouvoir y remédier. Cette information pourra ensuite être utilisée pour fixer des priorités de santé et décider comment allouer au mieux les ressources disponibles.

Enfin, le champ a été élargi pour prendre en compte **trois types de besoins** : les besoins de santé, les besoins de soins de santé (dont font partie les besoins médicaux) et les besoins sociaux (voir section 3.2.1).

2.1.3. Le fossé entre l'offre et le besoin

Concrètement, un besoin non rencontré lié à la santé survient lorsque l'offre disponible ne permet pas ou pas complètement de répondre aux besoins.

Il est toutefois important de souligner qu'il ne s'agit pas d'une notion absolue (soit un besoin est rencontré, soit il ne l'est pas), mais d'un continuum où l'on peut distinguer quatre grandes étapes :

1. **L'état de santé en l'absence** de tout traitement ou intervention.
2. **L'état de santé observé dans la population**, compte tenu de l'offre de soins existante et du fait que celle-ci n'est pas forcément utilisée de manière optimale pour des raisons diverses.

3. **L'état de santé réalisable**, c'est-à-dire le meilleur état de santé pouvant être obtenu dans l'hypothèse d'un accès et d'une utilisation optimaux de l'offre de soins existante.
4. **L'état de santé optimal**, dans l'hypothèse où il n'y aurait plus aucun fardeau associé au problème de santé.

Les besoins non rencontrés se situent entre les points 2 et 4, et recouvrent d'une part les besoins qui ne sont pas rencontrés parce que l'offre existante n'est pas pleinement exploitée (intervalle entre 2 et 3), d'autre part ceux pour lesquels l'offre reste à développer (intervalle entre 3 et 4).

Encadré 3 – Besoins perçus et besoins cliniquement validés

On peut distinguer, dans les besoins liés à la santé des patients, ceux qui sont (ou non) perçus et ceux qui sont (ou non) cliniquement validés.

- On parlera d'un besoin **perçu** lorsque le patient est conscient d'avoir un besoin, d'un besoin **non perçu** lorsque ce besoin existe à l'insu du patient (p. ex. parce que sa maladie ne provoque aucun symptôme). Précisons qu'un besoin qui n'est pas perçu par le patient peut malgré tout être identifié (p. ex. parce qu'une anomalie est découverte à l'occasion d'un examen ou d'une prise de sang).
- On parlera d'un **besoin cliniquement validé** lorsqu'un professionnel de santé estime qu'une intervention est nécessaire, que le patient lui-même soit ou non conscient d'avoir un besoin.

Le projet NEED cible tous les besoins identifiables, à savoir ceux qui sont perçus et/ou cliniquement validés, mais pas ceux qui ne sont ni perçus ni cliniquement validés.



3. LE CADRE D'ÉVALUATION NEED

3.1. Un bref historique

Comme nous avons eu l'occasion de le mentionner plus haut, cette étude s'inscrit dans le prolongement de projets de recherche antérieurs du KCE, qui ont contribué à poser les bases du cadre d'évaluation exposé dans ces pages.

Une première étude, publiée en 2010 (Rapport KCE 147), formulait une série de recommandations aux décideurs politiques quant aux éléments à prendre en compte pour le remboursement des médicaments. Elle postulait notamment que, pour être éligible au remboursement, un nouveau produit devait répondre à au moins un **besoin médical, thérapeutique ou sociétal** dans l'indication visée, et proposait une série de critères d'évaluation pour en juger (risque de la maladie pour le pronostic vital, gravité des symptômes, existence ou non d'alternatives thérapeutiques, prévalence, etc.).

Une seconde étude (Rapport KCE 272, 2016) visait à développer une approche permettant de prendre en compte les préférences des citoyens et les besoins réels des patients dans le cadre du programme *Unmet Medical Need* de l'Institut National d'Assurance Maladie-Invalidité (INAMI). Sans trop entrer dans les détails, ce programme^e permet aux patients d'avoir plus rapidement accès à certains traitements innovants qui ne sont pas encore disponibles sur le marché (avec une intervention financière temporaire), pour autant que ceux-ci ciblent une maladie grave ou mortelle et qu'il n'existe pas d'alternative thérapeutique. L'une des conditions pour qu'un médicament puisse bénéficier de ce système est de cibler un problème de santé inscrit sur une liste de besoins non rencontrés, établie sur base annuelle. Dans ce cadre, le KCE a élaboré une méthodologie permettant de

classer les **besoins thérapeutiques et sociétaux non rencontrés** par ordre d'importance sur la base de critères objectifs.

Une troisième étude (Rapport KCE 348, 2022) s'est concentrée sur le développement d'une méthode pour identifier de manière scientifique et structurelle les plus importants besoins non rencontrés des patients en matière de santé. Elle marque un tournant important, en ce sens que la notion de « besoins thérapeutiques » y fait place à celle, plus large, de « **besoins des patients** ». Elle ne se focalise donc plus uniquement sur le besoin de traitements. Ses auteurs ont notamment recherché dans la littérature les outils qui existaient déjà pour évaluer les besoins non rencontrés des patients, et repéré les sources de données pouvant être utilisées pour identifier des besoins non rencontrés ou des maladies/problèmes de santé où ces besoins sont importants. Ils ont en outre mis au point un questionnaire générique (à adapter au cas par cas pour chaque maladie) pour recueillir les besoins non rencontrés des patients d'une manière relativement standardisée^f. C'est également dans ce cadre qu'a été élaborée une première approche en 7 étapes pour l'identification des besoins des patients, dont dérive le modèle en 4 étapes présenté à la Figure 1.

3.2. Le cadre d'évaluation NEED

Pour le cadre d'évaluation des besoins non rencontrés développé dans cette étude (le « cadre d'évaluation NEED »), l'équipe de recherche a affiné et complété les travaux antérieurs autour des critères d'évaluation des besoins des patients. Un exercice comparable a également été réalisé pour les besoins sociétaux, qui n'avaient pas été abordés dans le rapport de 2022. L'un des enseignements des recherches susmentionnées est en effet qu'il est important, pour mesurer les besoins non rencontrés liés à la santé, de distinguer les besoins des patients de ceux de la société (voir plus loin dans la section 3.2.1).

^e <https://www.inami.fgov.be/fr/themes/soins-de-sante-cout-et-remboursement/les-prestations-de-sante-que-vous-rembourse-votre-mutualite/medicaments/remboursement-d-un-medicament/besoin-medical-non-rencontre-unmet-medical-need> (Dernier accès : 16 février 2024)

^f Testé sur les personnes atteintes de COVID long dans le cadre d'une étude pilote (Rapport KCE 344, 2021)



Pour développer ce cadre d'évaluation, l'équipe de recherche s'est appuyée sur des revues de la littérature récente et sur la consultation d'acteurs-clés. Au final, ces efforts ont abouti à un cadre structuré en plusieurs dimensions, domaines, critères et indicateurs (voir Encadré 4 et Annexe 1).

Encadré 4 – Les bases du cadre NEED

- Les **dimensions** concernent le point de vue adopté pour l'identification et l'évaluation des besoins (perspective du patient, de la société et besoins futurs + la dimension transversale de l'équité).
- Les **domaines** se rapportent au type de besoin (besoin de santé, besoin de soins de santé ou besoin social).
- Les **critères** (voir annexe 1) représentent les différents besoins qui devraient être rencontrés à l'intérieur de chaque dimension, classés par domaine.
- Les **indicateurs** (voir annexe 1) évaluent dans quelle mesure les besoins liés à la santé identifiés par les critères sont effectivement rencontrés.

3.2.1. Dimensions

Les besoins des **patients** sont ceux qui découlent de l'impact direct d'un problème de santé sur la vie des personnes qui y sont confrontées. On peut citer, par exemple, le besoin d'avoir une bonne qualité de vie malgré la maladie ou le besoin d'avoir accès à un traitement efficace

Au-delà de son impact individuel sur les patients, un problème de santé a toutefois aussi des répercussions sur la collectivité, qui entraînent à leur tour des besoins **sociétaux**, collectifs. Lorsqu'une maladie est très fréquente, par exemple, il peut exister un besoin de traitements (plus) efficaces ou de mesures de prévention pour mitiger son impact sur la collectivité en termes de perte de productivité, de coût pour le système de santé, etc.

Enfin, un problème de santé peut aussi être associé à des besoins **futurs** au niveau des patients ou de la société, par exemple en raison d'une

incidence et/ou d'une prévalence croissante. Il est important d'essayer de prédire et d'anticiper ces tendances.

Encadré 5 – L'équité

L'**équité** est une dimension transversale qui recoupe les trois autres. La notion d'équité fait référence à l'absence de différences injustes et évitables entre des groupes de population distincts.

Pour certains critères du cadre d'évaluation NEED (pas pour tous), les besoins non rencontrés pour un problème de santé donné sont susceptibles de varier d'un groupe de population à l'autre (p.ex. en fonction de l'âge, du sexe, du niveau socio-économique...); il serait opportun de recueillir des données concernant ces différences afin d'identifier les éventuelles injustices. La question de l'équité devrait aussi, plus largement, être prise en compte dans la pondération et le classement des besoins non rencontrés liés à la santé.

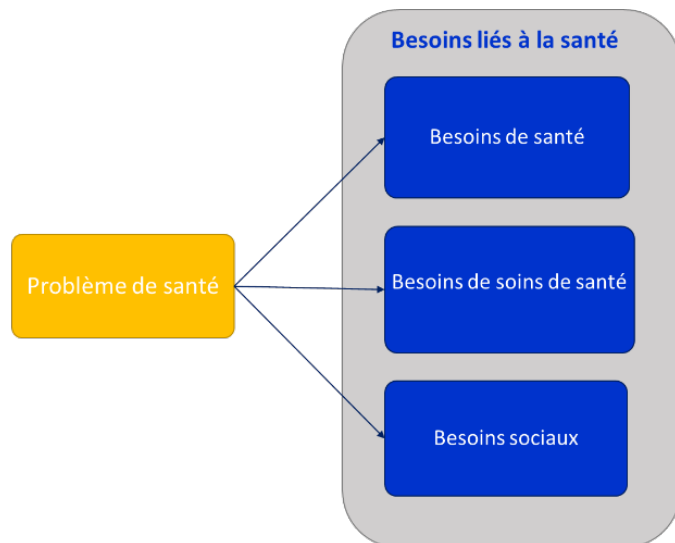
3.2.2. Domaines

Les besoins (des patients, de la société et futurs) relèvent de trois grands domaines :

- Les **besoins de santé** sont ceux qui sont directement liés au fardeau de la maladie pour les patients et pour la collectivité, en termes de souffrances, de perte de qualité de vie, etc.
- Les **besoins de soins de santé** sont les besoins de services de santé au sens le plus large du terme : besoins en traitements, en soins infirmiers, en prévention, etc.
- Les **besoins sociaux**, enfin, recouvrent tous les autres types de besoins, c'est-à-dire les besoins liés à la santé d'une manière plus indirecte, comme par exemple le besoin d'un soutien social, d'adaptations du poste de travail, de réduction de l'impact environnemental du secteur des soins.

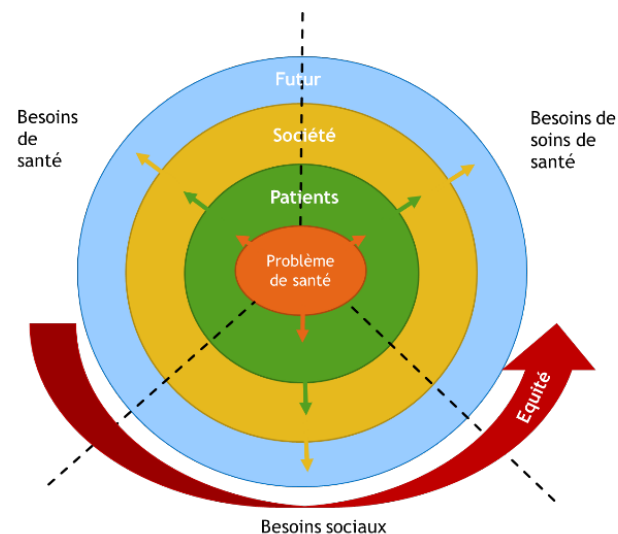


Figure 2 – Les trois types de besoins liés à la santé



Source : KCE

Figure 3 – Interrelations entre le problème de santé, les besoins (dans leurs différentes dimensions et domaines) et l'équité



Source : KCE

3.2.3. Critères

Dans sa version finale, le cadre NEED comprend un total de 23 critères (dont vous trouverez la liste complète dans l'annexe 1) permettant d'identifier les besoins non rencontrés liés à la santé qui couvrent, ensemble, toutes les dimensions et domaines des besoins.

Treize critères ont été retenus pour l'identification des **besoins des patients** :

- Cinq critères pour les **besoins de santé** – l'impact du problème de santé sur la qualité de vie liée à la santé, sur la santé physique, sur la santé psychologique, sur l'autonomie et sur l'espérance de vie.



- Quatre pour les **besoins de soins de santé** – l'efficacité du traitement, le fardeau du traitement, la qualité des soins et l'accessibilité.
- Quatre pour les **besoins sociaux** – l'impact sur la vie sociale, l'impact sur l'éducation, l'impact sur l'activité professionnelle et les conséquences financières.

Huit critères ont été retenus pour l'identification des **besoins de la société** :

- Quatre pour les **besoins de santé** – la fréquence du problème de santé, sa transmissibilité, l'éventuelle résistance aux antimicrobiens et enfin la charge pour les aidants informels (perte de qualité de vie).
- Deux pour les **besoins de soins de santé** – le rapport qualité-prix du traitement standard et les possibilités de prévention.
- Deux pour les **besoins sociaux** – les pertes de productivité et l'impact environnemental du traitement standard.

Enfin, deux critères ont été retenus pour l'identification des **besoins futurs**, à savoir le fardeau futur de la maladie (qui touche aux besoins de santé futurs) et sa charge économique future (indicative des besoins de soins et besoins sociaux futurs) dans un scénario où la situation existante resterait inchangée.

3.2.4. Indicateurs

À chacun des critères mentionnés au point précédent correspondent un ou plusieurs indicateurs concrets et mesurables (43 indicateurs au total – voir annexe 1). Pour chacun d'eux, les chercheurs ont également identifié la ou les approches les plus adaptées pour la collecte des données qui alimenteront le cadre d'évaluation (analyse de la littérature, analyse de bases de données, enquête auprès des patients, entretiens individuels avec des patients ou avis d'experts, ou une combinaison de ces approches). Ils soulignent que l'implication des patients tout au long du processus de collecte des données primaires revêt une importance capitale. Pour de plus amples informations sur les modalités concrètes de ces méthodes de collecte des données, nous nous invitons à vous référer au chapitre 4 du rapport scientifique.

Encadré 6 – Quelques exemples d'indicateurs et des méthodes à privilégier pour la collecte des données

- Deux indicateurs ont été retenus pour **mesurer l'impact du problème de santé sur la santé physique** (dans les besoins de santé des patients) : la perception de la lourdeur des symptômes physiques et la présence de douleurs ou d'une gêne avant et après la survenue du problème. Pour ces deux indicateurs, la méthode de collecte des données à privilégier est une enquête auprès des patients couplée à des entretiens individuels.
- Deux indicateurs ont été retenus pour mesurer **les conséquences financières du problème de santé** (dans les besoins sociaux des patients) : d'une part les dépenses en soins de santé qui restent à charge du patient (tickets modérateurs, suppléments, ...), avec pour source préférentielle l'analyse des bases de données existantes, et d'autre part les frais liés à la maladie qui ne relèvent pas des soins de santé (p. ex. frais de déplacement ou d'adaptation du lieu de vie), pour lesquels les données seront idéalement recueillies par le biais d'entretiens individuels avec les patients.
- Trois indicateurs ont été retenus pour mesurer **l'impact environnemental du traitement standard** (dans les besoins sociaux de la société) : les émissions de gaz à effet de serre associées au traitement, les déchets générés par ces derniers et l'utilisation de ressources naturelles et matières premières associée au traitement standard. Ici, ce sont les données de la littérature et l'avis des experts qui ont la préférence.



3.3. De la théorie à la pratique

Pour tester la pertinence pratique du cadre d'évaluation NEED, il a été appliqué à deux pathologies : la maladie de Crohn et le mélanome malin. Ces deux études de cas ont permis d'une part de confirmer que le modèle était effectivement utilisable sous sa forme actuelle, d'autre part d'identifier les points d'amélioration potentiels. Les enseignements qui en sont tirés sont repris au point 3.4. Les besoins identifiés dans le cadre des deux études de cas sont également résumés très brièvement dans les *fact sheets* qui accompagnent cette synthèse.

Par ailleurs, nous l'avons dit plus haut, l'étude qui nous occupe ici n'est que la première étape d'un projet beaucoup plus ambitieux, puisque ce cadre d'évaluation doit servir de fondement à la création d'une vaste base de données où seraient compilés les besoins non rencontrés pour un grand nombre de maladies ou problèmes de santé.

Concrètement, la création de cette base de données reposera sur un modèle d'implémentation en quatre étapes (voir Figure 1) :

1. **Identification** de problèmes de santé pertinents à étudier (dans les bases de données existantes et au travers d'appels à propositions).
2. **Priorisation et sélection** des problèmes de santé à inclure dans la base de données.
3. **Collecte** de données sur la base du nouveau cadre d'évaluation proposé dans la section 3.2, et constitution d'une base de données.
4. **Dissémination** des résultats.

Les informations collectées seront présentées d'une manière permettant d'apprécier facilement si les besoins sont rencontrés ou non (voir exemple dans l'Encadré 7) et d'identifier, sur cette base, les domaines où des avancées devraient être réalisées en priorité, aussi bien à l'intérieur d'un problème de santé donné (priorisation « verticale ») que plus largement, tous problèmes de santé confondus (priorisation « horizontale »).

Encadré 7 – Exemple d'évaluation des besoins non rencontrés pour le critère « Impact sur la santé physique » (besoin de santé au niveau du patient)

Sur la base des données collectées par le biais de l'enquête en ligne auprès des patients, les besoins liés à l'impact physique de la maladie et mesurés par l'indicateur « **pénibilité perçue des symptômes physiques** » pourraient, par exemple, être définis comme non rencontrés si au moins 20 % des patients ayant des symptômes physiques les caractérisent comme étant « assez » ou « très pénibles ». Pour l'indicateur « **douleur/inconfort avant le diagnostic vs aujourd'hui** », les besoins non rencontrés pourraient être mesurés par le biais du pourcentage de répondants déclarant être confrontés à de la douleur/de l'inconfort (modérée, sévère ou extrême) qui n'était pas présente avant le diagnostic.

Les utilisateurs potentiels de cette base de données seraient, par exemple, les instances impliquées dans le remboursement (provisoire) des médicaments ou dispositifs médicaux, les instances d'évaluation des technologies de santé (HTA), les agences du médicament et les bailleurs de fonds de la recherche, à l'échelon national et international. Elle pourrait toutefois aussi être utile à de nombreux autres acteurs (associations de patients, mutuelles, prestataires de soins, chercheurs...) pour alimenter leurs initiatives de communication, pour centrer davantage leurs activités sur les patients et leurs besoins, etc.

3.4. Forces et faiblesses du modèle

3.4.1. Un projet novateur

NEED est un cadre d'évaluation holistique visant à identifier, d'une manière scientifique et transparente, les besoins non rencontrés liés à la santé des patients et de la société. Il s'agit donc d'un outil novateur qui continuera à être affiné à l'usage, en particulier en ce qui concerne le choix et la définition des critères et des indicateurs.

Parmi ses grands atouts, on peut citer le fait qu'il s'efforce de dresser un tableau très large des besoins non rencontrés, incluant non seulement les



besoins en traitements, mais **l'ensemble des besoins de santé, des besoins en soins de santé et des besoins sociaux**. L'inclusion de critères relatifs aux besoins futurs permet aussi à la réflexion de se inscrire dans une **perspective à long terme**.

3.4.2. Certaines maladies et besoins risquent de passer entre les mailles du filet

Le cadre d'évaluation NEED a toutefois aussi ses faiblesses. Le choix d'une **approche « par maladie »**, par exemple, présente d'indéniables avantages (p. ex. pour identifier un groupe de patients à interroger), mais comporte aussi des écueils potentiels. Il exclut, par exemple, par définition tout problème de santé sur lequel il n'est pas possible de mettre un nom, mais risque aussi de passer à côté de besoins plus transversaux qui concernent un grand nombre de situations et qui ont donc un impact global non négligeable, mais pourraient ne contribuer que faiblement au fardeau de chaque problème de santé individuel.

Il est possible que le cadre tel qu'il existe actuellement ne permette pas **d'identifier d'une manière adéquate tous les besoins pertinents**. Par exemple, il n'est pas spécifiquement conçu pour identifier les lacunes qui subsistent sur le plan de la recherche, comme une meilleure connaissance des mécanismes qui sous-tendent la maladie (qui pourrait contribuer au développement de nouveaux traitements).

Lors de l'application du cadre à l'exemple du mélanome, il est également apparu que les patients évoquaient spontanément, dans les entretiens individuels ou les champs libres de l'enquête, certains **besoins qui n'étaient pas du tout abordés dans le questionnaire**, comme le besoin de mesures de prévention, d'un dépistage à grande échelle, d'un soutien accru (sur le plan social, psychologique, émotionnel, de la coordination des soins...), d'une plus grande liberté dans le choix du lieu d'administration des traitements, etc.

3.4.3. Les difficultés du recrutement

L'application du modèle sur le terrain a également mis au jour un certain nombre de difficultés en ce qui concerne le recrutement d'un **nombre suffisant de participants** pour l'enquête en ligne et les entretiens individuels. Trouver suffisamment de répondants pour obtenir des résultats fiables et généralisables représente en effet un défi considérable. Impliquer davantage les organisations de patients et les médecins spécialistes dans le développement/l'adaptation du questionnaire pourrait contribuer à faciliter sa diffusion, et donc, entre autres, le recrutement des participants. Ce test pratique a toutefois aussi mis en avant l'importance du choix réfléchi des critères d'inclusion (dans l'exemple du mélanome, ceux-ci se sont avérés tellement stricts qu'ils excluaient une fraction conséquente des patients) et d'une période de recrutement suffisamment longue.

Au-delà du nombre de répondants proprement dit, il est aussi important d'avoir conscience du fait que les personnes qui acceptent de participer à une telle enquête ne sont pas nécessairement **représentatives de l'ensemble de la population de patients**, par exemple parce que les sujets les moins malades sont moins motivés pour participer, que les plus malades ne sont plus en état de le faire ou que certains groupes fortement concernés sont difficiles à toucher par le biais d'un questionnaire en ligne. Ce problème risque d'être d'autant plus marqué que le problème de santé concerné est peu fréquent, alors même que ce sont aussi souvent ceux où il subsiste le plus de besoins non rencontrés (voir également à ce sujet le chapitre 4 sur l'application du cadre NEED aux maladies rares).

3.4.4. Des données qui n'existent pas (encore)

Pour certains indicateurs dont la source de données principale est la littérature, on observe aussi des lacunes en termes de **disponibilité des données** (ou de données de qualité suffisante). C'est le cas, en particulier, pour les indicateurs qui concernent l'impact environnemental, un champ de recherche encore relativement nouveau que les auteurs ont choisi d'inclure malgré tout pour éviter qu'il ne soit finalement écarté ou oublié, en espérant que le problème du manque de données disparaisse spontanément avec le temps.



4. LE CADRE NEED ET LES MALADIES RARES

L'intention des concepteurs de l'approche NEED a toujours été de créer un modèle qui puisse potentiellement s'appliquer à **n'importe quel problème de santé**. Au vu des particularités des maladies rares, il semblait toutefois pertinent d'analyser spécifiquement son applicabilité à ce groupe de pathologies, ainsi que les moyens d'utiliser ensuite les données ainsi recueillies. À cette fin a été réalisée une étude distincte, basée sur une revue de la littérature scientifique, sur des données issues de la littérature grise⁹ et sur la consultation de stakeholders.

4.1. Maladies rares et médicaments orphelins

Comme leur nom l'indique, les maladies rares sont des pathologies qui ne touchent qu'un petit nombre de patients, le plus souvent définies comme des maladies ayant une prévalence de moins de 5 sur 10 000 habitants. Pour peu fréquentes qu'elles soient individuellement, elles sont toutefois aussi passablement nombreuses (la base de données www.orpha.net répertorie actuellement les données de prévalence ou d'incidence pour plus de 6000 d'entre elles, sur environ 7000 maladies rares identifiées à travers le monde) et concernent donc, toutes ensemble, un nombre non négligeable de patients. D'après la Fondation Roi Baudouin, elles toucheraient 6 à 8 % de la population mondiale, soit plus d'un demi-million de personnes à l'échelon de la Belgique.

4.1.1. Des défis spécifiques

La faible prévalence des maladies rares s'accompagne d'une série de difficultés spécifiques. Ainsi, même en supposant qu'elles suscitent un intérêt suffisant, **ces pathologies restent souvent mal connues et mal**

comprises faute de pouvoir être étudiées chez un nombre suffisant de personnes. C'est d'autant plus vrai lorsque leurs manifestations sont très hétérogènes et qu'elles se présentent donc sous une forme différente d'un patient à l'autre, ou lorsqu'elles sont associées à d'autres diagnostics (comorbidités).

En outre, il n'existe pas toujours d'associations de patients dédiées pour représenter, défendre et soutenir les personnes confrontées à une maladie rare, ce qui contribue encore à leur **manque de visibilité** et à la **méconnaissance de leurs besoins**.

Cette situation est d'autant plus regrettable **que ces besoins sont souvent nombreux, complexes et bien plus larges que les seuls besoins médicaux ou thérapeutiques**. Les maladies rares sont en effet lourdes de conséquences pour les personnes qui en sont atteintes, mais potentiellement aussi pour leurs proches, pour leurs aidants et pour les générations futures.

4.1.2. L'union fait la force

Les patients atteints d'une maladie rare sont souvent confrontés à un véritable **parcours du combattant** dès le stade du diagnostic, qui n'est parfois posé qu'après plusieurs années jalonnées d'exams et de consultations médicales. D'après des chiffres de la Fondation Roi Baudouin, dans notre pays, 22 % des patients atteints d'une maladie rare ont vu cinq médecins avant que leur diagnostic puisse être confirmé, 7 % en ont vu plus de dix et 44 % ont reçu un premier diagnostic incorrect (qui s'est soldé, chez trois quarts d'entre eux, par un traitement inadéquat et inefficace).

Une fois le diagnostic posé, ces patients sont aussi confrontés plus que les autres à un manque de coordination des soins, de communication et d'informations, ainsi qu'à des traitements inadaptés.

⁹ Le terme de « littérature grise » désigne l'ensemble de la documentation produite par exemple par l'administration, l'industrie, les associations de patients, etc., mais sans être publiée par les circuits habituels (p.ex. revues scientifiques).



S'il n'y a probablement pas de solution parfaite pour remédier à ces lacunes, il apparaît clairement qu'une collaboration internationale est indispensable dans le domaine des maladies rares. Plusieurs initiatives ont déjà vu le jour, dont notamment l'*Undiagnosed Diseases Network International* (UDNI), qui vise à diagnostiquer les patients atteints de maladies rarissimes qui n'ont pas pu l'être par d'autres acteurs, ou encore la création de réseaux de référence européens (*European Reference Networks* ou ERN), des réseaux virtuels de prestataires de soins dont le but est de faciliter les échanges autour des maladies rares.

4.2. Applicabilité du cadre NEED aux maladies rares

4.2.1. Questions de recherche et méthodologie

- Quelles sont les **définitions** des maladies rares actuellement utilisées dans le cadre de la politique de santé à travers l'UE ?
- Quels sont les **défis méthodologiques** propres à la recherche sur les maladies rares qui pourraient avoir un impact sur l'évaluation des besoins non rencontrés des patients et de la société ?
- Quels sont les **critères** importants à prendre en compte dans l'évaluation des besoins non rencontrés liés à la santé spécifiquement pour les maladies rares ?

4.2.2. Une définition fortement influencée par la réglementation sur les médicaments orphelins

L'analyse des sites Internet de quelque 136 acteurs concernés de près ou de loin par la problématique des maladies rares à l'échelon de l'UE ou de ses États membres (agences d'évaluation/de financement des technologies de santé, régulateurs/décideurs politiques, organisations représentatives de l'industrie, associations de patients) révèle que **38,2 % seulement proposent une définition explicite des maladies rares**. Les associations de patients sont les plus nombreuses à le faire.

Même lorsqu'elle est présente, **cette définition varie en outre d'une source à l'autre et le terme de maladie rare est souvent utilisé de manière interchangeable avec celui de maladie orpheline**, vraisemblablement parce que de nombreux acteurs se réfèrent dans ce cadre au concept de médicament orphelin au sens de la réglementation européenne^h, mise en place pour donner un coup de fouet aux investissements dans la recherche et le développement de médicaments destinés au traitement de maladies (rares) pour lesquelles il n'existe encore aucun traitement (dits « médicaments orphelins »). Néanmoins, certaines sources distinguent clairement les deux notions. En Belgique, l'institut scientifique de santé publique Sciensano mentionne ainsi sur son site qu'une maladie est considérée comme « rare » si elle touche moins d'une personne sur 2 000, et comme « orpheline » lorsqu'il n'existe pas de traitement pour la guérir.

Encadré 8 – Définition d'une maladie rare

Globalement, il semble que, le plus souvent, la définition d'une maladie rare repose en premier lieu sur un **facteur de prévalence** (généralement moins de 5 cas sur 10 000 à moins d'un cas sur 2 000, ce qui correspond au seuil fixé à l'échelon de l'UE), parfois doublé d'un ou plusieurs **facteurs qualitatifs** (p.ex. gravité, complexité, caractère progressif ou dégénératif, fardeau pour les patients, lacunes dans les connaissances...).

Les différences dans la terminologie et les critères utilisés ne sont pas sans conséquences. À l'échelon européen, des incitants sont en effet prévus spécifiquement pour les maladies rares dans lesquelles il subsiste d'importants besoins non rencontrés. Si les critères de définition d'une maladie rare diffèrent d'un pays à l'autre, l'évaluation des éventuels besoins non rencontrés pourrait elle aussi livrer des résultats différents.

Dans un contexte où les maladies rares apparaissent de plus en plus comme une priorité de santé publique, **il serait sans doute opportun**

^h Règlement 141/2000 sur les médicaments orphelins



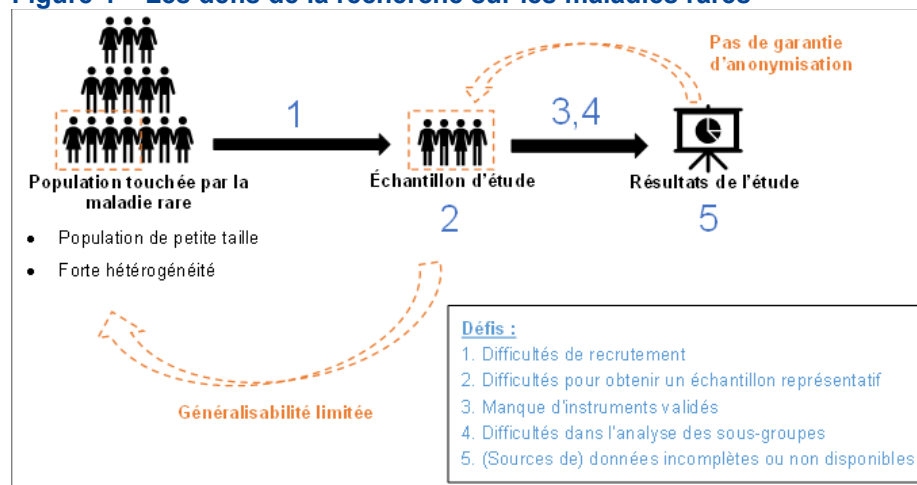
d'harmoniser leur définition et de clarifier la distinction maladie rare/maladie orpheline.

4.2.3. Identifier les besoins non rencontrés dans le contexte des maladies rares : de nombreux défis

Une revue des travaux consacrés à l'identification et à l'évaluation des besoins non rencontrés dans le contexte des maladies rares, réalisée dans le contexte de l'étude sur l'applicabilité du cadre NEED aux maladies rares, conclut que cette démarche peut s'appuyer sur **différentes méthodes**, qui ne sont pas très différentes de celles utilisées pour des maladies plus fréquentes : analyse de la littérature (scientifique ou grise), analyse de bases de données (p.ex. registres nationaux), approches qualitatives (entretiens individuels, discussions de groupe...), enquêtes/questionnaires ou, mieux, une combinaison de ces méthodes.

Dans le contexte très spécifique des maladies rares, quelle que soit l'approche utilisée, la recherche se heurte toutefois à une série d'écueils, résumés de façon schématique à la Figure 4.

Figure 4 – Les défis de la recherche sur les maladies rares



Source : NEED initiative

4.2.3.1. Qu'en retenir ?

Il ressort avant tout de cette analyse des difficultés méthodologiques de la recherche sur les maladies rares que le défi majeur réside dans l'obtention d'un **volume suffisant de données pour pouvoir tirer des conclusions pertinentes, représentatives et généralisables**. En effet, plus les données disponibles sont limitées, plus le risque est élevé que des valeurs extrêmes, biaisées ou de mauvaise qualité viennent fausser le tableau global.

En outre, l'analyse d'éventuels **sous-groupes** de la population étudiée ou sous-types de la maladie n'est pas toujours possible, et des problèmes peuvent aussi se poser pour **l'anonymisation** des données.

Ces difficultés sont encore amplifiées par le fait qu'il est souvent question de **maladies graves et/ou associées à une mortalité précoce**. Les personnes très malades et les enfants peuvent en effet être plus difficiles à toucher ou à consulter directement, et l'input des parents ou aidants ne reflète pas toujours parfaitement la perspective des patients eux-mêmes.

La réserve de recrutement étant limitée, les personnes vivant avec une maladie rare risquent aussi d'être très sollicitées pour des enquêtes et sondages et donc de s'en lasser (« **lassitude des sondages** »).

Enfin, un dernier écueil réside dans le fait que les outils d'évaluation disponibles pour évaluer l'état de santé, la qualité de vie ou d'autres facteurs (questionnaires, échelles, etc.) sont souvent des **outils génériques**. De ce fait, ils ne sont pas toujours bien adaptés aux personnes confrontées à une maladie rare très invalidante.



Encadré 9 – Pistes de solutions

Les solutions proposées pour mitiger l'impact des problèmes identifiés passent souvent par un **élargissement** et une **diversification**, aussi bien dans la conception des études (p. ex. combinaison de différentes méthodes de recherche) que dans les stratégies de recrutement (p. ex. utiliser plusieurs supports, plusieurs canaux de communication, plusieurs types de contacts pour relayer l'information...), le choix des sources de données ou celui du champ (géographique) considéré.

Un autre point crucial réside dans l'**implication des patients** dans le développement de méthodologies ou d'outils d'évaluation adaptés. Dans un ordre d'idées connexes, il apparaît que des approches qualitatives et/ou centrées sur le patient (enquêtes, entretiens individuels, discussions de groupe, etc.) pourraient être mieux adaptées à l'identification des besoins non rencontrés dans des populations de petite taille que les méthodes quantitatives.

4.2.4. Des critères et indicateurs spécifiques pour les maladies rares

Les différents critères et indicateurs du cadre NEED ainsi que les sources de données suggérées pour chacune (voir sections 3.2.3 et 3.2.4) ont été examinés à la lumière de la littérature disponible et de la consultation d'un certain nombre de stakeholders, et des suggestions ont été formulées pour améliorer leur pertinence dans le contexte des maladies rares.

Une série de critères et indicateurs supplémentaires ont ainsi été proposés et certains ont été légèrement adaptés, principalement au niveau des besoins (de santé, de soins et sociaux) des patients et dans une moindre mesure des besoins de la société. La catégorie « besoins futurs » n'a pas fait l'objet d'adaptations majeures.

Une partie de ces ajouts concernent des problèmes relativement spécifiques aux maladies rares, mais la plupart des adaptations proposées sont également applicable aux maladies plus fréquentes. Des recherches supplémentaires seront toutefois nécessaires pour identifier, pour chacun,

les méthodes les plus appropriées pour la mesure des indicateurs correspondants et pour la collecte des données.

L'équipe de recherche a également épinglé certains indicateurs ou critères qui doivent faire l'objet d'une attention particulière ou être évalués d'une manière différente dans le contexte des maladies rares, et quelques autres qui sont au contraire moins pertinents.

Les modifications proposées sont exposées ci-dessous dans les grandes lignes. Pour une présentation détaillée, nous vous invitons à vous référer au rapport scientifique sur l'applicabilité du cadre NEED aux maladies rares.

4.2.4.1. Besoins de santé des patients

Les ajustements proposés dans ce domaine visent avant tout à mieux prendre en compte le profond impact qu'une maladie rare peut avoir à tous les niveaux de la vie du patient, ainsi que ses répercussions psychologiques. Les experts proposent pour cela d'intégrer au modèle un indicateur sur l'**estime de soi**.

Un autre indicateur à ajouter concerne l'impact sur la qualité de vie du caractère **(im)prévisible** de la maladie, de son évolution et de ses fluctuations. Le fait de ne pas savoir comment les symptômes vont évoluer ou quand ils vont se manifester peut en effet représenter une source de stress non négligeable pour les patients, mais aussi affecter leur quotidien et leurs projets d'avenir.

Enfin, ce domaine se voit également enrichi d'un nouveau critère, l'impact de la maladie sur la **santé reproductive**.

Autres points d'attention

- Le **type d'incapacité ou de handicap** qui a le plus d'impact sur les activités quotidiennes.
- La possibilité, pour le patient, de **vivre de manière indépendante** dans son propre logement en tant que composante de l'autonomie.



4.2.4.2. Besoins de soins de santé des patients

Face au constat que le manque d'information et la méconnaissance de la maladie ont un impact non négligeable sur toutes les étapes de sa prise en charge, il semble opportun de compléter le cadre NEED par un critère consacré aux **besoins de recherche**. Celui-ci recouvre deux indicateurs, d'une part le **manque d'informations** (de qualité) et de données probantes pour les soignants, d'autre part le manque d'expérience de ces derniers et le besoin de **guides de pratique clinique**.

Le délai avant diagnostic figure déjà dans le cadre NEED, mais est souvent particulièrement problématique dans les maladies rares. Dans ce contexte spécifique, le phénomène peut être encore aggravé par la **(non-) disponibilité d'outils de diagnostic** (tests, programmes de dépistage, etc.), qui devrait donc être explicitement explorée.

Pour évaluer le fardeau du traitement pour les patients, les auteurs suggèrent d'ajouter un indicateur sur **l'adhésion au traitement** – un facteur susceptible d'être lié notamment à sa pénibilité (ou à celle de ses effets secondaires), et qui peut fortement compromettre son efficacité.

L'accessibilité des soins est un autre élément repris dans le cadre NEED qui peut comporter des difficultés particulières dans le contexte des maladies rares en raison du nombre limité d'experts dans des domaines parfois très spécifiques et de centres (ultra-)spécialisés. De ce fait, les patients sont parfois amenés à parcourir des **distances** importantes pour accéder aux soins nécessaires (au point, parfois, de choisir de déménager plus près). Ils peuvent aussi être confrontés à des **délais d'attente** considérables. Ces deux facteurs compliquent évidemment l'accès aux soins et devraient donc être intégrés au cadre d'évaluation, à tout le moins pour les maladies rares.

Autres points d'attention

- L'importance de maintenir une définition suffisamment large de la notion de traitement, avec une attention accrue aux **options non-pharmacologiques**.
- L'évaluation de la disponibilité de traitements et de leur efficacité, qui devrait aussi prendre en compte la **perspective des patients**.

- L'importance d'une **perspective à long terme** dans l'évaluation du fardeau du traitement.
- L'importance d'une prise en charge holistique et **multidisciplinaire**... et sa difficulté, dans un contexte où l'expertise disponible est souvent limitée.

4.2.4.3. Besoins sociaux des patients

Les maladies rares ont souvent un impact significatif sur de nombreuses facettes de la vie sociale des patients. En sus du besoin de soutien social qui figure déjà dans le cadre NEED, les auteurs suggèrent de s'intéresser aussi plus largement au besoin de **relations sociales**, étroitement lié à la capacité de participation à la société, à la vie de couple et familiale, aux activités de loisirs, etc.

La **stigmatisation** souvent associée au manque de visibilité ou à la mauvaise connaissance la maladie est un autre critère important à prendre en compte, qui peut affecter profondément l'intégration sociale et le bien-être des patients atteints d'une maladie rare.

Autres points d'attention

- **L'inclusivité** et plus spécifiquement l'attention à la manière spécifique dont la maladie affecte les patients à différents âges/stades de la vie.
- Le manque de **groupes d'entraide** et d'une **guidance** assurée par des intervenants qui ne soient pas des professionnels de la santé (p.ex. services sociaux).
- Les **spécificités** de l'impact sur la vie professionnelle (p.ex. la maladie a-t-elle imposé de changer de type de travail, d'en réduire l'intensité...)

4.2.4.4. Besoins de santé au niveau de la société

Dans le contexte des maladies rares, qui comportent souvent une composante héréditaire, la notion de transmissibilité fera souvent référence à la transmission de mutations génétiques aux générations suivantes (**héritabilité**) plutôt qu'à la **contagiosité** de la pathologie. Il semble donc pertinent d'examiner séparément ces deux aspects.



Un autre élément à mieux prendre en compte est l'**impact de la maladie sur les aidants informels**. Entourer au quotidien un patient atteint d'une maladie rare peut en effet affecter non seulement la qualité de vie (déjà reprise dans le cadre original), mais aussi potentiellement la santé physique et mentale de ces personnes, ainsi que leurs propres projets et activités.

4.2.4.5. *Besoins de soins de santé au niveau de la société*

Les auteurs ne suggèrent pas de modifications dans ce domaine, mais soulignent que le **rapport coût-efficacité des traitements ciblant des maladies rares** est rarement favorable et souvent difficile à évaluer (en raison de la faible prévalence, du manque de données et de résultats cliniques parfois incertains).

4.2.4.6. *Besoins sociaux au niveau de la société*

Les auteurs recommandent d'évaluer également l'impact des maladies rares sur les **aidants informels** sous un angle sociétal. Comme les patients eux-mêmes, ceux-ci peuvent en effet voir leurs activités professionnelles (ou leur formation, le cas échéant) affectées de façon plus ou moins marquée par leur rôle d'aidants, avec l'**impact financier** qui en découle sous l'effet de pertes de productivité et de revenus. Indirectement, ceci a aussi un impact économique pour les employeurs et pour la société dans son ensemble.

Les **relations sociales** des aidants informels aussi peut être affectée par leur rôle auprès du patient. Il n'est pas rare qu'ils n'aient plus guère de temps pour eux, sombrent dans l'isolement ou rencontrent des difficultés dans leur vie relationnelle et affective.

Autres points d'attention

- Mieux rendre en compte la perspective des patients/aidants en ce qui concerne la perte de productivité.

Encadré 10 – Pas tous égaux face à la maladie

Les stakeholders interrogés dans le cadre de l'étude sur l'applicabilité du cadre NEED aux maladies rares ont également soulevé plusieurs points d'attention touchant à l'**équité** et aux inégalités face à la maladie.

- **Les patients atteints de maladies rares sont globalement peu visibles** dans le système de santé pour une série de raisons (pathologie mal connue et peu étudiée, manque de données, absence de registres...). De ce fait, leurs besoins risquent davantage d'être négligés que ceux des personnes confrontées à un problème de santé plus fréquent.
- **L'offre de soins** est mieux organisée et plus développée dans certains groupes de maladies et domaines que dans d'autres.
- Les maladies rares (ou plus fréquentes, du reste) n'affectent pas toujours les deux **sexes** de la même manière. Les hommes restent toutefois typiquement surreprésentés dans la recherche et le développement cliniques, ce qui peut être une source d'inégalités face au traitement. Des attentes sociales différentes vis-à-vis des hommes et des femmes (p.ex. responsabilité des tâches domestiques) peuvent aussi influencer la manière dont la maladie les affecte.
- Diverses **caractéristiques socio-culturelles** (niveau d'éducation, origine ethnique...) et **géographiques** (pays/région, zone rurale ou urbaine...) contribuent à déterminer la capacité à s'orienter dans le système de santé et à faire un usage optimal des ressources disponibles.
- Les personnes en situation de **handicap intellectuel** devraient également faire l'objet d'une attention accrue. En effet, il s'agit d'une problématique fréquente chez les patients confrontés à une maladie rare, dont on sait qu'elle est associée à un risque accru de recevoir des soins inappropriés (comme l'a d'ailleurs aussi montré le rapport KCE 361 publié en 2022).



4.2.5. Le modèle d'implémentation en quatre étapes, adapté aux maladies rares ?

L'applicabilité du modèle d'implémentation en quatre étapes (voir Figure 1) aux maladies rares a également été examinée sur la base d'une revue rapide de la littérature et de l'avis de différents stakeholders.

Cette analyse a permis de mettre au jour, pour chacune des étapes, un certain nombre de points d'attention ou d'écueils propres aux maladies rares.

Une observation d'ordre général est qu'**une approche axée sur des maladies ou problèmes de santé clairement identifiés n'est peut-être pas adaptée aux maladies rares**. On risque en effet de passer complètement à côté d'un groupe important de patients chez qui un diagnostic précis n'a pas (ou pas encore) pu être établi, ou qui combinent plusieurs problèmes. Une piste pour contourner cet écueil pourrait être de travailler sur des symptômes ou sur des groupes de maladies associés à des besoins spécifiques plutôt que sur des diagnostics individuels.

4.2.5.1. Etape 1 : identifier les problèmes de santé à étudier

L'identification de maladies susceptibles d'être associées à d'importants besoins non rencontrés à l'aide de bases de données (étape 1a du modèle) ou d'appels à propositions en provenance de patients, de professionnels ou de simples citoyens (étape 1b) présente des difficultés spécifiques dans le contexte des maladies rares :

- Il existe **peu de bases de données** ciblant spécifiquement une maladie rare, même à l'échelon international, et les sources qui existent ne sont pas toujours complètes ou de qualité suffisante. Cette approche ne peut donc pas être utilisée seule dans ce contexte.
- Les **appels à propositions** risquent de favoriser les (groupes de) patients qui sont les mieux représentés, les mieux organisés et les plus « bruyants » plutôt que ceux dont les besoins sont les plus importants. Il peut également être plus difficile d'atteindre les individus ayant une expérience des maladies rares. Il est donc important de bien réfléchir à la conception de ces appels (information demandée, formulation des

questions...) et aux modalités de leur diffusion afin de maximiser les chances de toucher et de mobiliser ces personnes.

4.2.5.2. Etape 2 : priorisation et sélection des maladies à évaluer

La seconde étape du modèle, la priorisation et la sélection des maladies ou problèmes de santé dont les besoins non rencontrés seront évalués, pourrait comporter un risque d'iniquité si les critères de priorisation actuels (voir Encadré 10) sont appliqués sans distinction à toutes les maladies, rares ou plus courantes.

Des **critères purement quantitatifs** comme la fréquence de la problématique, en particulier, sont à utiliser avec discernement, par exemple en leur attribuant un poids différent pour les maladies rares et pour les autres.

Des **critères de priorisation supplémentaires** pourraient également être pris en compte spécifiquement pour les maladies rares, comme par exemple le manque de connaissances sur la maladie et sa prise en charge, l'absence de traitements, la difficulté du parcours diagnostique, etc.

Certains stakeholders interrogés estiment aussi que l'impact sur des **groupes vulnérables**, difficiles à atteindre ou moins bien étudiés (p. ex. enfants ou femmes enceintes), devrait avoir davantage de poids dans le processus de priorisation.

Encadré 11 – Critères de priorisation utilisés dans la 2^e étape du modèle NEED

- Impact sur la qualité de vie
- Impact sur l'espérance de vie
- Fréquence
- Impact économique sur le patient et sur la société
- Impact sur les groupes de population vulnérables



4.2.5.3. Etape 3 : la quête des données

Nous ne reviendrons plus ici sur les difficultés et points d'attention de la collecte des données sur les besoins non rencontrés dans les maladies rares (3^e étape), déjà abordés dans les sections consacrées aux défis méthodologiques de la recherche sur les maladies rares (4.2.3) et aux adaptations à apporter au cadre d'évaluation NEED dans ce contexte spécifique (4.2.4).

4.2.5.4. Etape 4 : faire connaître les résultats

En ce qui concerne la dernière étape du modèle, la diffusion des résultats, il ne semble pas vraiment y avoir de points d'attention spécifiques aux maladies rares mise à part la protection des données personnelles.

Les stakeholders interrogés rappellent toutefois l'importance d'une **mise à jour régulière de la base de données** des besoins non rencontrés, ceux-ci étant susceptibles d'évoluer au fil du temps.

Ils soulignent aussi qu'il serait souhaitable d'élaborer une stratégie de **dissémination de l'information**, afin que celle-ci puisse être activement diffusée dans la population et utilisée pour éclairer la prise de décision.

5. CONCLUSION

Le secteur de la santé est par excellence un secteur social au service de l'humain en détresse, et il serait certainement injuste d'affirmer que l'innovation n'y est motivée que par la recherche du profit. Néanmoins, force est bien d'admettre qu'il n'échappe pas complètement – ni même autant qu'on pourrait le souhaiter – à l'influence de la logique économique. Lorsqu'il est question de s'aventurer sur des terrains de recherche mal connus, avec tous les risques que cela comporte pour les investisseurs, cela peut se défendre. Néanmoins, on constate aussi de plus en plus que 'l'innovation' a tendance à arpenter encore et encore des domaines déjà bien explorés, en particulier ceux qui concernent un grand nombre de patients et sont donc susceptibles de générer des bénéfices substantiels.

Aujourd'hui, ce modèle a atteint les limites de sa pertinence, et un changement de paradigme s'impose. Il est temps, pour (les représentants de) la société, de reprendre la main sur l'innovation, les investissements et plus largement la stratégie politique dans le domaine de la santé pour les diriger vers les domaines où ils pourront générer une réelle plus-value. Ceux où ils auront le plus d'impact pour les patients, pour leurs proches ou pour la collectivité. Ceux où l'offre est mal adaptée ou, en tout cas, améliorabile. Ceux où l'offre est clairsemée voire inexistante. Ceux, bien souvent, qui auraient besoin de solutions plus atypiques ou d'approches préventives.

Pour cela, encore faut-il identifier ces domaines à prioriser, ceux où les besoins qui subsistent en dépit de l'offre actuelle sont les plus importants en termes de volume ou de gravité. Le projet NEED propose une approche pour réaliser cet exercice d'une manière structurée et scientifique, qui sera encore amenée à évoluer avec le temps et l'expérience. L'objectif n'est pas juste ambitieux, il est colossal à l'instar de l'enjeu : mettre sur pied une base de données européenne des besoins non rencontrés des patients et de la société pour un éventail le plus large possible de maladies et de problèmes de santé. Cette information pourra ensuite être utilisée afin d'éclairer et de soutenir l'évolution vers des stratégies en santé davantage axées sur les besoins.



Reste à espérer que le modèle et la philosophie qui le sous-tend parviendront à séduire tous les acteurs impliqués au niveau belge ou européen dans le domaine de la santé et de l'innovation en santé, des ministres aux instances responsables de l'évaluation des technologies de santé en passant par les agences du médicament, les structures en charge des questions de prix et de remboursement, les mutualités, les chercheurs, l'industrie et, bien sûr, les patients et leurs associations. Pour que NEED puisse vraiment changer la donne, il faudra en effet que tous les intervenants jouent le jeu et qu'une approche axée sur les besoins devienne, à terme, une évidence. Ce projet ambitieux a besoin d'un soutien à sa mesure.



■ RECOMMANDATIONSⁱ

Aux ministres de la santé et aux institutions de l'Union européenne

1. Mettre en place une infrastructure de recherche européenne indépendante pour coordonner la recherche sur les besoins non rencontrés et soutenir le développement de la base de données sur les besoins non rencontrés. Cette infrastructure européenne servira de couplage à la recherche sur les besoins non rencontrés dans les différents pays :
 - En standardisant les procédures et méthodes de recherche sur les besoins non rencontrés ;
 - En appliquant le modèle d'implémentation en quatre étapes (1 – identification de problèmes de santé à investiguer dans le cadre de la recherche sur les besoins non rencontrés ; 2 – hiérarchisation et sélection des problèmes de santé pour la recherche sur les besoins non rencontrés ; 3 – collecte de données probantes ; 4 – diffusion des résultats) ;
 - En fournissant des conseils, de la formation et du soutien aux chercheurs pour la collecte de données sur les besoins non rencontrés ;
 - En assurant l'entretien et la mise à jour de la base de données sur les besoins non rencontrés.
2. Envisager d'utiliser le cadre d'évaluation NEED pour éclairer la prise de décisions politiques en matière de santé et l'attribution des moyens financiers destinés à la recherche.
3. Continuer à encourager et promouvoir les politiques de santé fondées sur les besoins, qui s'appuient sur l'identification des besoins des patients et de la société au moyen d'approches scientifiques solides et transparentes.

Au ministre fédéral belge des Affaires sociales et de la Santé publique, au secrétaire d'état chargé de la Politique scientifique, aux ministres belges des entités fédérées compétents en matière de santé et aux administrations en charge de la santé publique et des soins de santé en Belgique

4. Initier et faciliter les discussions avec d'autres pays européens concernant la mise en place d'une infrastructure de recherche sur les besoins non rencontrés.

ⁱ Le KCE reste seul responsable des recommandations.



5. Intégrer les besoins non rencontrés des patients et de la société dans les discussions visant à établir les priorités de la politique de soins de santé et d'aide sociale, en ce compris les objectifs en matière de santé et de soins de santé.

À l'agence du médicament européenne et aux agences du médicament nationales

6. Evaluer dans quelle mesure les critères du cadre d'évaluation NEED et les données disponibles sur les besoins non rencontrés pourraient être pris en compte dans l'évaluation du niveau de besoins non rencontrés pour la prise de décision concernant, par exemple, les programmes d'accès précoce, les incitants ou l'octroi du statut « orphelin » à certains produits de santé.

Aux agences de tarification et de remboursement nationales

7. Prendre en compte les besoins non rencontrés lors de l'évaluation des demandes de remboursement de traitements et d'autres interventions de santé. Par exemple :
 - Exiger des données relatives aux besoins non rencontrés dans les demandes de remboursement ;
 - Exiger des données concernant l'impact de la nouvelle intervention sur les besoins non rencontrés les plus importants.
8. Prendre en compte les données probantes sur les besoins non rencontrés dans l'évaluation des demandes de remboursement temporaire anticipé (RTA) :
 - Exiger des données relatives aux besoins non rencontrés dans les demandes de RTA ;
 - Exiger des données concernant l'impact attendu de la nouvelle intervention sur les besoins non rencontrés les plus importants.

Aux agences européennes d'évaluation des technologies de la santé (HTA)

9. Utiliser les données probantes sur les besoins non rencontrés des patients et de la société dans le processus d'évaluation des technologies de santé, ainsi que pour la priorisation des technologies de la santé à évaluer.



Aux organismes assureurs, aux représentants des patients et à l'Observatoire belge des Maladies Chroniques

10. Contribuer activement à la recherche sur les besoins non rencontrés, p. ex. en participant aux appels à sujets pour la recherche sur les besoins non rencontrés et en s'impliquant dans la consultation des stakeholders.
11. Sensibiliser les patients à la recherche sur les besoins non rencontrés, y compris lorsqu'ils ne sont pas représentés par des associations de patients.
12. Utiliser les données relatives aux besoins non rencontrés des patients et de la société pour prioriser les activités et les informations destinées à des groupes de patients spécifiques et, éventuellement, à d'autres stakeholders.

Aux chercheurs, aux bailleurs de fonds de la recherche, aux associations de patients ou à l'industrie

13. Aligner la recherche et le développement de nouvelles interventions de santé sur les besoins non rencontrés les plus importants des patients et de la société.
14. Envisager l'utilisation des critères inclus dans le cadre d'évaluation NEED pour l'attribution des moyens financiers destinés à la recherche.
15. Envisager l'application du cadre d'évaluation NEED lors de la réalisation de recherches sur les besoins non rencontrés.
16. Promouvoir la collecte de données sur les besoins non rencontrés dans le domaine des maladies rares, en tenant compte du cadre d'évaluation NEED.
17. Encourager le partage des données sur les patients vivant avec une maladie rare entre pays européens, afin de rendre ces données disponibles pour la recherche sur les besoins non rencontrés.



À tous les acteurs du secteur de la santé, y compris au ministre fédéral belge des Affaires sociales et de la Santé publique, aux ministres belges des entités fédérées compétents en matière de santé et aux administrations en charge de la santé publique et des soins de santé en Belgique

18. Eu égard du manque de cohérence dans la définition des maladies rares utilisée par les différents acteurs de la santé, reconnaître qu'une maladie rare n'est pas automatiquement synonyme d'importants besoins non rencontrés (c'est-à-dire n'est pas équivalent au concept de maladie orpheline ou de médicament orphelin). L'importance de l'utilisation de l'évaluation NEED s'applique donc également aux maladies rares.



■ ANNEXE

Cadre pour l'identification et la mesure des besoins non rencontrés liés à la santé

<i>Dimension</i>	<i>Domaine</i>	<i>Critère</i>	<i>Indicateur</i>
PATIENT	Besoins de santé	Impact sur la qualité de vie générale liée à la santé <i>Impact du problème de santé sur la qualité de vie liée à la santé des patients.</i>	<i>Années de vie vécues avec une incapacité (par cas)</i> <i>Score EQ-5D-5L moyen</i> <i>Comorbidités associées</i>
		Impact sur la santé physique <i>Impact du problème de santé sur la santé physique des patients.</i>	<i>Pénibilité ressentie des symptômes physiques liés au problème de santé</i> <i>Douleur/gêne avant vs. maintenant</i>
		Impact sur la santé psychologique <i>Impact du problème de santé sur la santé psychologique des patients.</i>	<i>Pénibilité ressentie des symptômes psychologiques s liés au problème de santé</i> <i>Anxiété/dépression avant vs. maintenant</i>
		Impact sur l'autonomie <i>Impact du problème de santé sur l'autonomie des patients.</i>	<i>Mobilité avant vs. maintenant</i> <i>Capacité à prendre soin de soi avant vs. maintenant</i> <i>Capacité à effectuer les activités habituelles avant et maintenant</i>
		Impact sur l'espérance de vie <i>Impact du problème de santé sur l'espérance de vie des patients.</i>	<i>Années de vie perdues (par décès)</i>
	Besoins de soins de santé	Efficacité du traitement <i>Degré d'efficacité du traitement actuel dans son ensemble.</i>	<i>Efficacité du traitement actuel dans son ensemble (traitement standard ou norme de soins)</i>
		Fardeau du traitement <i>Pénibilité du traitement actuel dans son ensemble pour les patients.</i>	<i>Pénibilité ressentie du traitement</i>
			<i>Pénibilité ressentie des effets secondaires du traitement</i>
		Qualité des soins <i>Conformité des soins dispensés par rapport aux normes de qualité, y compris en termes d'organisation, d'information, d'implication du</i>	<i>Expérience avec l'organisation des soins</i>
			<i>Quantité d'information reçue</i>
<i>Clarté de l'information reçue</i> <i>Implication dans le choix du traitement</i>			



		<i>patient dans la prise de décision et de processus diagnostiques.</i>	<i>Timing du diagnostic</i>
		Accessibilité <i>Disponibilité du traitement et facilité de l'accès aux soins nécessaires pour les patients.</i>	<i>Disponibilité du traitement^a</i> <i>Renoncement aux soins^b</i>
Besoins sociaux	Impact sur la vie sociale <i>Impact du problème de santé sur la vie sociale du patient, y compris sur ses besoins de soutien social et sa capacité à entretenir des relations significatives avec sa communauté, sa famille et/ou ses amis.</i>		<i>Besoin de soutien social</i>
	Impact sur l'éducation <i>Impact du problème de santé sur le parcours de formation des patients.</i>		<i>Années d'études perdues</i>
	Impact sur l'activité professionnelle <i>Impact du problème de santé sur les conditions de travail des patients, en ce compris la capacité à travailler, les horaires de travail et l'environnement de travail.</i>		<i>Changements dans les conditions de travail</i>
	Conséquences financières <i>Coûts supportés par les patients pour pouvoir accéder à des soins de santé remboursés ou non remboursés.</i>		<i>Moyenne des contributions personnelles pour les soins de santé, par patient</i> <i>Moyenne des frais non liés aux soins de santé, par patient</i>
SOCIÉTÉ	Besoins de santé	Fréquence <i>Fréquence du problème de santé dans la population (à risque) au cours d'une période définie.</i>	<i>Prévalence ou incidence</i>
		Transmissibilité <i>Degré de transmissibilité du problème de santé d'un organisme à un autre.</i>	<i>Contagiosité</i>
		Résistance aux antimicrobiens <i>Degré d'inefficacité des antibiotiques ou autres antimicrobiens utilisés pour traiter ou gérer le problème de santé, ou difficulté/impossibilité de traiter les infections liées au problème de santé en raison des résistances aux antimicrobiens.</i>	<i>Résistance aux antimicrobiens existante pour les traitements utilisés</i> <i>Volume d'antibiotiques délivrés pour traiter la maladie (critère de substitution ou « proxy »)</i>



	Charge pour les aidants informels <i>Impact du rôle d'aidant sur la qualité de vie des aidants informels.</i>	<i>Perte de qualité de vie des aidants informels</i>
Besoins de soins de santé	Rapport coût-bénéfice du traitement standard <i>Bénéfice de santé obtenu grâce aux dépenses associées au traitement standard du problème de santé. Ce critère permet d'identifier des aspects peu efficaces du système de santé.</i>	<i>Coût des soins de santé par unité de gain de santé (présentation désagrégée des dépenses totales de santé et de l'effet global du traitement standard sur la santé)</i>
	Possibilités de prévention <i>Dans quelle mesure le problème de santé peut-il être évité ou mitigé par des stratégies de prévention primaire ?</i>	<i>Mise en œuvre de stratégies de prévention primaire efficaces</i>
Besoins sociaux	Pertes de productivité <i>Coûts liés à l'absentéisme au travail^c, au présentéisme^d et aux sorties précoces du marché du travail, chez les patients atteints du problème de santé et chez leurs aidants informels.</i>	<i>Coûts liés à l'absentéisme, au présentéisme et/ou à la sortie forcée du marché du travail chez les patients</i> <i>Coûts liés à l'absentéisme, au présentéisme et/ou à la sortie forcée du marché du travail chez les aidants informels</i>
	Impact environnemental du traitement standard <i>Impact de la gestion d'un problème de santé sur l'environnement naturel.</i>	<i>Émissions de gaz à effet de serre associées au traitement standard</i> <i>Déchets dangereux générés par le traitement standard</i> <i>Utilisation de ressources naturelles et matières premières associée au traitement standard</i>
FUTUR	Besoins de santé Fardeau de la maladie futur <i>Impact du problème de santé sur la santé des générations futures</i>	<i>Prévalence/incidence future</i> <i>Perte d'années de vie future</i> <i>Années vécues avec une incapacité dans le futur</i>
	Besoins de soins de santé et besoins sociaux Fardeau économique futur <i>Impact du problème de santé sur les dépenses de santé et la productivité futures, en termes monétaires.</i>	<i>Coûts directs dans le futur^e</i> <i>Coûts indirects dans le futur^f</i>

^a Un traitement est considéré comme disponible s'il est largement accessible à la population de patients sur le plan tant logistique que financier. Les problèmes de disponibilité peuvent concerner des traitements-clés qui ne sont pas autorisés en Belgique, autorisés mais non commercialisés, commercialisés mais chers et non remboursés, ou des traitements qui font régulièrement l'objet de pénuries.

^b Le terme de renoncement aux soins désigne la non-utilisation de soins de santé perçus comme nécessaires. Ce phénomène peut être dû à plusieurs raisons, notamment le coût, des listes d'attente ou des difficultés de déplacement.



^c L'absentéisme est le fait, pour un employé, d'être absent de son lieu de travail en raison d'un problème de santé (absence pour maladie).

^d Le terme de présentéisme désigne la perte de productivité qui survient lorsque les employés ne sont pas pleinement opérationnels sur leur lieu de travail en raison d'un problème de santé. Même si la personne est physiquement présente, elle n'est pas en mesure d'accomplir pleinement ses tâches.

^e Les coûts directs recouvrent le coût de la prise en charge proprement dite, comme par exemple le coût du diagnostic, du traitement et de la gestion du problème de santé au niveau du système de soins de santé et les frais encourus par le patient pour se soigner (p. ex. dépenses pour des médicaments en vente libre), ainsi que les coûts non liés aux soins de santé (p. ex. frais de déplacement).

^f Les coûts indirects recouvrent les coûts liés à la perte de productivité des travailleurs résultant du problème de santé et de sa gestion, au niveau des patients et au niveau de leurs aidants informels.



COLOPHON

Titre :	NEED : évaluer les besoins non rencontrés liés à la santé des patients et de la société – Synthèse
Auteurs cadre d'évaluation NEED :	Charline Maertens de Noordhout (KCE), Muriel Levy (KCE), Rani Claerman (Sciensano), Mats De Jaeger (KCE), Robby De Pauw (Sciensano), Laurence Kohn (KCE), Claudia Schönborn (KCE), Irina Cleemput (KCE)
Auteurs application NEED aux maladies rares :	Zilke Claessens (KU Leuven), Alice Vanneste (KUL), Jolien Broekmans (KUL), Charlotte Verbeke (KUL), Io Wens (KUL), Charlotte Van Isterdael (KUL), Rosanne Janssens (KUL), Liese Barbier (KUL), Rani Claerman (Sciensano), Mats de Jaeger (KCE), Robby De Pauw (Sciensano), Laurence Kohn (KCE), Muriel Levy (KCE), Claudia Schönborn (KCE), Irina Cleemput (KCE), Charline Maertens de Noordhout (KCE), Isabelle Huys (KUL)
Spécialiste de l'information :	Nicolas Fairon (KCE)
Facilitateur de projet :	Nathalie Swartenbroekx (KCE)
Relecture :	Marie Dauvrin (KCE), Célia Primus-de Jong (KCE)
Experts externes et stakeholders Cadre d'évaluation NEED :	Francis Arickx (RIZIV – INAMI - Rijksinstituut voor ziekte- en Invaliditeitsverzekering - Institut national d'assurance maladie-invalidité), Sabine Corachan (LUSS - Ligue des Usagers des Services de santé), Charles Denonne (AFMPS – FAGG - Agence Fédérale des médicaments et des Produits de Santé - Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten), Harlinde De Schutter (Stichting Kankerregister – Registre du Cancer), Eva D'Haese (RIZIV – INAMI), Marc Geboers (Onafhankelijke Ziekenfondsen), Pol Gerits (FOD Volksgezondheid – SPF Santé publique), Stefan Gijssels (Patient Expert Center), Agnès Leclercq (Union Nationale des Mutualités Libres), Christian Leonard (Sciensano), Lydie Meheus (Anticancer Fund), Marit Mellaerts (VPP - Vlaams Patiëntenplatform), Valentin Mutemberezi (INAMI – RIZIV), Isabelle Nguyen (KBS - Koning Boudewijnstichting), Wim Penninckx (FAGG – AFMPS), Fabrice Peters (CSS – HGR - Conseil Supérieur de la Santé – Hoge Gezondheidsraad), Annemie Quanten (RIZIV – INAMI), Eva Schoeters (RaDiOrg – Rare Diseases Belgium), Eric Schokkaert (KU Leuven), Anja Sonemann (RIZIV – INAMI), Luc Van Gorp (Christelijke Mutualiteiten), Amélie Van Vyve (Sciensano), Armand Voorschuur (pharma.be), Sofie Waebens (FOD Volksgezondheid – SPF Santé publique), René Westhovens (KU Leuven), Marjan Willaert (pharma.be)
Experts externes et stakeholders Application du cadre d'évaluation NEED aux maladies rares :	An Bollen (UZ Leuven), Antonella Cardone (Cancer Patients Europe), Sabine Corachan (LUSS - Ligue des Usagers des Services de Santé), Fabio Datri (European Commission), Harlinde De Schutter (Stichting Kankerregister), Martine Delchambre (LUSS), Marion Delcroix (UZ Leuven), Bart Demyttenaere (Solidaris), Franck Devaux (Hôpital Universitaire de Bruxelles), Marc Doods (UZ Leuven), Maggie Galbraith (HAS - Haute Autorité de Santé), Sarah Garner (WHO Europe), Stefan Gijssels (Patient Expert Center), Wim Goettsch (Universiteit Utrecht, the Netherlands), Dimitri Hemelsoet (Universitair Ziekenhuis Gent), Francois Houyez (EURORDIS - European Organisation for Rare Diseases), Stefan Joris (Belgische vereniging voor strijd tegen mucoviscidose), Heini Kanervo (UZ Brussel), Kaja Kantorska (European Commission), Anna Kubina (Kabinet minister Frank Vandenbroucke),



Olivia Lacroix (Cliniques universitaires Saint-Luc), Damien Lederer (IPG - Institut de Génétique Humaine), Tim Leest (FAGG – AFMPS – Federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten – Agence fédérale des médicaments et des produits de santé), Joyce Loridan (Solidaris), Kate Morgan (Myeloma Patients Europe), Valentin Mutemberezi (INAMI – RIZIV – Institut national d’assurance maladie-invalidité – Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering), Clara Noirhomme (Mutualité chrétienne), Gauthier Remiche (HUB - Hôpital Universitaire de Bruxelles, Hôpital Erasme, ULB - Université libre de Bruxelles), Marjolijn Renard (Ziekenhuisfunctie Zeldzame Ziekten, Universitair Ziekenhuis Gent), Eva Schoeters (RaDiOrg – Rare Diseases Belgium), Valentina Strammiello (EPF - European Patient's Forum), Tina Taube (EFPIA - European Federation of Pharmaceutical Industries), Sylvie Taziaux (CHU de Liège), Annemie T'Seyen (Koning Boudewijnstichting), Marc Van De Casteele (RIZIV – INAMI - Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering – Institut national d’assurance maladie-invalidité), Chris Van Haecht (Christelijke mutualiteit), Anne Van Meerbeeck (VPP - Vlaams Patiëntenplatform), Armand Voorschuur (Pharma.be), René Westhovens (KU Leuven), Beate Wieseler (IQWiG - Institute for Quality and Efficiency in Health Care)

Validateurs externes

Cadre d’évaluation NEED:

Marjo Cellier (CEPPP – Centre of Excellence on Partnership with Patients and the Public, University of Montreal, Canada), Dimitra Panteli (EOHSP - European Observatory on Health Systems and Policies), Bert Leufkens (Universiteit Utrecht, les Pays-Bas)

Validateurs externes

Application du cadre d’évaluation NEED aux maladies rares :

Olivia Lacroix (Cliniques universitaires St-Luc), Domenica Taruscio (Former director of the National Centre for Rare Diseases, Istituto Superiore di Sanità, Italie), Wendy Van Zelst-Stams (Radboud Universitair Medisch Centrum, les Pays-Bas)

Remerciements

Cadre d’évaluation NEED:

Nous tenons à remercier Roisin Adams (National Centre for Pharmacoeconomics, Irlande), Laetitia Aerts (KBS), Fernando Avelar (INFARMED, Portugal), Rita Baeten (Kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Benedetta Baldini (ESIP - European Social Insurance Platform), Nicolas Bouckaert (KCE), Benoît Collin (INAMI – RIZIV), Ines Costa (INFARMED, Portugal), Peter Decat (Universiteit Gent), Diane Delnoij (IHSI - International Horizon Scanning Initiative), Marie Delnord (Centre du Cancer – Sciensano), Pedro Facon (RIZIV – INAMI), Judith Fernandez (HAS - Haute Autorité de Santé, France), Laure Geslin (European Commission, DG SANTE), Aïko Gryspeirt (Innoviris Brussels), Marcus Guardian (IHSI - International Horizon Scanning Initiative), Andras Hetenyi (National Public Health and Pharmacy Center, Hongrie), Beatrix Horvath (Ministry of Interior Affairs, Hongrie), Oliver Jacobi Lomholt (DKMA - Danish Medicines Agency, Danemark), Kaja Kantorska (European Commission, DG SANTE), Andreas Kouroumalis (EMA - European Medicines Agency), Anna Kubina (Kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Véronique Le Ray (Fondation contre le Cancer), Lilia Luchianov (European Commission, DG SANTE), Karen McNamara (Department of Health, Irlande), Patricia Menten (VLAIO – Vlaams Agentschap Innoveren en Ondernemen), Gergő Merész (National Institute of Pharmacy and Nutrition, Hongrie), Anna Nachtnebel (Austrian Social Insurance, Autriche), Yannis Natsis (ESIP - European Social Insurance Platform), Clara Noirhomme (Mutualité Chrétienne), Dimitra Panteli (European Observatory on Health Systems and Policies), Valérie Paris -(OECD – Organisation for Economic Co-operation and Development), Dirk Ramaekers (FOD Volksgezondheid – SPF Santé publique), Cornelia Rüdiger (IQWiG - Institut für Qualität und



Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Allemagne), Anja Schiel (Norwegian Medicines Agency, Norvège), Julia Schmitz (European Commission, DG SANTE), Dorota Sienkiewicz (EuroHealthNet), Françoise Smets (UCLouvain), Barbara Sodar (National Institute of Pharmacy and Nutrition, Hongrie), Anca Toma (EPF - European Patients' Forum), Evert Jan van Asselt (Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport, Pays-Bas), Marc Van De Casteele (RIZIV – INAMI), Carine Van de Voorde (KCE), Tina Van Havere (Kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Frank Vandenbroucke (Minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Sabine Vögler (GÖG - Gesundheit Österreich, Autriche), Piia Vuorela (FIMEA - Finnish Medicines Agency, Finlande), Annouk Waeytens (Kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid), Beate Wieseler (IQWiG - Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen, Allemagne), Claudia Wild (AIHTA - Austrian Institute for HTA, Autriche) pour leur contribution à cette étude.

Remerciements

Application du cadre d'évaluation
NEED aux maladies rares :

Les auteurs souhaitent remercier Thomas Vandendriessche, Norin Hamouda, Krizia Tuand et Chayenne Van Meel, les bibliothécaires biomédicaux de référence des bibliothèques de la KU Leuven – 2Bergen – Learning Centre Désiré Collen (Leuven), pour leur aide dans la conduite de la recherche systématique de littérature. Nous voudrions aussi remercier Elise Schoefs (Clinical pharmacology & pharmacotherapy, KU Leuven) pour son soutien logistique, Marc Doooms (UZ Leuven), Alessandra Blonda (Clinical Pharmacology & Pharmacotherapy, KU Leuven) et René Westhovens, (Department of Development and Regeneration, Skeletal Biology and Engineering Research Center, KU Leuven) pour la revue de la liste des invités pour la consultation des parties prenantes. Nous aimerions remercier le Comité d'Éthique de UZ Leuven pour l'évaluation et l'approbation en temps opportun du protocole de recherche.

Intérêts déclarés KCE :

Le KCE est une institution fédérale financée par l'INAMI, par le Service public fédéral Santé, Sécurité de la chaîne alimentaire et Environnement, et par le Service public fédéral Sécurité sociale. La mission du KCE est de conseiller les décideurs politiques sur les décisions relatives aux soins de santé et à l'assurance maladie sur la base de recherches scientifiques et objectives. Il doit identifier et mettre en lumière les meilleures solutions possibles, dans le cadre d'un système de soins de santé accessible et de qualité, en tenant compte de la demande croissante et des contraintes budgétaires.

Le KCE n'a aucun intérêt dans les entreprises (commerciales ou non commerciales, c'est-à-dire les hôpitaux et les universités), les associations (par exemple les associations professionnelles, les syndicats), les individus ou les organisations (par exemple les groupes de pression) qui pourraient être affectés positivement ou négativement (financièrement ou de toute autre manière) par la mise en œuvre des recommandations. Tous les experts ayant participé à la rédaction du rapport ou au processus d'examen par les pairs ont rempli un formulaire de déclaration d'intérêts. Les informations relatives aux conflits d'intérêts potentiels sont publiées dans le colophon du présent rapport. Tous les membres de l'équipe d'experts du KCE remplissent des déclarations d'intérêts annuelles et de plus amples détails à ce sujet sont disponibles sur demande.



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

RadiOrg ne soutient pas l'application du cadre d'évaluation NEED aux maladies rares

Layout : Ine Verhulst (KCE)

Supporté financièrement par Belspo

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.**
- **Enfin, ce rapport a été approuvé à la majorité 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 : 28 mars 2024

Domaine : Health Services Research (HSR)

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

Classification NLM : W84.3

Langue : Français

Format : Adobe® PDF™ (A4)

Dépot légal : D/2024/10.273/02

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>.



Ce document est disponible en téléchargement sur le site Web du Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé.
<https://doi.org/10.57598/R377BS>