

Vers une recherche clinique pédiatrique adaptée aux jeunes patients et à leurs familles

Le projet Kids France

FIMATHO/MaRDi

Journées annuelles - Lille, 11 juin 2024



Segolene Gaillard, Project manager, Kids France coordination
Patient and public involvement (PPI) leader, PedStart
CIC Lyon, INSERM 1407 - Université Lyon I, LBBE-CNRS-UMR 5558
PEMR AuRA, Plateforme d'Expertise Maladies Rares AuRA
segolene.gaillard@chu-lyon.fr

Que veut dire « impliquer » les patients/public en recherche ?

- “Recherches conduites **‘AVEC’** ou **‘PAR’** les patients ou le public plutôt que **‘POUR’** ou **‘A PROPOS’** d’eux” (≠ participant à un essai clinique)
 - Conseillers/co-chercheurs
 - Partenariat actif

=> Pour planifier, gérer, construire et mener la recherche
- **Implication de patients, aidants, public...**
 - Ayant une expérience personnelle
 - Ou ayant un intérêt pour une maladie donnée,
 - Ou ayant un intérêt pour la recherche ou des activités liées à la recherche

=> Intégrer leurs perspectives, leurs expériences ou vécus personnels

Pourquoi « impliquer » les patients/public en recherche ?

- **Qu'est-ce qui est important pour les patients?**

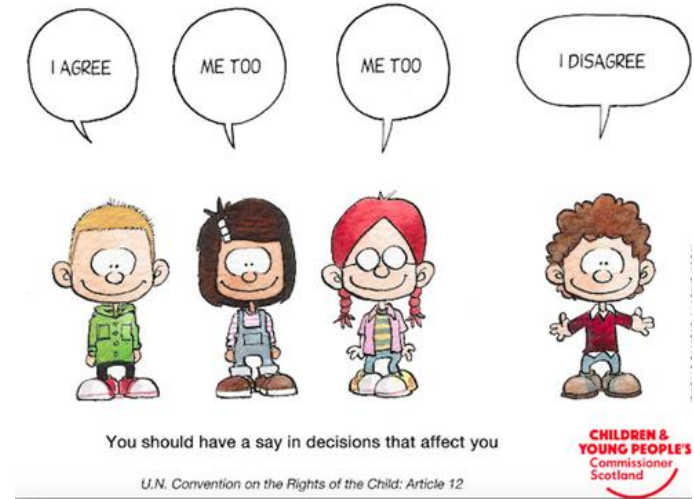
- Un nouveau traitement innovant ?
- Traiter la maladie ?
- Modifier sa progression ?
- Cibler certains symptômes ?
- Améliorer leur qualité de vie ?
- ...etc...

=> Peut dépendre de l'âge, de la maladie, de sa sévérité, de l'environnement, ...etc...

Pourquoi « impliquer » les JEUNES patients/public ?

- Droit des enfants à être impliqués dans les décisions les concernant.

DÉMOCRATIE SANITAIRE



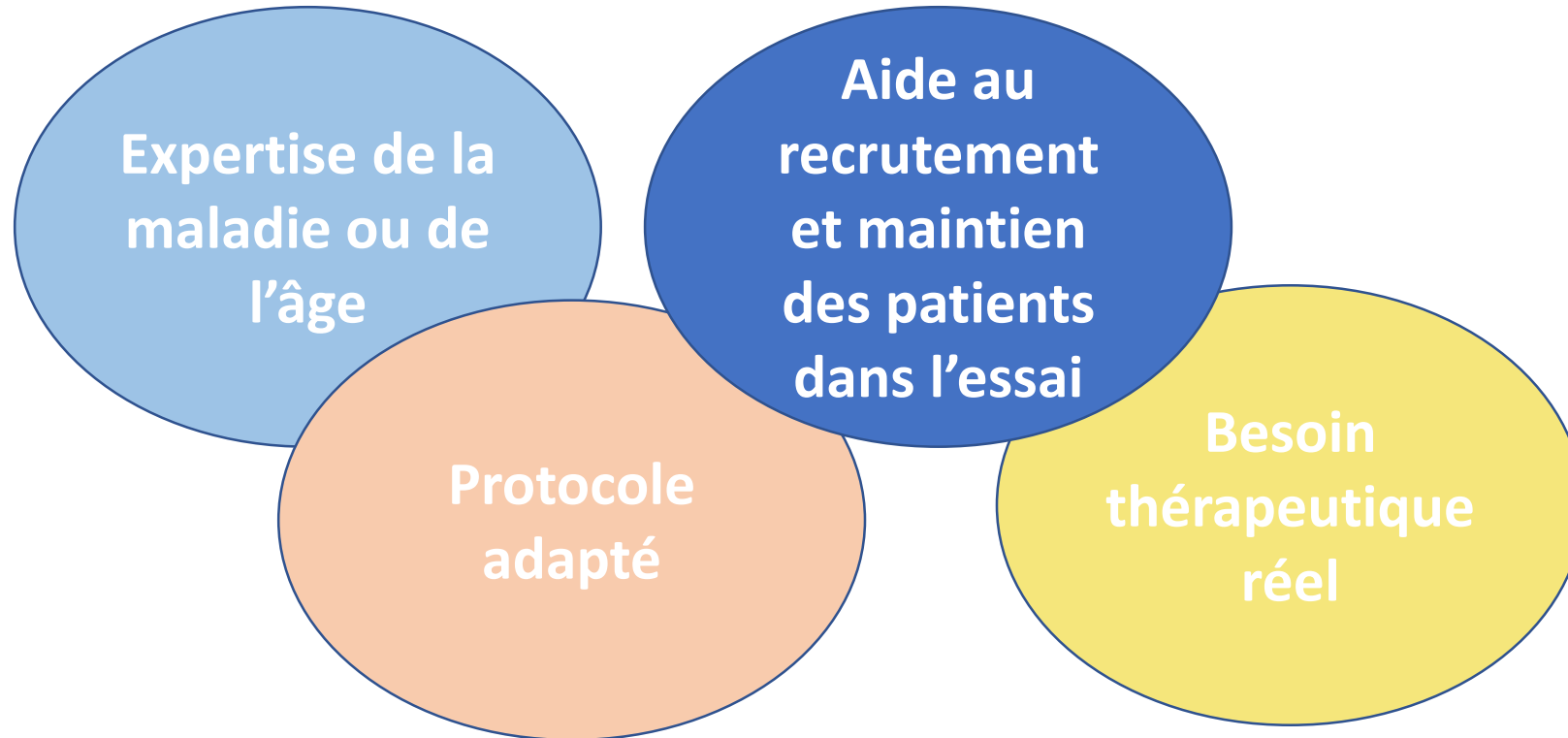
- Difficultés de faisabilité des projets de recherche clinique pédiatrique

=> **Mieux informer les patients et leurs parents**

=> **Impliquer les jeunes, patients ou non**

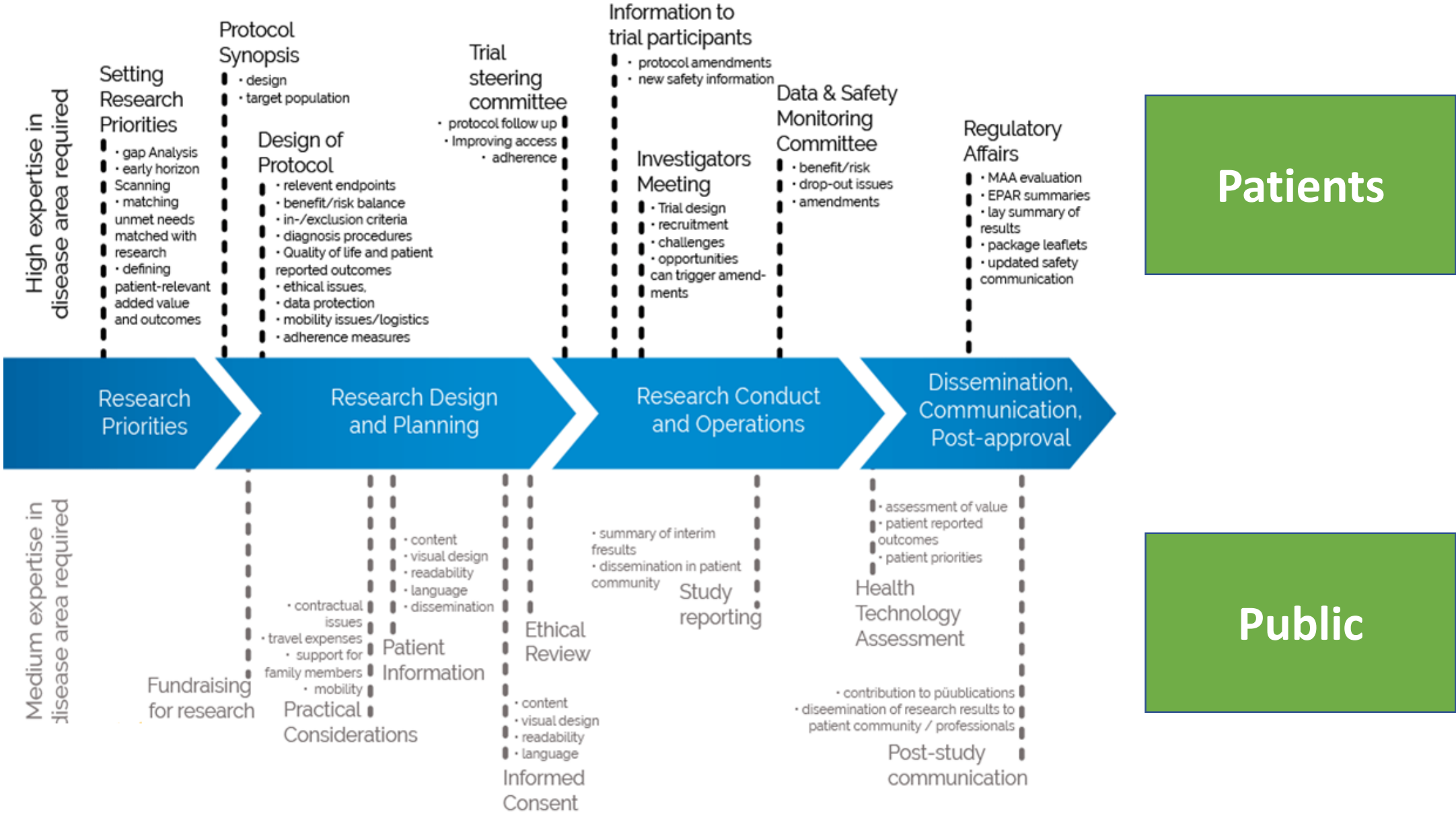


Valeur ajoutée des patients/public pour la recherche



=> Amélioration de la faisabilité, pertinence et qualité des essais cliniques

Une implication possible à toutes les étapes



L'histoire de Kids France

- Participation d'un jeune Français à un **congrès international de jeunes** en 2015
« Voix des jeunes » - « Young patients advocates »
- Collaboration Université de Sydney
Research priority setting in childhood chronic disease: a systematic review
Arch Disease in Child 2018
- Développement autour de la **recherche clinique**, des **sciences ouvertes** au sein du CIC



Un modèle d'implication initial

Les groupes consultatifs de jeunes Young Persons Advisory Groups (YPAGs, UK)

- **Objectif:** Améliorer l'innovation thérapeutique et la recherche clinique chez l'enfant par **l'implication des jeunes** (patients ou non)

*« De la conception des projets...
...jusqu'à la dissémination de leurs résultats »*

- **Réunions régulières** (1 fois par mois)
 - Activité en recherche (design, recrutement, docs patients...)
 - Contributions et avis des jeunes
 - Formation : maladies, méthodologie, éthique...

« Apprendre en créant... »

KiDSFrance



**Jeunes de 12 - 18 ans avec
différentes expériences du
système de santé**



YPAG – Quelques exemples d'activité



Projet MFM Play :
revue du design et
script de l'app

quae ab illo inventore veritatis et quasi architecto beatae vitae dicta sunt explicabo. Nemo enim ipsam voluptatem quia voluptas sit aspernatur aut odit aut fugit, sed quia consequuntur magni dolores eos qui ratione voluptatem sequi nesciunt. Neque porro quisquam est, qui dolorem ipsum quia dolor sit amet, consectetur, adipisci velit, sed quia non numquam eius modi tempora incidunt ut labore et dolore magnam aliquam quaerat voluptatem. Ut enim ad minima veniam, quis nostrum exercitationem ullam corporis suscipit laboriosam, nisi ut aliquid ex ea commodi consequatur? Quis autem vel eum iure reprehenderit qui in ea voluptate velit esse quam nihil molestiae consequatur, vel illum qui dolorem eum fugiat quo voluptas nulla pariatur?



**PENCIL : Essai clinique en
rhumatopédiatrie**
Revue Notices d'information
à destination des adolescents

« Colour of the Pill »
Revue questionnaire à
destination des jeunes



**Dissémination
Résultats**

**Construction d'un modèle EU
de résumé grand public**



**Draw my life sur l'observance dans
la cystinose - Journée Cystinose
Déc. 2016, Lyon**



**Communication,
Articles scientifiques
Sensibilisation**



**Participation aux groupes de travail
éthique, faisabilité avec l'EMA**



Kids France, au-delà du YPAG

Autres activités, adaptation aux projets de recherche

10

Plan d'implication des patients et
du public/projet
(montage du projet)

Quelle méthode ?
Quels participants?
(groupes spécifiques +/- YPAG)
Adaptation aux projets

Groupe Kids France Lyon,
Necker, Lille
(patients et public)
6 jeunes actuellement à Lyon

Nouveaux groupes et
activité de réseau France
Réunions régulières

Kids France, d'autres modèles

Groupes consultatifs spécifiques d'une maladie

11

- Groupes de **patients** (pédiatrie ou adulte) ou **parents**
- Focus sur une maladie ou condition particulière
- Constitués pour un projet de recherche spécifique
- Expérience du **vécu de la maladie** (physique et émotionnel), symptômes et impact familial, préférences patients...
- Formés également à la recherche, méthodologie, éthique...
- Partenariat +++

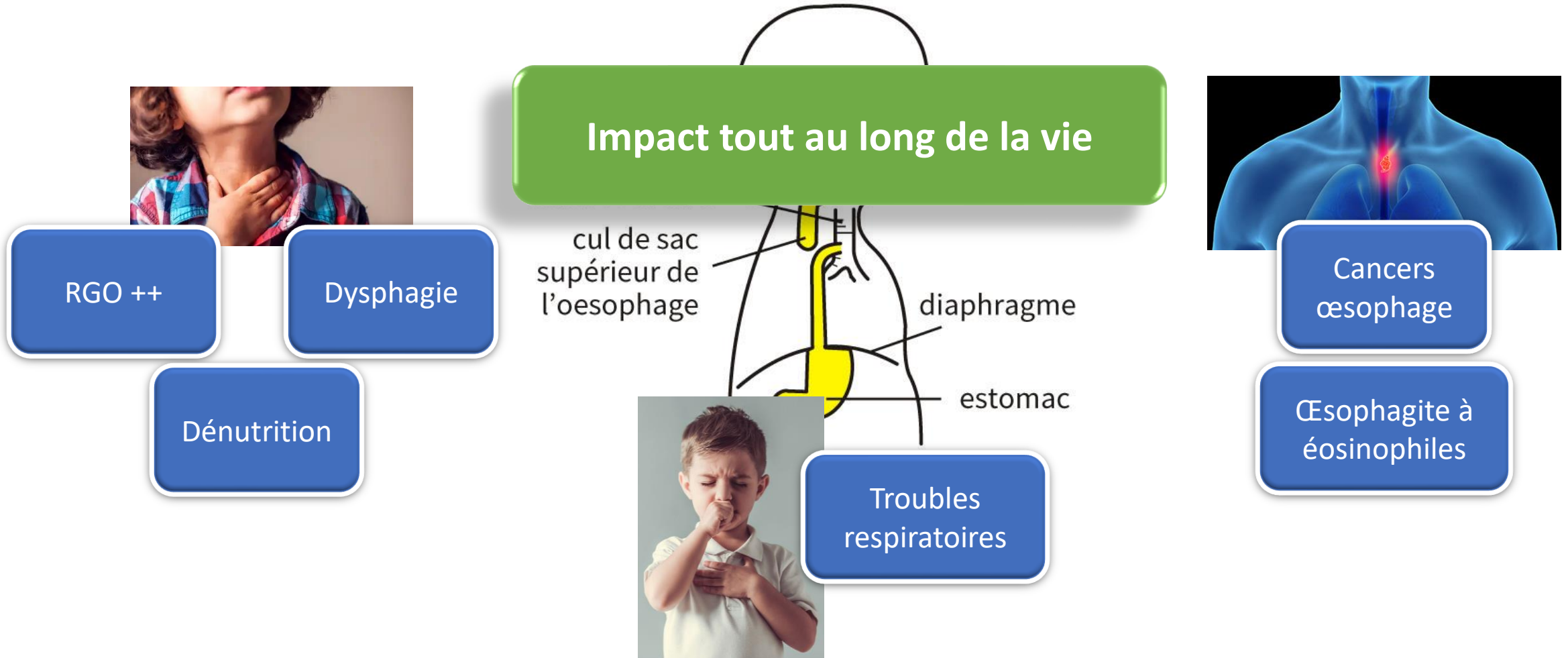
Exemple du projet TransEAsome

- Mise en place d'une cohorte de patients avec atrésie de l'oesophage
 - 5 ans d'étude
- Définition avec les patients/parents du plan d'implication pendant tout le projet
 - Adaptation aux besoins des projets
 - Prise en compte des avis patients/parents
- Mise en œuvre de l'implication
 - Réunions régulières
 - Adaptation aux patients et familles



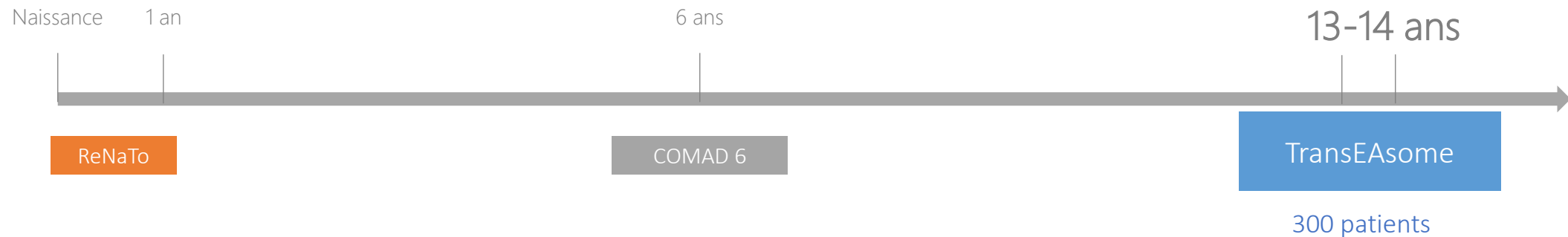
Atrésie de l'œsophage (env. 170 naiss./an)

Mortalité à la naissance faible (<7%) mais **morbidité non négligeable**



Le projet TransEAsome

- Depuis **2008** : Inclusion de tous patients nés avec une atrésie de l'œsophage (AO) en France → ReNaTo



- Patients nés avec une atrésie de l'œsophage
- Inclus dans COMAD6 (suivi à l'âge de 6 ans)
- 13-14 ans lors de la période de recrutement

TransEAsome - Contexte

- Peu/pas de données sur l'épigénétique, la génomique ni la transcriptomique dans l'AO
- Œsophage de Barrett : enfants = 50% de marqueurs génétiques communs avec adultes
 - => **Changements génétiques dès le plus jeune âge**
- Œsophagite à éosinophiles (EoE) : expression génétique différente entre AO+ et AO-
 - => **Contribution génétique**

TransEAsome - Objectifs

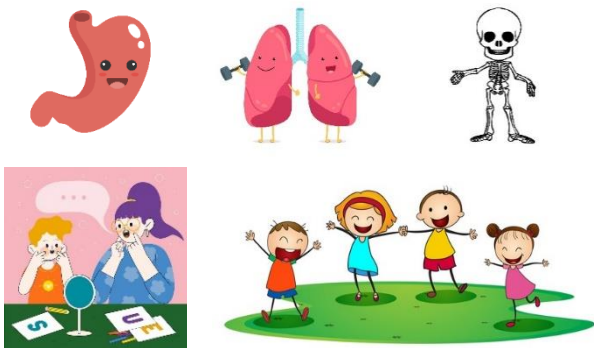
Base de données (cliniques et omiques) unique et partageable (France Cohortes)

- Evaluer l'état de santé et la qualité de vie des adolescents de 13-14 ans nés avec une AO
- Facteurs associés à la survenue de complications digestive et respiratoire
- Comparer les profils multi-omiques à l'adolescence AO+ vs AO- : marqueurs/facteurs de risque de maladies non transmissibles à l'âge adulte?
- Evolution des marqueurs multi-omiques (6 ans et 13-14 ans) afin d'étudier leur pouvoir de prédiction

TransEAsome - Analyses

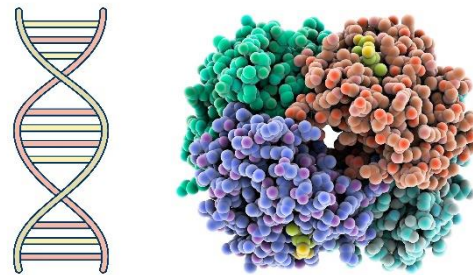
Phénotypique

- Santé
- Qualité de vie



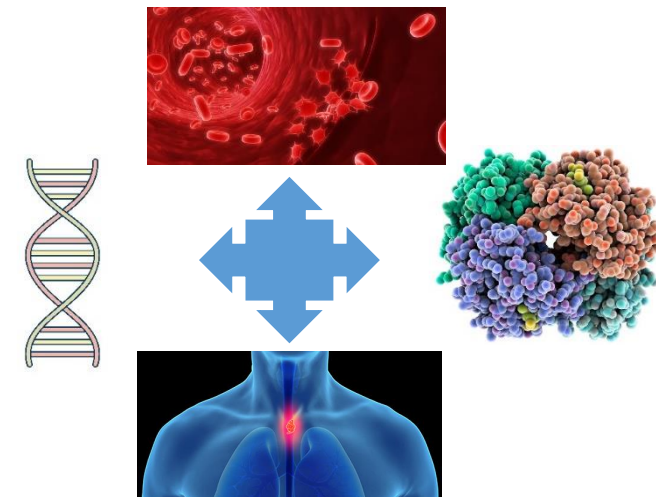
Omique

- ADN, ARN, protéines et métabolites
- Voies biologiques



Multi-omique

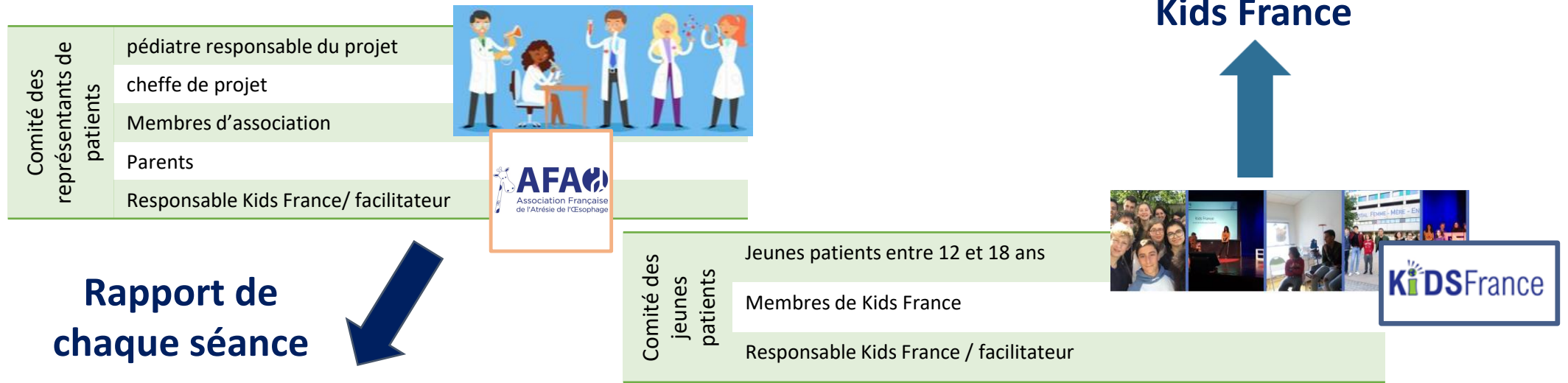
- Interactions entre ADN, ARN, protéines et métabolites



TransEAsome – Implication des jeunes patients et des parents⁸

Plan d'implication patients

Mise en place de 2 comités



Evaluation de l'impact par Kids France

Rapport de chaque séance

Décisions du Steering committee du projet

Retour sur implication : impact des avis rendus sur le projet

TransEAsome – Implication des jeunes patients et des parents⁹

Plan d'implication patients

Comité des représentants de patients/usagers

Comité des jeunes patients



- Conception - Implication avant soumissions réglementaires
 - Revue du **design du projet** : objectifs, critères de jugement (dont ceux propres aux patients), déroulement de l'étude et examens réalisés
 - Revue des données à recueillir
 - Revue des documents d'information et consentement

TransEAsome – Implication des jeunes patients et des parents

Plan d'implication patients

Comité des représentants de patients/usagers

Comité des jeunes patients



- Conduite – Réunions régulières tous les 3 à 6 mois jusqu'en 2028
 - Participation des jeunes patients aux décisions concernant le projet
 - Suivi des changements au protocole pouvant impacter les patients
 - Suivi du déroulement du projet en adéquation avec les besoins des participants
- Fin d'étude - Revue des données et de l'analyse, interprétation des résultats avec l'équipe projet

TransEAsome – Implication des jeunes patients et des parents¹

Plan d'implication patients

Comité des représentants de patients/usagers

Comité des jeunes patients



- Communication pendant toute l'étude
 - Diffusion grand public du projet au début du recrutement
 - Diffusion régulière de l'avancement du projet (format à définir avec les jeunes et Kids France)
 - Résultats de l'étude : communication grand public du résumé du rapport final
 - Communication scientifiques « vulgarisées » grand public

+ Autres implications si les participants le décident...

Pourquoi les jeunes patients s'impliquent-ils ?

Les jeunes du groupe Kids France interviewent les jeunes du comité TransEAsome



Merci à Capucine, Chloé, Léanne, Louise et Ruben



Kids France – Nos principes et nos valeurs

- Une implication **ayant un sens** et « **impactante** »
 - Pour la recherche, les projets
 - Pour les patients/public/parents
- **Bonnes pratiques d'implication** partagées avec les patients/public/parents
- Développement des **plans d'implication** avec les patients/public/parents
 - Optimisation de l'implication grâce à l'expertise
 - Information éclairée de participation et accord
 - Evaluation de l'activité et de l'impact systématique
- Flexibilité de participation
- Adaptation des méthodes à l'âge, aux participants...
- **Diversité/Inclusivité**: culturelle, géographique, sociale, littéracie en santé, intellectuelle (DI, populations particulières...)
- Une implication et un **engagement éthique, centrés sur les patients.**

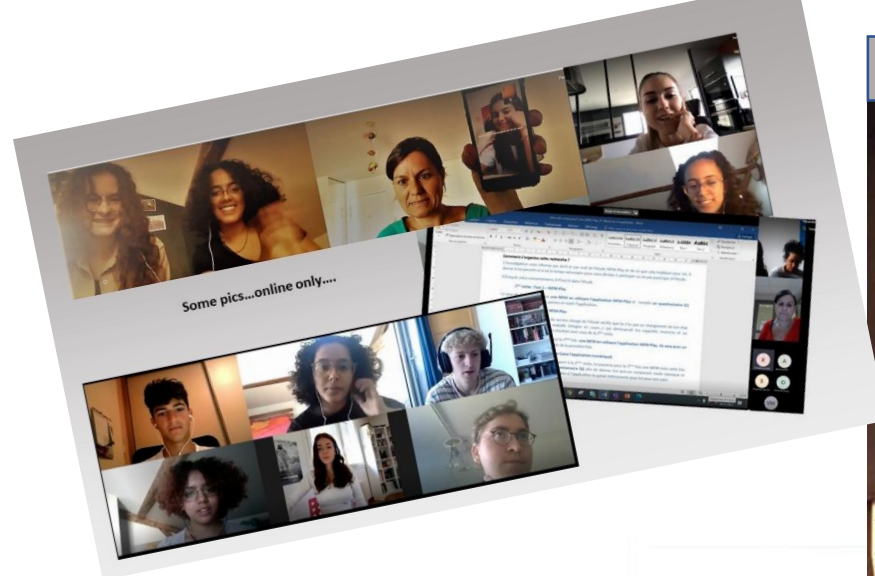
Kids France – Nos principes et nos valeurs

- Un **retour systématique sur l'implication**:
 - Feedback aux patients/public/parents
 - Rapport d'activités
- Formation /autonomisation
 - Plan de formation
 - Kit de formation

“ Respecter les besoins et les droits des jeunes patients/adolescents et de leurs familles”

”Prendre en compte leurs avis et leurs vécus pour une recherche clinique pédiatrique de qualité, adaptée aux jeunes patients et à leurs familles ”

MERCI



Alicia, Anna, Anna-Pierre, Basile, Benjamin, Capucine, Charly, Chloé, Clélia, Eli, Eloïse, Emma, Gaspard, Jade, Juliette, Léanne, Lorraine, Louise, Lucile, Marianne, Marcel, Mathieu, Mathilde, Nicolas, Olivier, Pénélope, Rémy, Rime, Romane, Ruben, Ryan, Sarah, Thomas, Valentine, Violette

www.chu-lyon.fr



segolene.gaillard@chu-lyon.fr

<http://ripps-pediatrics.org/kids-france/>

« Une expérience inédite et fabuleuse »

La voix des jeunes en recherche – Kids France

<https://www.youtube.com/watch?v=1168Sq8MCgc>



HCL

**HOSPICES CIVILS
DE LYON**

S'impliquer, quelles attentes des jeunes patients et parents ?

« des échanges pluridisciplinaires et pluripartenariaux, des connaissances et des liens »

« une simple observation et découverte du milieu de la recherche »

« pouvoir donner mon avis sur les fins recherchées »

« approfondir les recherches sur l'atrésie de l'œsophage »

S'impliquer, ce qu'en pensent les jeunes patients et parents ?

« Je suis complètement novice dans la recherche et ne m'attendais pas à autant de technicité et de vocabulaire/lexique complexe. Je ne me sens pas légitime pour intervenir lors des réunions même si j'apprécie de les écouter et d'apprendre »

« Grâce aux réunions, j'ai appris plusieurs choses à propos de la recherche clinique. »

« Au début, je me demandais comment je pouvais aider à la réalisation d'une recherche clinique. Personnellement, je trouve que le comité peut réellement aider à prendre en compte les besoins des patients, des adolescents. »

« je pense que c'est vraiment utile malgré la difficulté à trouver un créneau horaire libre dans notre vie de famille »