

CONGRÈS FRANÇAIS d'HÉMOSTASE



10-12
MAI
2023

Palais des Congrès Le Grand Large

SAINT-MALO

Le choix de la thérapie génique : comment accompagner le processus décisionnel

Echanges entre le clinicien et le patient autour de la thérapie génique

Benoît GUILLET, Rennes

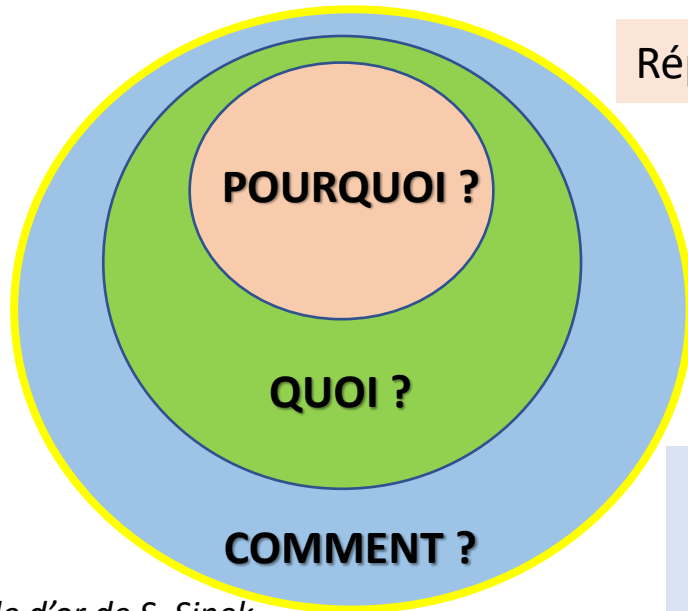
Déclaration de liens d'intérêts

Shareholder	No
Grant / Research Support	CSL Behring, Octapharma
Consultant	No
Employee	No
Paid Instructor	No
Speaker bureau	No
Advisory board or invited speaker at symposia	Biomarin, CSL Behring, LFB, NovoNordisk, Octapharma, Roche/Chugai and Sobi

Introduction

Echanges clinicien-patient autour de la TG ?

Répondre à l'objectif : **prendre une décision** = TG or not TG pour ce patient ?



Cercle d'or de S. Sinék

Comprendre ce qu'est la TG dans l'hémophilie et ce que cela implique
Confronter le point de vue du Patient et du Médecin
Décider ensemble

Nécessité de définir pour ces échanges :
Le cadre **Les acteurs**
Les outils **Le(s) moment(s)**

QUAND ?

Echanges informels

Avant
Echanges formels - PDP

Pendant

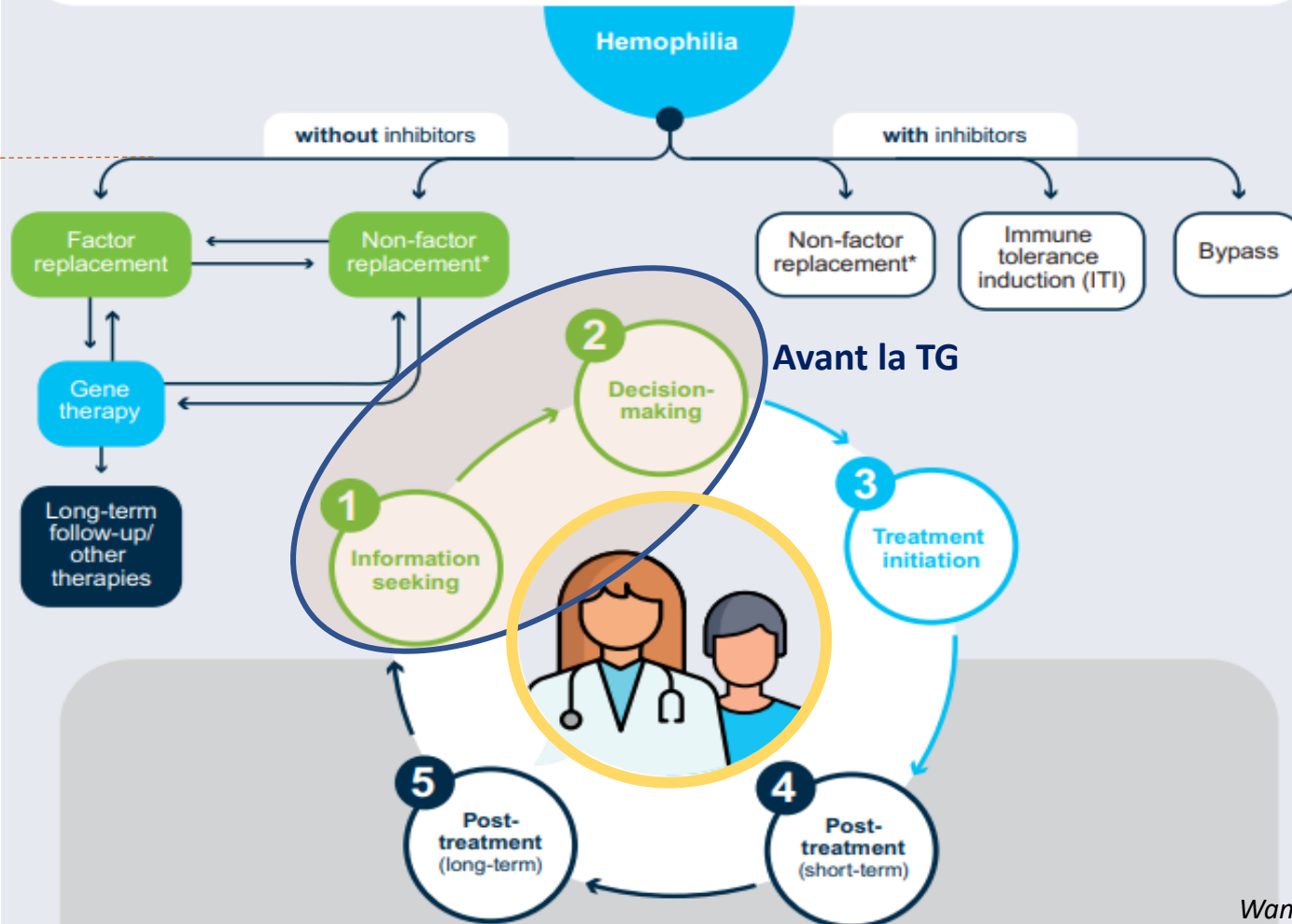
Après à
Court/moyen terme

Après à long terme

La prise de décision pour la TG

Personnaliser la décision

The patient decision-making journey in the current treatment landscape



Les traitements en cours de développement

Feuille de route : personnalisation

Est-ce que ce traitement peut être indiqué chez vous ?

Est-ce que ce traitement peut vous convenir ?

- Raisons médicales (efficacité et sécurité)
- Raisons expérientielles et affectives (préférences du patient)

Ces questions doivent être présentées au patient de manière claire et transparente

La prise de décision pour la TG

Personnalisation « médicale et paramédicale » de la décision






Aspects globaux en lien avec l'hémophilie

Key patient variables influencing treatment choice in hemophilia patients.

Variables

- Bleeding phenotype
- Joint status
- Current treatment
- Individual pharmacokinetics
- Venous access
- Perception of new treatments
- Lifestyle
- Adherence
- Psychological ecosystem
- Appropriate environment for switching
- (history of) inhibitor development
- Comorbidities
- Age
- Presence of neutralizing antibodies
- Morphometrical characteristics
- Concomitant treatments
- Acceptability of subcutaneous injections
- Treatment history (including product type and exposure days)
- Local environment
- Other hemophilia-related variables

Evaluating objective variables

	Bleeding phenotype	<i>Evaluated by log-book/records</i>
	Joint status	<i>Evaluated by musculoskeletal specialist</i>
	Treatment adherence	<i>Evaluated by nurse or hematologist</i>
	Venous access	<i>Evaluated by nurse or hematologist</i>
	Lifestyle	<i>Evaluated by nurse, physiotherapist, or hematologist</i>

La prise de décision pour la TG

Personnalisation « médicale et paramédicale » de la décision

Aspects plus spécifiques à la TG (critères d'éligibilité et contre-indications)

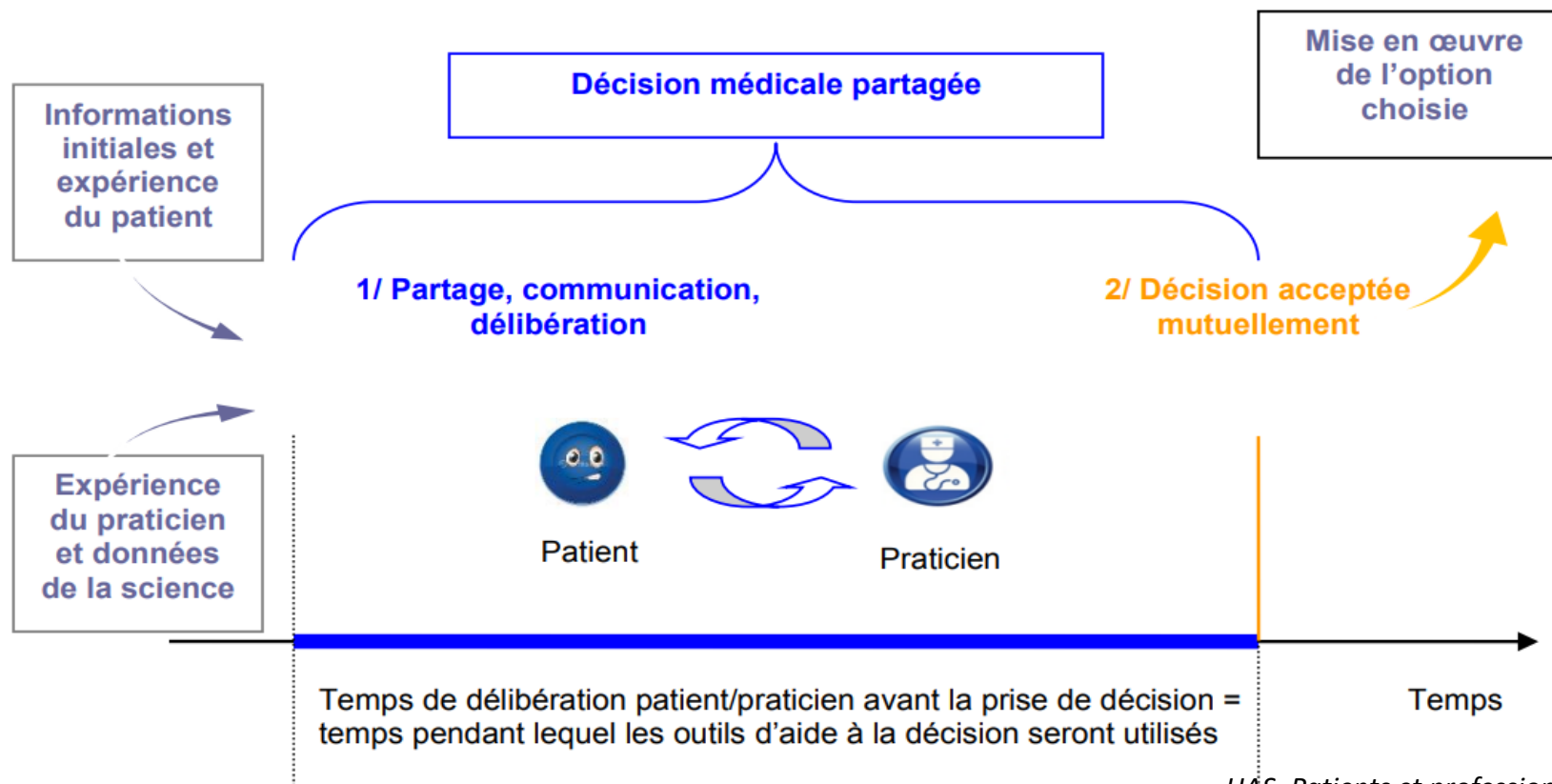
- Foie
- Sérologie AAV
- Inhibiteur
- Habitus (alcool)
- *Capacité à suivre les consignes (y compris dans le temps) – Adhérence historique*

La prise de décision pour la TG

Personnalisation de la décision « avec le patient »

Comment impliquer le patient pour la décision à faire ou non la TG ?

La prise de décision partagée (« shared-decision making »)



Philippe Geluck – Le Chat

La prise de décision pour la TG

Personnalisation de la décision « avec le patient »

LA PRISE DE DECISION PARTAGEE

L'exemple du modèle « SHARE approach »

5 étapes

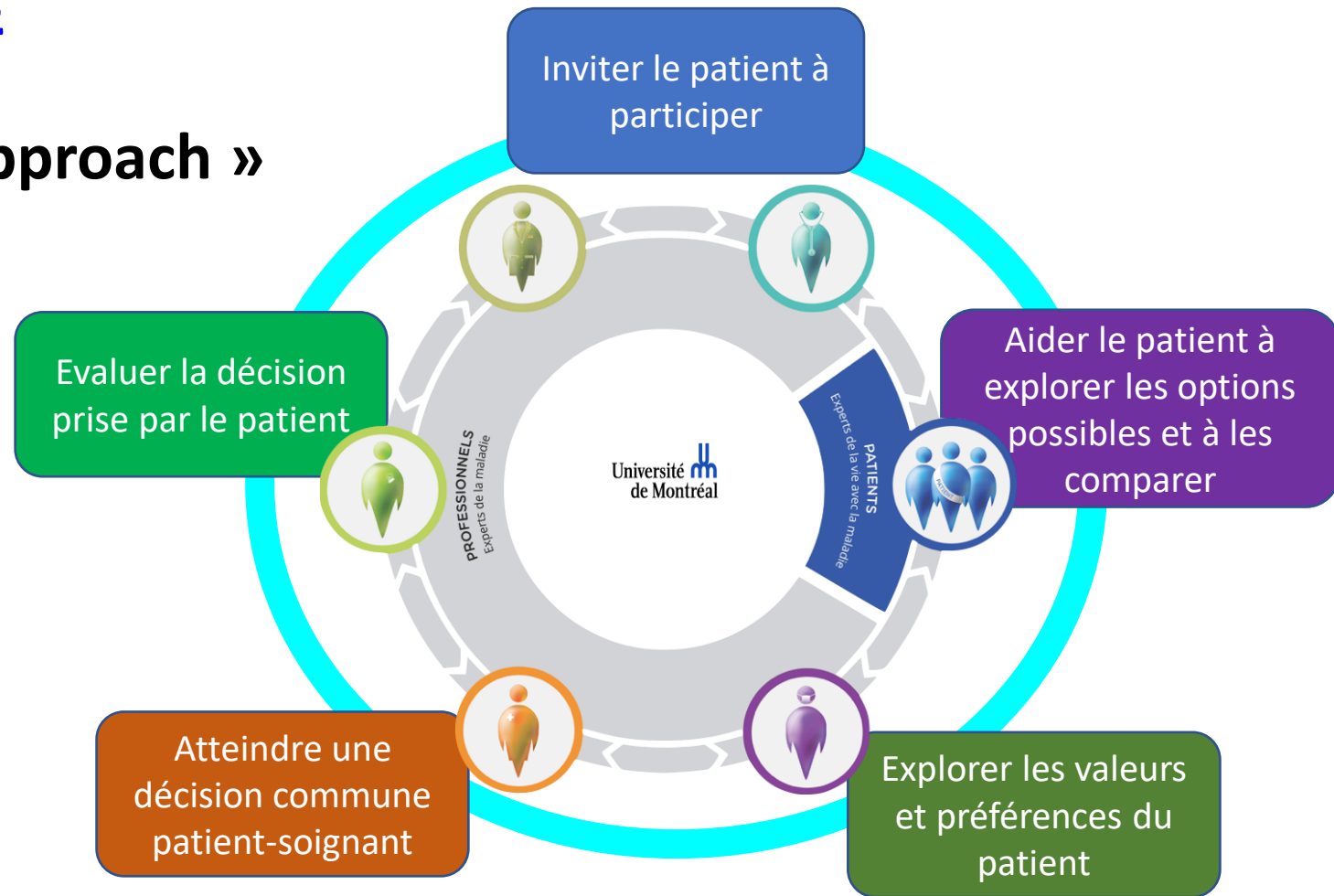
Seek -> Help -> Assess -> Reach -> Evaluate

Mode d'entrée :

Inviter le patient à participer à la décision quel qu'en soit le motif présenté par le patient/soignant



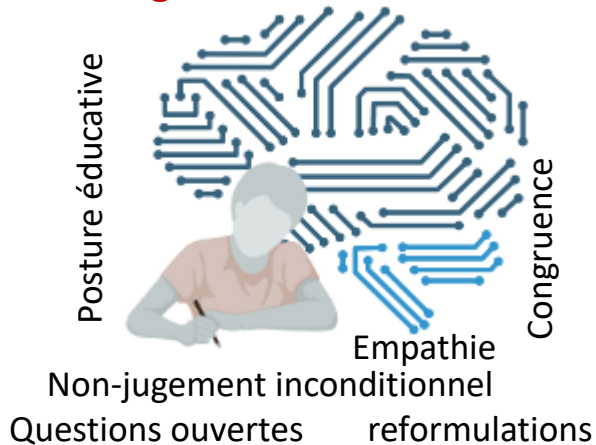
Philippe Geluck – Le Chat



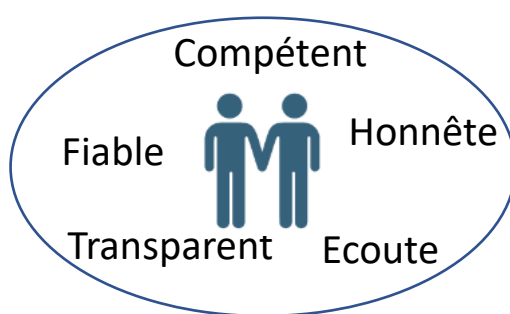
La prise de décision pour la TG

Personnalisation de la décision « avec le patient »

Formation préalable des soignants à la communication

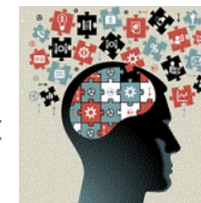


Confiance



Cartographie des dimensions psycho-affectives

- Représentations Croyances
- Auto-efficacité perçue Empowerment
- Coping Résilience Ambivalences
- Locus de contrôle de la santé



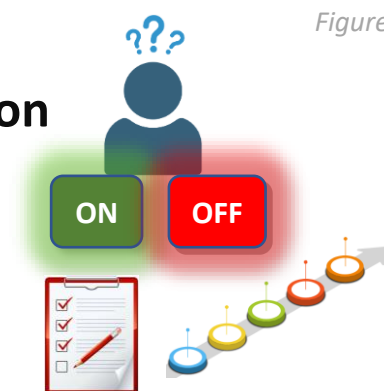
Parcours de vie et de soins



Utilisation des ressources disponibles



Conclusion







- Résumé
- Formulation claire de la décision prise
- Description des étapes à venir

Figures partially created in BioRender

Echanges autour de la TG pour décider

3 éléments importants pourtant peu précisés dans les modèles de PDP

- La notion d'étonnement qui doit précéder tout questionnement efficace pour décider   
- Les émotions  

- La gestion de l'incertitude

Krain et al. Neuroimage 2006;32:477-84.

Bechara et al. Brain 2000;123:2189-202

Kahneman et Tversky. Econometrica 1979;47:263-91

Spinoza, L'Ethique, 1677

Ricoeur, L'identité narrative, 1988

Echanges autour de la TG pour décider

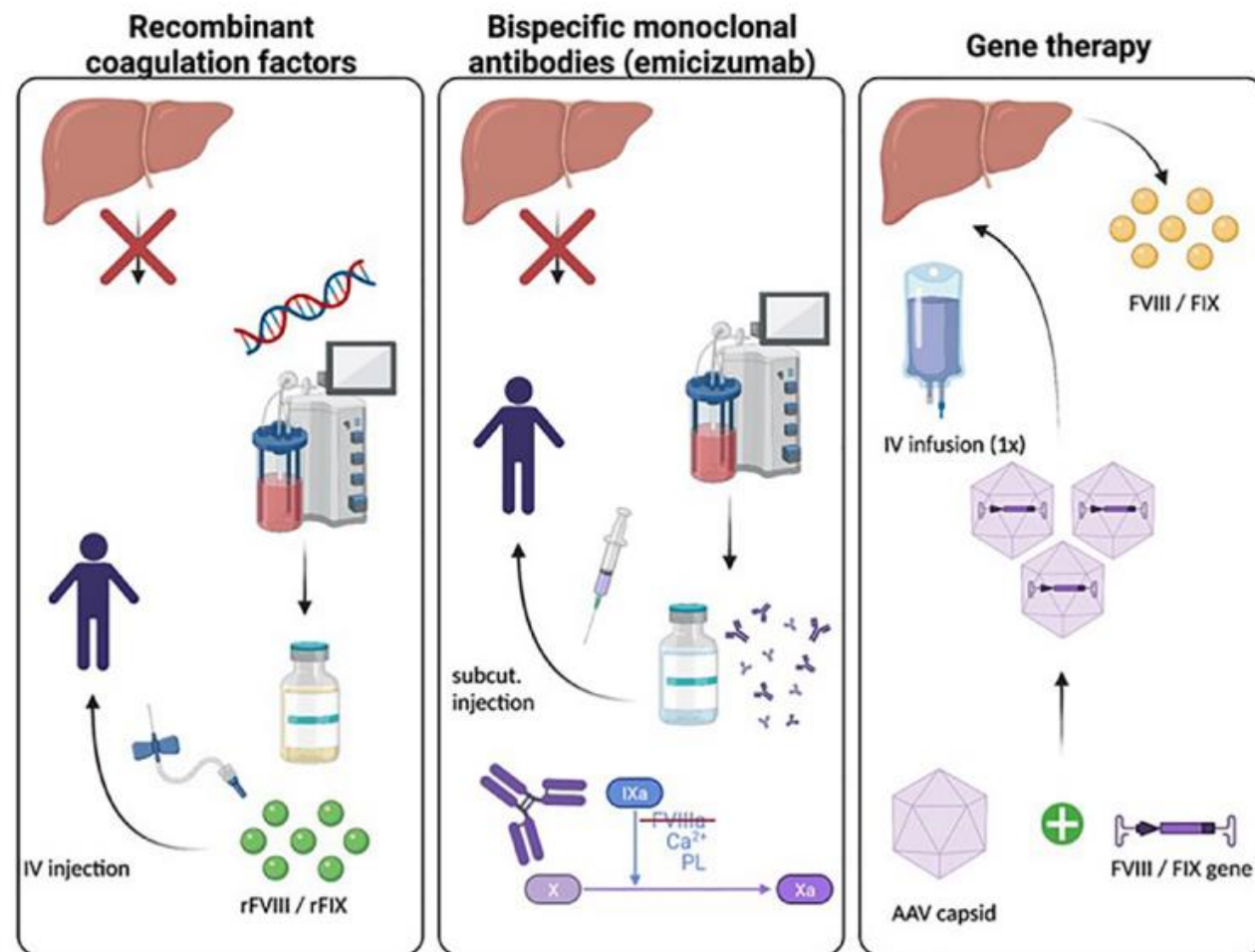


Construction d'outils pour comparer les options

Des outils clairs, simples mais sans « à peu-près » et suffisamment détaillés.

Présentation des traitements :

- Le traitement du patient au moment de la PDP
- Les autres traitements disponibles
- Les traitements possiblement à venir

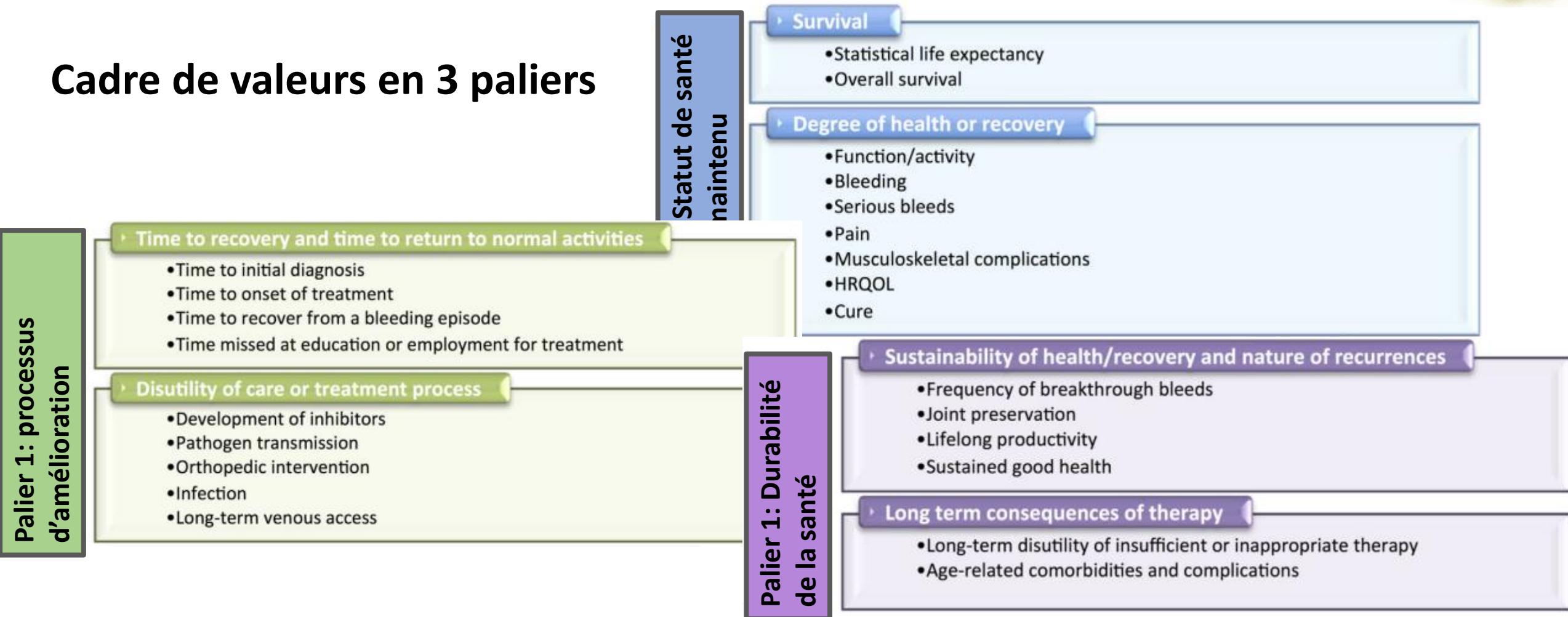


Echanges autour de la TG pour décider



Construction d'outils pour comparer les options et choisir les préférences

Cadre de valeurs en 3 paliers



Echanges autour de la TG pour décider



Cadre de valeurs basées sur la comparaison des résultats des études thérapeutiques dans l'hémophilie

 Supported by primary research
 Differentiating measure
 Non-differentiating measure
 Data unavailable

		EHL vs SHL Haem A	EHL vs SHL Haem B	NRT vs RFT Haem A	NRT vs RFT Haem B	GT vs RFT Haem A	GT vs RFT Haem B	
Palier 1: Statut de santé atteint/maintenu	Survival	Statistical life expectancy						
		Overall survival						
	Degree of health or recovery	Function/activity	8 D; 3 ND	6 D; 1 ND	4 D ^b ; 0 ND			5 D ^a ; 0 ND
		Bleeding*	23 D ^{a††} ; 2 ND	16 D ^a ; 1 ND	15 D ^{a†} ; 0 ND	1 D; 0 ND	13 D ^a ; 0 ND	21 D ^a ; 0 ND
		Serious bleeds	1 D; 1 ND		2 D; 0 ND			0 D; 1 ND ^b
		Pain	2 D; 1 ND	2 D; 1 ND	3 D ^b ; 1 ND			
		Musculoskeletal complications	8 D; 2 ND	6 D; 0 ND	8 D [†] ; 0 ND		2 D ^b ; 0 ND	
		HRQOL	16 D ^{a†} ; 0 ND	7 D ^a ; 1 ND	3 D ^a ; 0 ND			3 D; 0 ND
Cure					1 D; 0 ND			

D: outcomes from studies deemed to be differentiating
 ND: outcomes from studies deemed to be non-differentiating

EHL: Extended Half-Life FVIII/FIX
 GT : gene therapy
 NRT : non-replacement treatment
 RFT : replacement factor treatment
 SHL: Standard Half-Life FVIII/FIX

Echanges autour de la TG pour décider



			GT vs RFT Haem A	GT vs RFT Haem B	MES PREFERENCES
Tier 1: Health Status Achieved/Retained	Survival	Statistical life expectancy			
		Overall survival			
	Degree of health or recovery	Function/activity		5 D ^a ; 0 ND	
		Bleeding*	13 D ^a ; 0 ND	21 D ^a ; 0 ND	
		Serious bleeds		0 D; 1 ND ^b	
		Pain			
		Musculoskeletal complications	2 D ^b ; 0 ND		
		HRQOL		3 D; 0 ND	
Cure	1 D; 0 ND				
Tier 2: Process of Recovery	Time to recovery and time to return to normal activities	Time to initial diagnosis			
		Time to onset of treatment			
		Time to recover from a bleeding episode			
		Time missed at education/employment for treatment			
	Disutility of care or treatment process	Development of inhibitors	0 D; 7 ND	0 D; 7 ND	
		Pathogen transmission			
		Orthopedic intervention			
		Infection			
Long-term venous access					
Other AE	9 D; 4 ND	15 D ^d ; 7 ND			
Tier 3: Sustainability of Health	Sustainability of health or recovery and nature of recurrences	Frequency of breakthrough bleeds		2 D ^b ; 0 ND	
		Joint preservation			
		Lifelong productivity			
	Sustained good health	4 D ^b ; 0 ND	6 D ^a ; 0 ND		
	Long-term consequences of therapy	Age-related comorbidities and complications			

EHL: Extended Half-Life FVIII/FIX
 GT : gene therapy
 NRT : non-replacement treatment
 RFT : replacement factor treatment
 SHL: Standard Half-Life FVIII/FIX

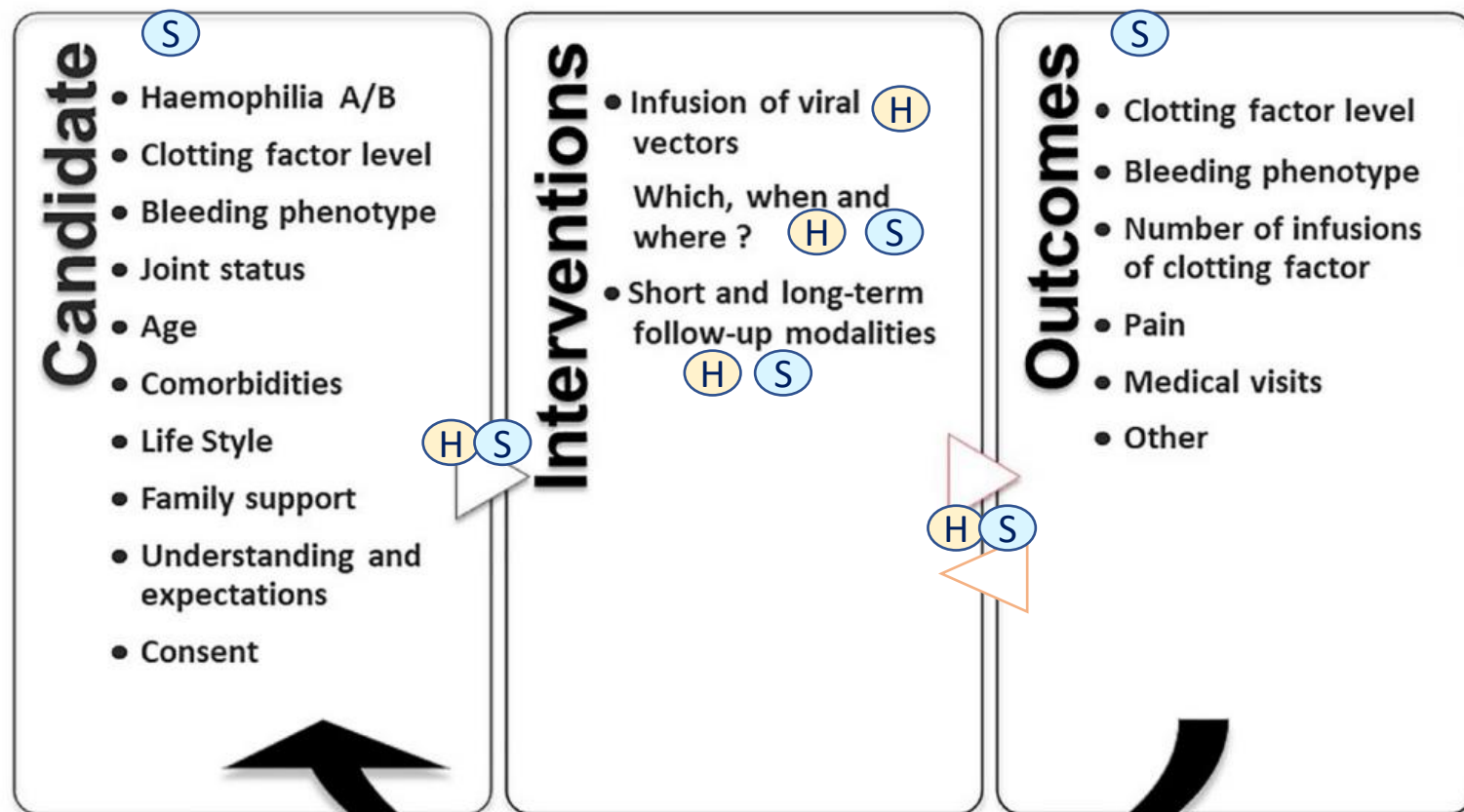
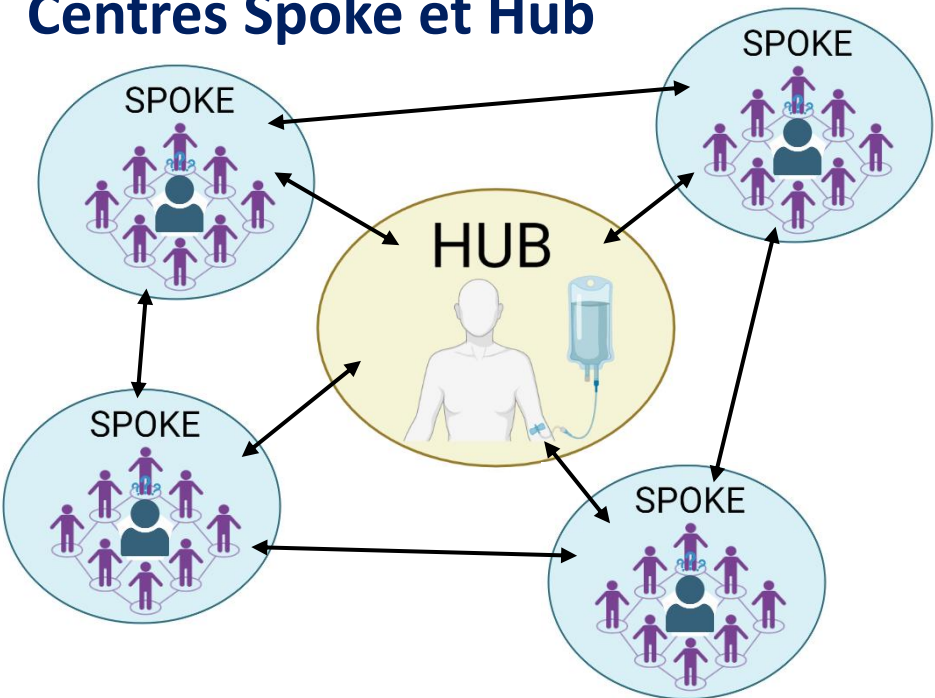
Echanges autour de la TG pour décider



Construction d'outils pour savoir et comprendre

Description du parcours amenant à la TG.

Centres Spoke et Hub



(S) Centre Spoke
 (H) Centre Hub

Evaluer la prise de décision

La PDP a-t-elle été faite dans les règles de l'art ?

- Inviter à la reformulation des points-clés par le patient
- S'assurer que la décision relève d'un processus de type « système 2 » (cf Kahneman)
- S'assurer que le parcours de TG (avant/pendant/après) est bien compris et qu'il s'intégrera dans le parcours de vie socio-professionnel du patient
- Rechercher d'éventuelles contraintes passées, présentes et futures
- Vérifier que la décision a été définitivement conclue

Conclusion

Echanges interactifs et réciproques soignant-patient nécessaires à la décision

Compréhension de ce que l'autre exprime et explique

Définition claire des préférences du patient pour lui-même et pour l'équipe de soins

Critères d'indication ou de contre-indication bien définies

Gestion de l'incertitude avec sérénité et transparence

Clôture nécessaire de la prise de décision avec un résumé claire de la décision et de ce qui a amené à la prendre

Merci

Bienvenue à Saint Malo

*« Toute pensée [décision] exige qu'on s'arrête pour réfléchir »
Hanna Arendt*

