

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

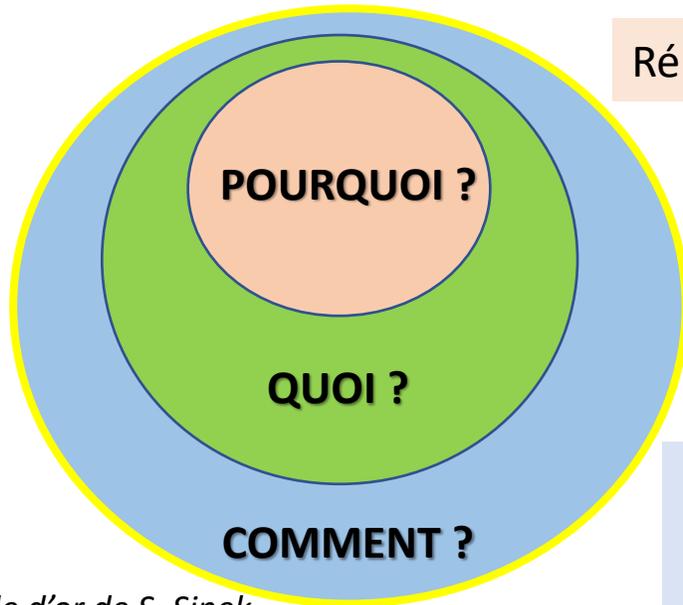
Déclaration de liens d'intérêts

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 ?

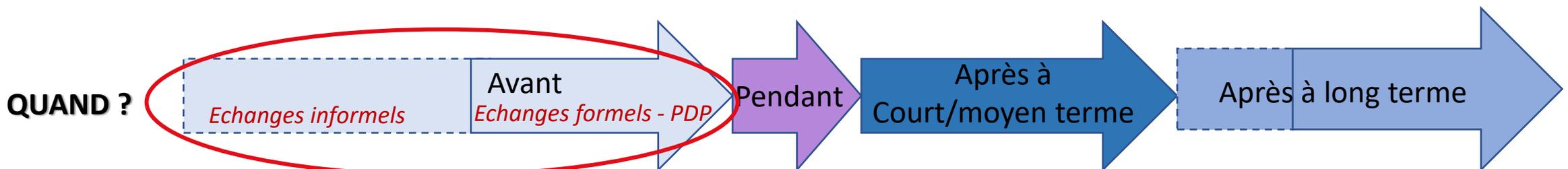
Répondre à l'objectif : **prendre une décision** = TG or not TG pour ce patient ?



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)**

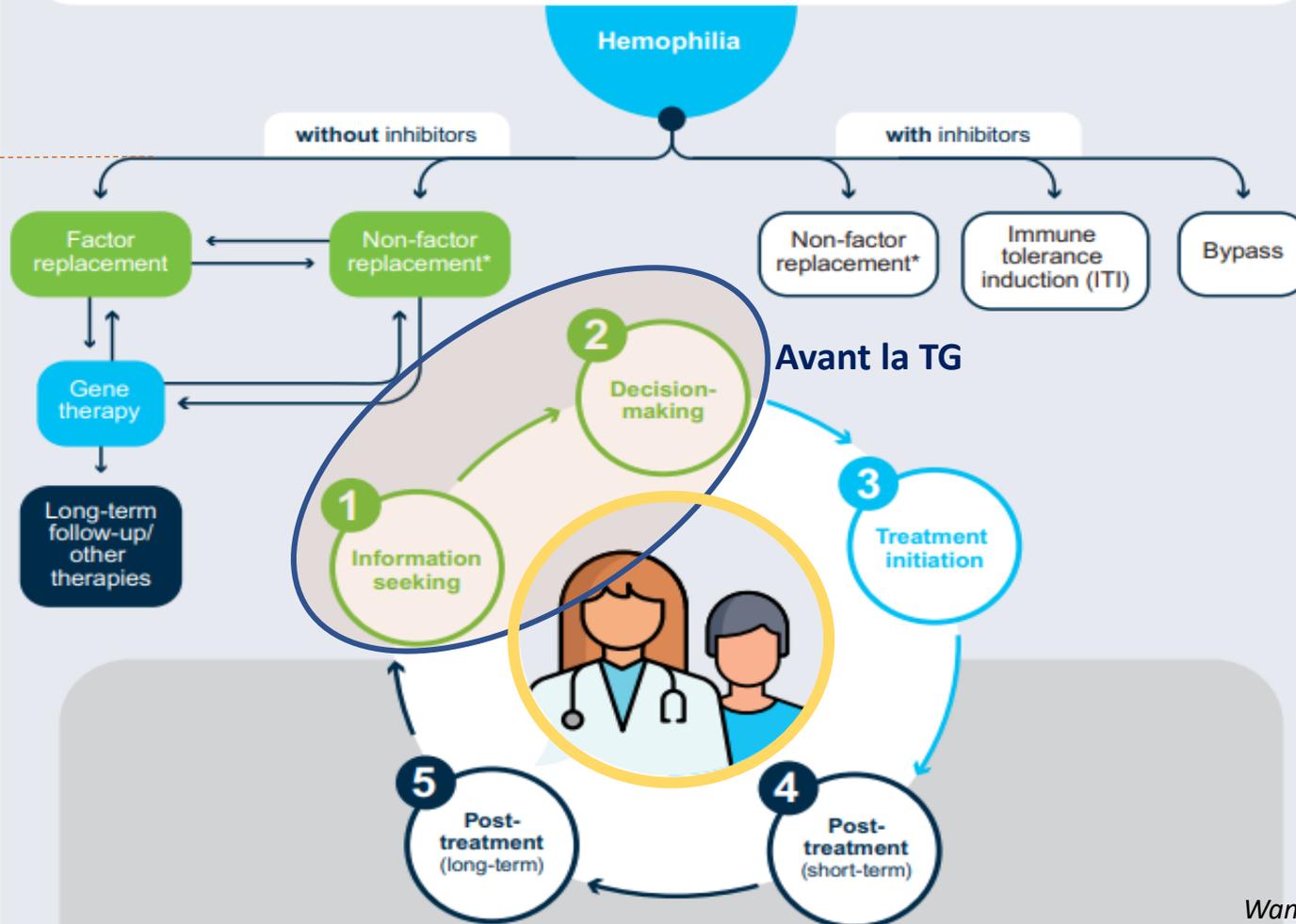
Cercle d'or de S. Sinék



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)

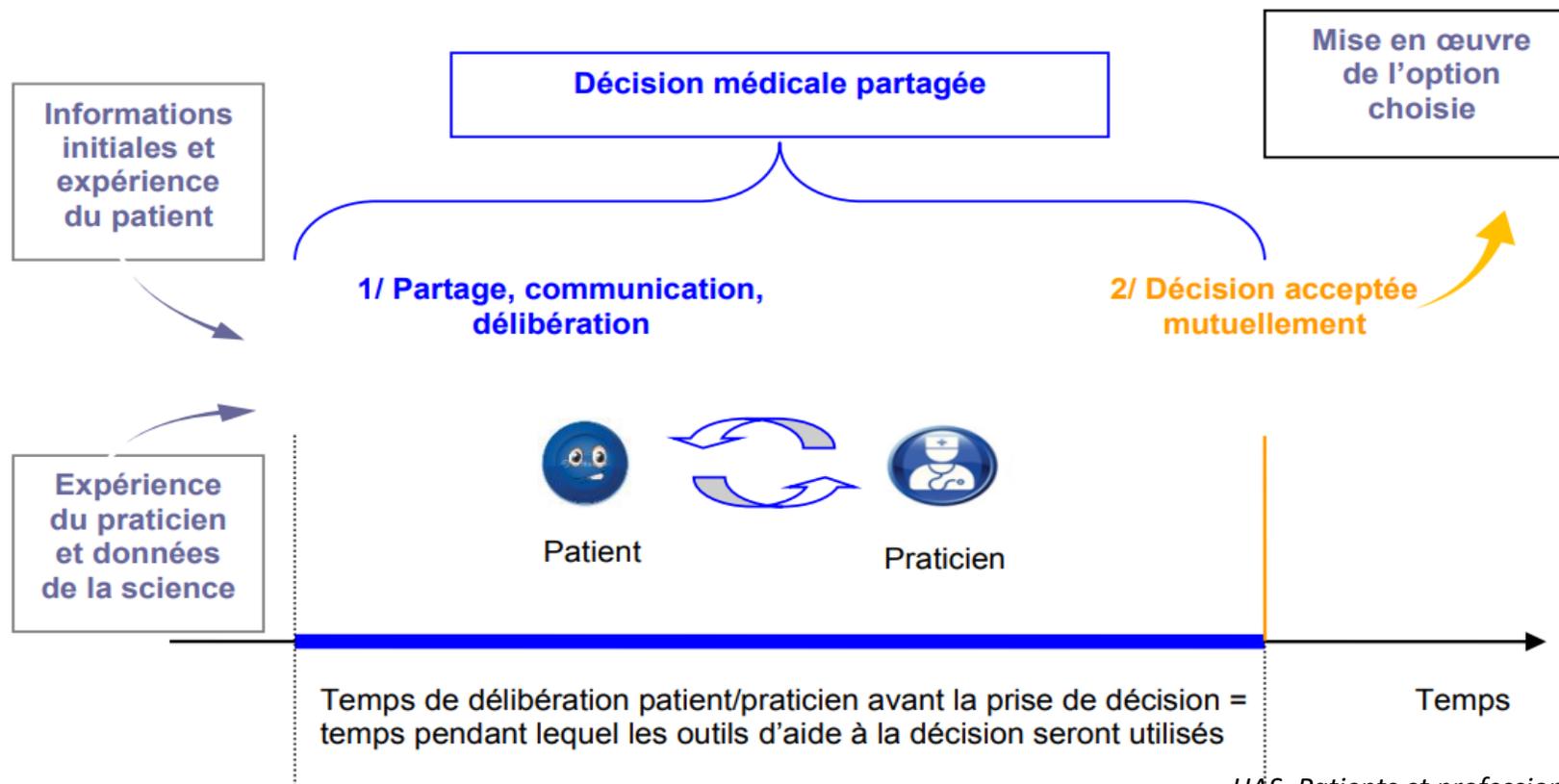
- Foie
- Sérologie AAV
- Inhibiteur
- Habitus (alcool)
- *Capacité à suivre les consignes (y compris dans le temps) – Adhérence historique*

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

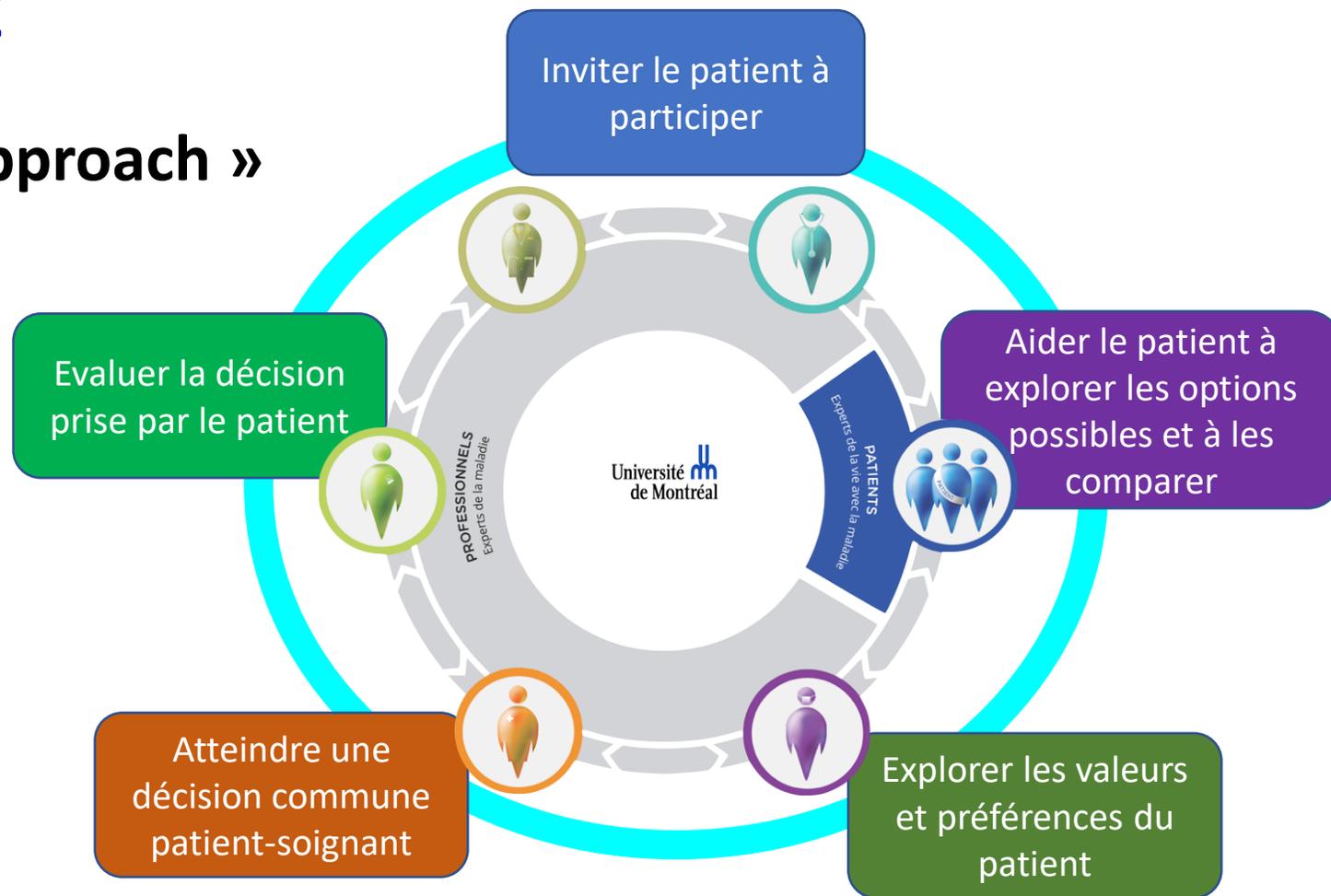
Seek -> Help -> Assess -> Reach -> Evaluate

Mode d'entrée :

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



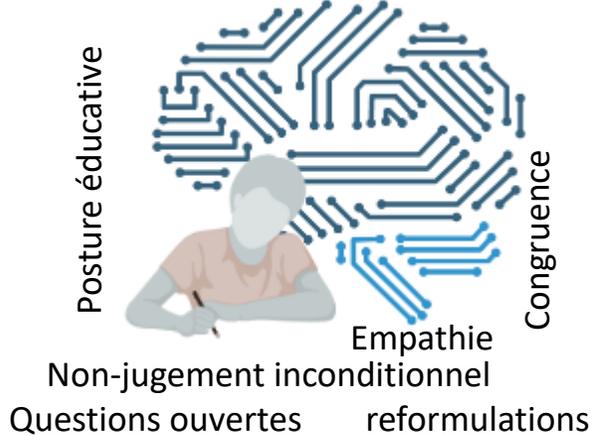
Philippe Geluck – Le Chat



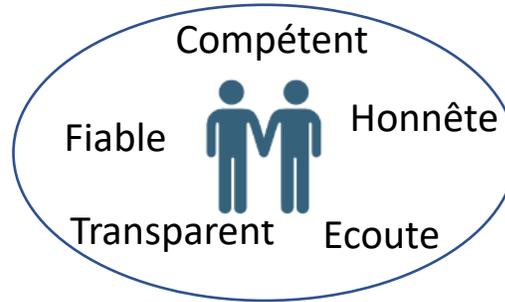
La prise de décision pour la TG

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



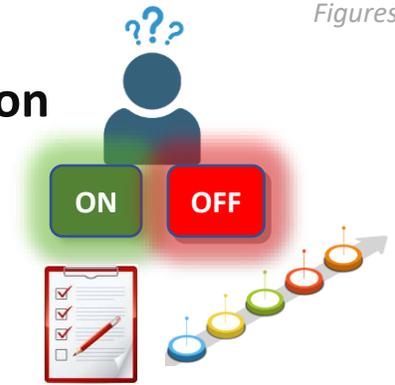
Parcours de vie et de soins



Utilisation des ressources disponibles



Conclusion



Figures partially created in BioRender

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

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

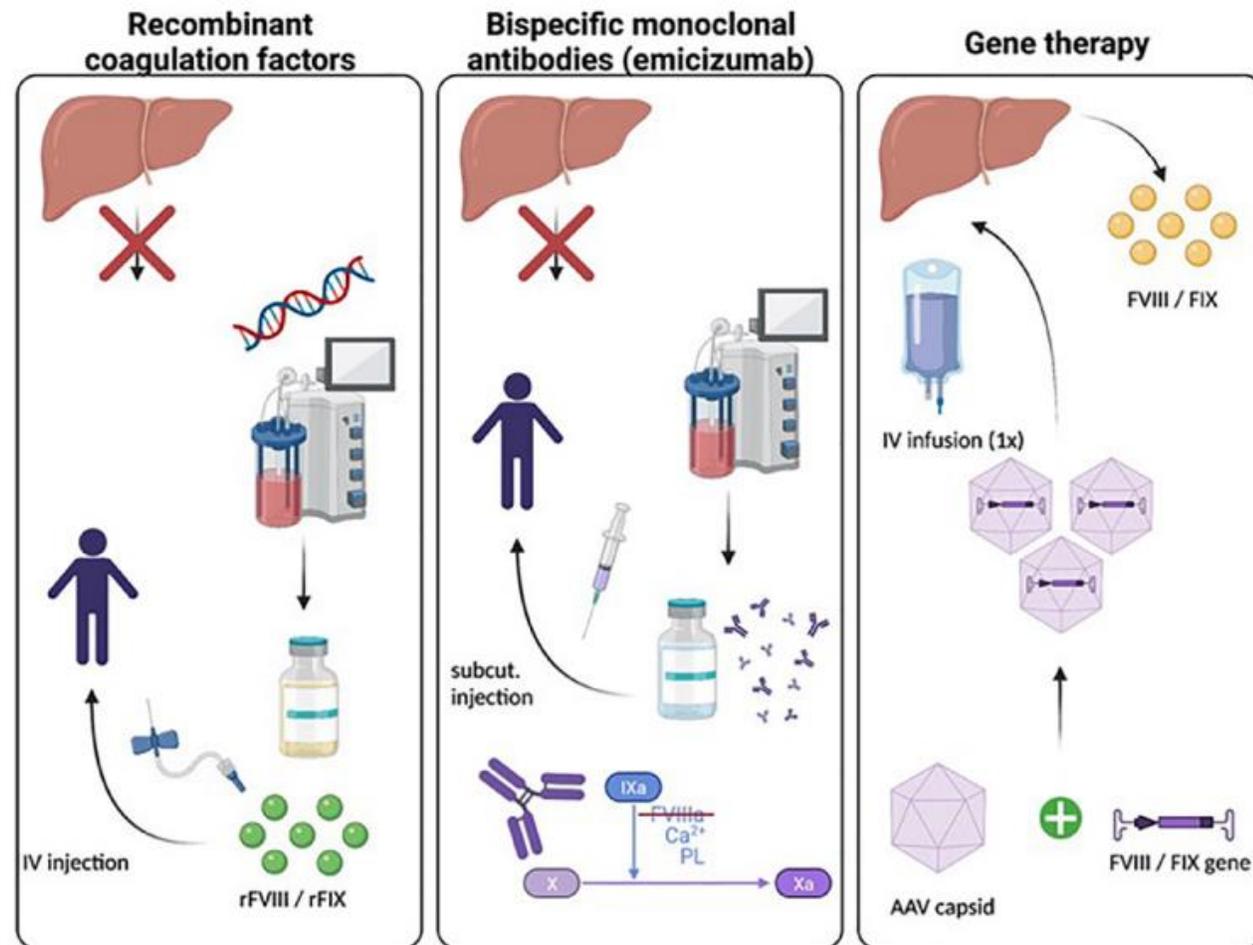


Construction d'outils pour comparer les options

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

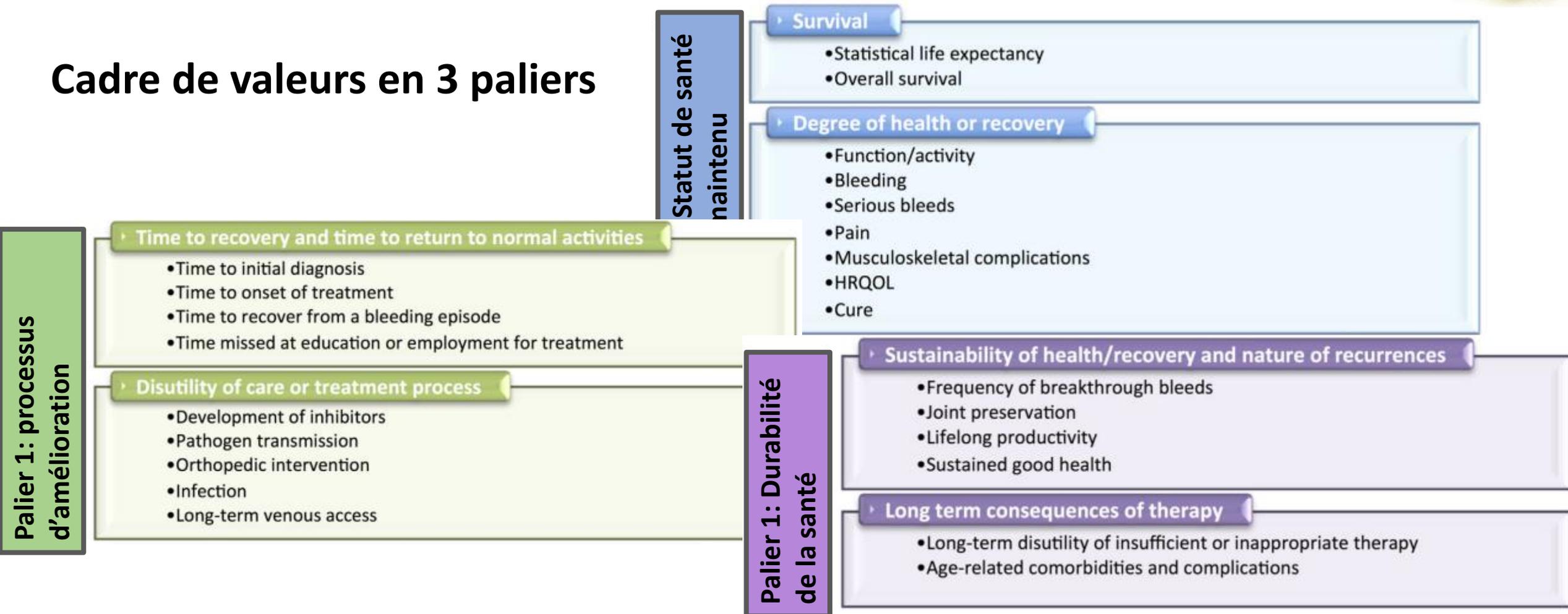


Echanges autour de la TG pour décider



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			
	Long-term consequences of therapy	Sustained good health	4 D ^b ; 0 ND	6 D ^a ; 0 ND	
		Long-term disutility of insufficient/inappropriate 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

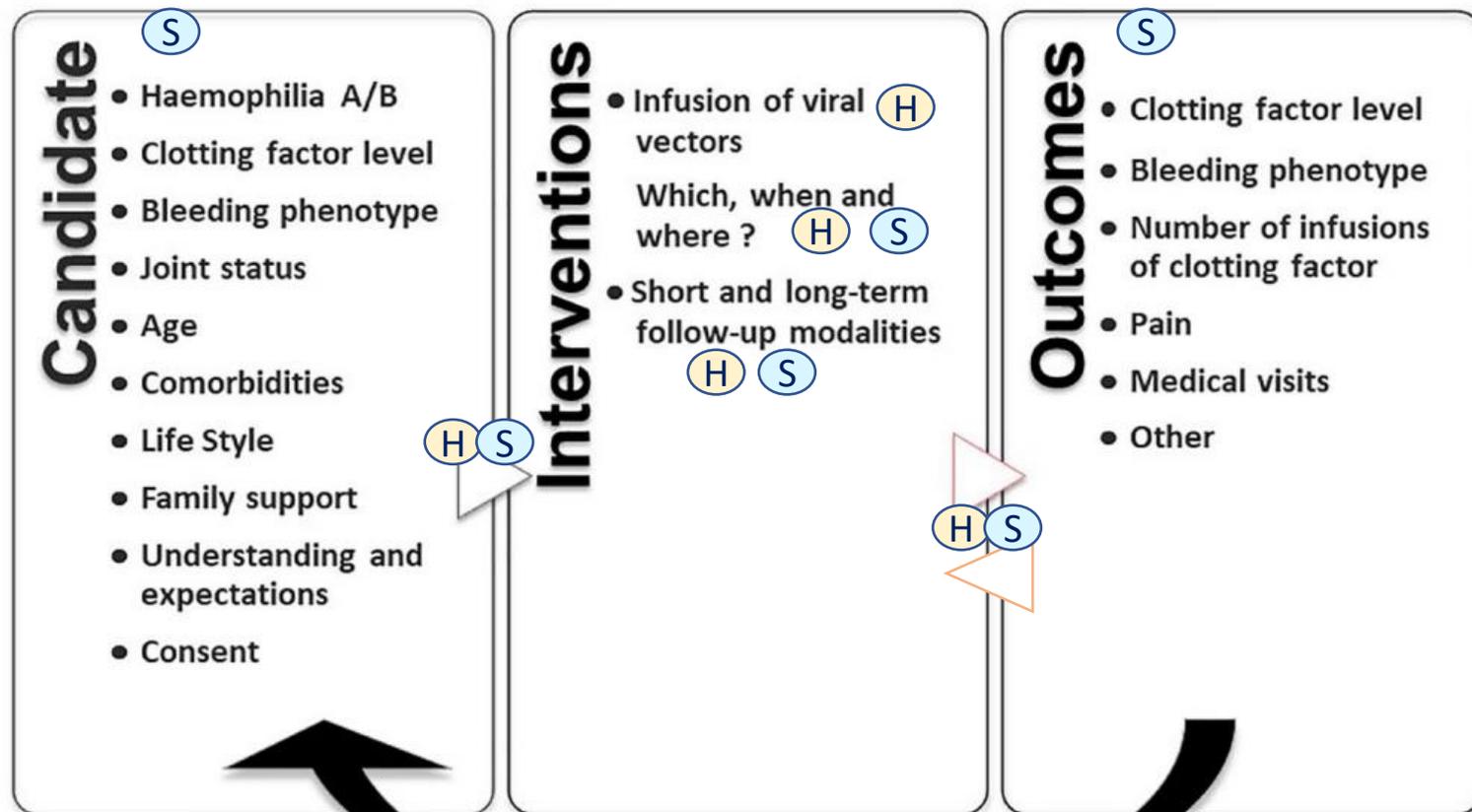
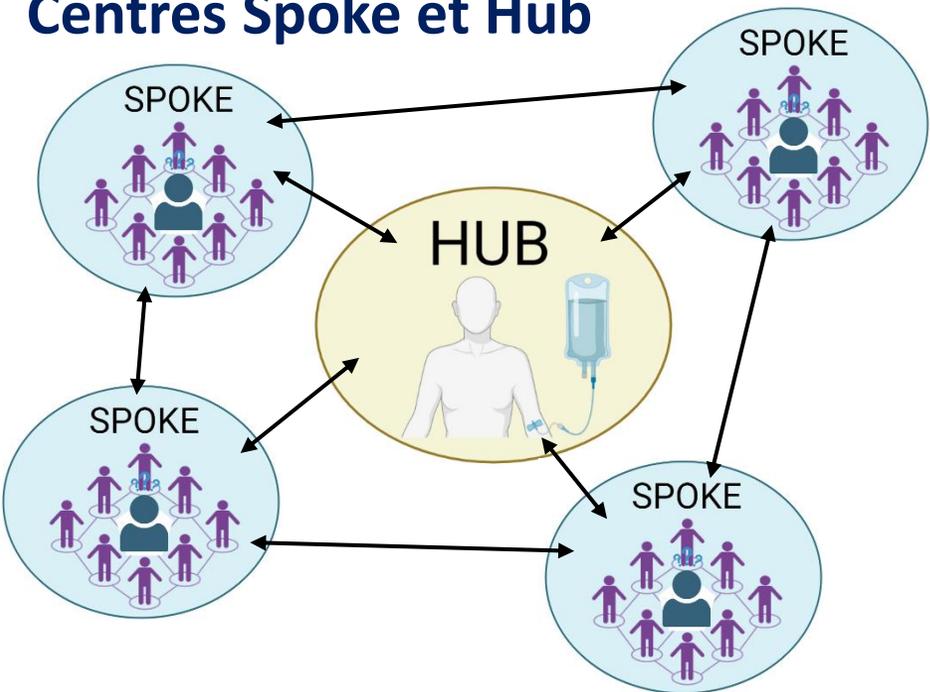
Echanges autour de la TG pour décider



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

