

KIDS RARE - DEVELOPING THE INVOLVEMENT OF YOUNG PATIENTS AND THEIR FAMILIES IN PEDIATRIC CLINICAL RESEARCH IN THE FIELD OF RARE DISEASES



Hospices Civils de Lyon



KIDSFrance



BACKGROUND

In the rare diseases field, patient and family associations have long been involved in care pathways, and more recently in research. They are the experts on their disease.

Their role has evolved considerably over time, becoming a partnership model in some cases (Rabeharisoa and al, 2003). However, patient involvement in the field of rare diseases remains essentially that of adult patients. In pediatric clinical research, and particularly in the field of rare diseases, children and adolescents are among the main actors.

The integration of the perspective of minors in research approaches is widely promoted at the international level to improve the relevance, feasibility and impact of the projects carried out (Pan-European Network for Pediatric Clinical Research Conect4Children, C4C; EMA).

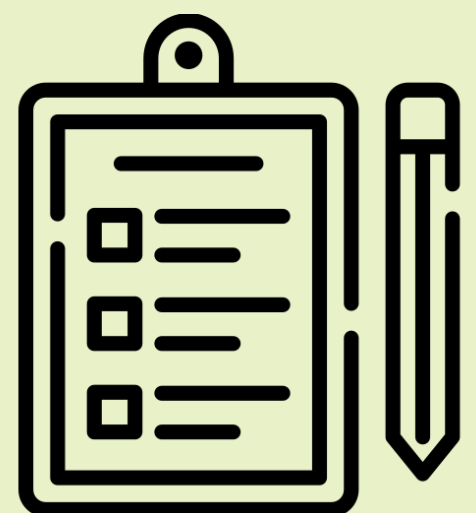
OBJECTIVES

The objective is to develop the involvement of young patients and their families in pediatric clinical research in the field of rare diseases:

- Build the involvement and the project with young patients and their families, define their expectations;
- Formalize and standardize methods for seeking the opinion and voice of patients and their families;
- Provide appropriate training for young patients and their families as well as for the staff of research departments or structures wishing to become involved in clinical research;
- Evaluate the involvement of patients and their families in clinical research projects on rare diseases: impact on patients and families but also on research projects.

METHOD

Qualitative health research methods will be used to achieve the objectives of the project.



1

Questionnaires to define the expectations of young patients (8-17 years old) and their families (2-3rd quarter 2022)

- Distribution of questionnaires via the rare disease health networks and patient associations
- Analysis of the responses to the questionnaires by the PPI France manager (Kids France)

2



1st meeting for training and start of workshops (1st semester 2023)

- Training in the involvement of patients and families: for interested families, but also for professionals of rare diseases health networks, research structures or hospitals wishing to get involved (solicitation via the Pedstart network (RIPPS))
- After the training, and according to the return of the questionnaires and pre-identified needs, implementation of the first workshops in the form of focus groups
- Preparation of one or more projects to be developed (Kids France)

3



Quarterly organization of meetings/workshops of the defined groups (from September 2023)

- Intra or inter-rare diseases health networks or even within a given pathology depending on the objectives to be developed
- Meetings according to the Kids France model: training + joint work in focus groups + report

EXPECTED RESULTS AND PROSPECTS

It is expected that this highly original project (to our knowledge, no similar initiative known even internationally in the field of rare) will allow the involvement of young patients and their families in pediatric clinical research in the field of rare diseases to develop quality clinical research dedicated to patients, with an adapted methodology, objectives and conduct, and to favor the development of appropriate therapies.

The results of this study will also benefit investigators and sponsors in clinical research in rare diseases. They will be able to benefit from the support and expertise of patients and their families and thus better respond to the expectations of patients and parents.

This pilot project will be a structuring element to systematize the involvement of young patients and their families in clinical research projects on rare diseases, as young patients will be the expert partners of their diseases.

For more information, contact: fimatho@chu-lille.fr or segolene.gaillard@chu-lyon.fr

KIDS RARE - DÉVELOPPER L'IMPLICATION DES JEUNES PATIENTS ET DE LEURS FAMILLES EN RECHERCHE CLINIQUE PÉDIATRIQUE DANS LE CHAMP DES MALADIES RARES



Hospices Civils de Lyon



KIDSFrance



CONSTAT

Dans le champ des maladies rares, les associations de patients et familles sont depuis longtemps impliquées dans les parcours de soins, plus récemment dans la recherche. Ils sont les experts de leur maladie.

Leur rôle a considérablement évolué au cours du temps évoluant en un modèle de partenariat dans certains cas (Rabeharisoa et al, 2003). Toutefois, l'implication des patients dans le champ des maladies rares reste essentiellement celle de patients adultes. En recherche clinique pédiatrique et notamment dans le champ des maladies rares, les enfants et adolescents sont pourtant parmi les principaux acteurs.

L'intégration de la perspective des mineurs dans les démarches de recherche est largement promue au niveau international pour améliorer la pertinence, la faisabilité et les retombées des projets menés (réseau pan-Européen de recherche clinique pédiatrique Conect4Children, C4C ; EMA).

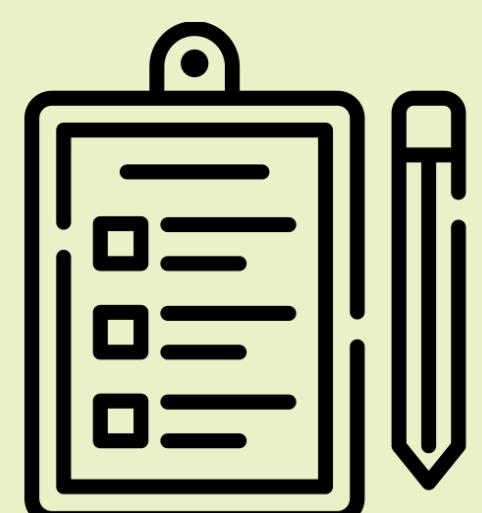
OBJECTIFS

L'objectif est de développer l'implication des jeunes patients et de leurs familles en recherche clinique pédiatrique dans le champ des maladies rares :

- Construire l'implication et le projet avec les jeunes patients et leurs familles, définir leurs attentes ;
- Formaliser et standardiser les méthodes pour rechercher l'avis et la voix des patients et de leurs familles ;
- Apporter une formation adaptée aux jeunes patients et à leurs familles ainsi qu'au personnel des filières ou des structures de recherche souhaitant s'impliquer en recherche clinique ;
- Evaluer l'implication des patients et de leurs familles dans les projets de recherche clinique autour des maladies rares : impact sur les patients et les familles mais aussi sur les projets de recherche.

METHODE

Les méthodes de recherche qualitative en santé seront utilisées pour répondre aux objectifs du projet.

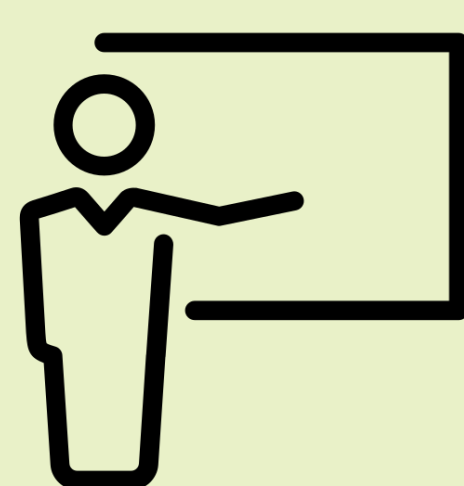


1

Questionnaires pour définir les attentes des jeunes patients (8-17 ans) et de leurs familles (2-3ème trimestre 2022)

- Distribution de questionnaires via les filières de santé maladies rares et associations de patients
- Analyse des réponses aux questionnaires par responsable PPI France (Kids France)

2



1ère réunion pour formation et début des ateliers (1er semestre 2023)

- Formation à l'implication des patients et familles : pour les familles intéressées mais aussi pour les professionnels des filières et des structures de recherche ou des hôpitaux souhaitant s'investir (solicitation via réseau Pedstart (RIPPS))
- Après la formation, et selon le retour des questionnaires et besoins pré-identifiés, mise en place des premiers ateliers sous forme de focus groupes
- Préparation d'un ou plusieurs projets à développer (Kids France)

3



Organisation trimestrielle de réunions/ateliers de travail des groupes définis (à partir de septembre 2023)

- Intra-filière, inter-filières ou même au sein d'une pathologie donnée selon les objectifs à développer
- Réunions selon modèle Kids France : formation + travail commun en focus groupe + rapport

RESULTATS ATTENDUS ET PERSPECTIVES

Il est attendu de ce projet très original (pas d'initiative similaire connue même à l'international dans le champ des maladies rares à notre connaissance) que l'implication des jeunes patients et de leurs familles en recherche clinique pédiatrique dans le champ des maladies rares permette de développer une recherche clinique de qualité dédiée aux patients, avec une méthodologie, des objectifs et une conduite adaptés et de favoriser le développement de thérapeutiques appropriées.

Les résultats de cette étude pourront également engendrer des bénéfices pour les investigateurs et les promoteurs en recherche clinique dans les maladies rares. Ils pourront ainsi bénéficier de l'appui et l'expertise des patients et de leurs familles et ainsi mieux répondre aux attentes des patients et parents.

Ce projet pilote sera un élément structurant pour systématiser l'implication des jeunes patients et de leurs familles dans les projets de recherche clinique autour des maladies rares, les jeunes patients seront les partenaires experts de leurs maladies.