



Mind the Gap!

Dialogue entre différentes parties prenantes afin de définir des priorités dans la recherche en santé

Projet pilote: Sclérose Tubéreuse de Bourneville (STB)

Fondation Roi Baudouin Belgique

De quoi s'agit-il?

La Fondation Roi Baudouin Belgique, be-TSC et l'UZ Brussel – Vrije Universiteit Brussel veulent faire entrer en dialogue les personnes atteintes de la sclérose tubéreuse de Bourneville (STB) et leurs familles, avec des professionnels de santé (médicaux et paramédicaux), des chercheurs et des sponsors potentiels de la recherche. L'objectif est d'identifier et de classer les incertitudes du traitement en TSC et de fixer des priorités pour la recherche future.

La sclérose tubéreuse de Bourneville (STB)

La sclérose tubéreuse de Bourneville – en Anglais : Tuberos Scleros Complex (TSC) - est une maladie génétique qui touche différents organes : la peau, le cerveau, le cœur, les reins, les yeux, les poumons etc. Bien qu'il existe une grande diversité dans le nombre et la gravité des symptômes cliniques, les manifestations pathologiques les plus courantes sont le développement de tumeurs bénignes dans ces organes, des crises d'épilepsie et des troubles neuropsychiatriques associés à la STB, qui peuvent inclure un trouble du spectre autistique, des troubles cognitifs, de l'anxiété et de la dépression...

La STB, dont la prévalence est estimée entre 1 sur 6.000 et 1 sur 10.000, est due à des mutations dans les gènes TSC1 ou TSC2. Bien que la STB est une maladie génétique dominante, les deux tiers des patients présentent des néomutations, et n'ont donc pas hérité la maladie d'un de leurs parents.

La gestion et la coordination appropriées des soins spécialisés, tant médicaux que non médicaux, sont indispensables durant toute la vie des enfants et des adultes atteints de STB.

Pourquoi établir des priorités dans l'agenda de recherche sur la STB ?

Des progrès considérables ont été réalisés dans la recherche sur la STB. Mais les agendas actuels des chercheurs tiennent-ils suffisamment compte des besoins des patients et de leurs familles, ou des demandes de leurs médecins et autres soignants ? Les connaissances et l'expertise spécifiques de certains de ces groupes sont souvent sous-évaluées et sous-utilisées au moment de prioriser les sujets de recherche.

Un dialogue « multi-stakeholder »

Un dialogue « multi-stakeholder », c'est à dire un dialogue entre différentes parties prenantes, est un mode de consultation des parties rarement écoutées. C'est un processus multi-acteurs et itératif dans lequel les patients et leurs familles collaborent avec les chercheurs, soignants et sponsors pour identifier les incertitudes de traitement et prioriser les sujets de recherche.

Au premier stade, chaque groupe identifiera séparément les incertitudes relatives à la prévention, au diagnostic, au traitement et aux soins de la STB. Les méthodes de collecte de l'information seront adaptées à la nature de chaque groupe, afin d'assurer transparence, inclusivité et représentativité. De plus, les sources d'information existantes relatives aux incertitudes et priorités de recherche sur la STB seront exploitées. Au deuxième stade, les groupes participants donneront des priorités à ces incertitudes et sujets de recherche par le dialogue lors d'une rencontre de consensus « face à face ».



Des groupes qui ne peuvent certainement pas manquer dans cet exercice d'établissement des priorités dans la recherche sur la STB sont :

1. les patients belges individuels atteints de STB, les familles des patients, l'association belge des patients be-TSC
2. les organisations de patients STB nationales et internationales
3. les experts des soins cliniques, paramédicaux, sociaux,... en matière de STB
4. les chercheurs travaillant sur la STB ou dans des domaines de recherche associés
5. les bailleurs de fonds et sponsors de la recherche

Résultats attendus

Cet exercice débouchera sur une liste d'incertitudes de traitement classées par ordre d'importance et traduites en priorités de recherche inspirées par les patients STB belges et leurs familles, ainsi que par les soignants et chercheurs. Les résultats seront approuvés par leurs pairs internationaux et donc inscrits dans un contexte international.

Les résultats seront décrits dans un rapport rédigé par la Fondation Roi Baudouin et un article scientifique publié dans une revue internationale « peer reviewed ».

Qui est qui?

Fondation Roi Baudouin – Agir ensemble pour une société meilleure

La Fondation Roi Baudouin est une fondation indépendante et pluraliste, active au niveau belge, européen et international. Nous voulons apporter des changements positifs dans la société et, par conséquent, nous investissons dans des projets ou des individus qui peuvent en inspirer d'autres. En 2015, la Fondation Roi Baudouin et les Fonds qu'elle administre ont soutenu 264 individus et 1.813 organisations pour un montant total de 34,8 millions d'euros. Les projets financés concernaient notamment la pauvreté, la santé, le développement, l'engagement civique et le patrimoine.

Les responsables pour le projet 'Établissement de priorités dans la recherche sur la STB par un dialogue multi-stakholder » à la FRB sont et

Annemie T'Seyen et **Bénédicte Gombault**
tseyen.a@kbs-frb.be - gombault.b@kbs-frb.be



Be-TSC

L'asbl be-TSC souhaite être présente pour toute personne concernée, à quelque titre que ce soit, par la STB. Nous visons à informer, soutenir et connecter, tant par l'intermédiaire de notre groupe Facebook et de notre site web que par contact direct. Be-TSC cherche à faire mieux connaître la maladie dans la société. Car une personne devient d'autant plus résiliente qu'elle parvient à faire reconnaître ce qui marque sa vie. La compréhension comme les soins en sont améliorés d'autant. **Eva Schoeters** est la présidente de be-TSC et le point de contact be-TSC pour ce projet.

www.betsc.be



UZ Brussel

Avec ses 700 lits, l'UZ Brussel (Universitair Ziekenhuis Brussel) admet chaque année plus de 25.000 patients et traite 400.000 patients ambulants, tant nationaux qu'internationaux. Excellence clinique, engagement scientifique et humanocentrisme assurent à cet hôpital un niveau de compétence supérieur dans de nombreux domaines. Il est étroitement associé à la Vrije Universiteit Brussel.

La Professeure **Anna Jansen** de l'Unité de Neurologie Pédiatrique organise une consultation STB multidisciplinaire à l'UZ Brussel, mène des recherches sur la STB et est aussi l'initiatrice du projet d'établissement de priorités dans la recherche sur la STB.

