

Zurich, le 29.11.2016 kontakt@ergonomien.ch

Évaluation formative d'Orphanet Suisse Synthèse

Sur mandat de

l'Office fédéral de la santé publique (OFSP) et de

la Conférence suisse des directrices et directeurs cantonaux de la santé (CDS)

D^{rs} Rolf Wipfli et Christopher H. Müller,
+41 44 849 29 29
kontakt@ergonomien.ch

Impressum

Numéro de contrat :	16.011042
Durée du projet :	Mai 2016 – novembre 2016
Période de relevé des données :	Juin 2016 – septembre 2016
Direction du projet d'évaluation :	Tamara Bonassi, service Évaluation et recherche (E+F), OFSP
Méta-évaluation :	L'OFSP et la CDS ont confié l'élaboration du présent rapport à un rédacteur externe dans le but d'obtenir une réponse indépendante et scientifiquement fondée à des questions essentielles. Par conséquent, l'interprétation des résultats, les conclusions et les recommandations à l'attention de l'OFSP et d'autres acteurs peuvent diverger de l'avis et des positions de l'OFSP. Le projet de rapport a fait l'objet d'une méta-évaluation par le service Évaluation et recherche de l'OFSP. La méta-évaluation (contrôle de la qualité scientifique et éthique d'une évaluation) s'appuie sur les normes de la Société suisse d'évaluation (standards SEVAL). Les résultats de la méta-évaluation ont été transmis à l'équipe d'évaluation et pris en compte dans le présent rapport.
Commande :	Service Évaluation et recherche (E+F), Office fédéral de la santé publique, 3003 Berne evaluation@bag.admin.ch www.bag.admin.ch/evaluation
Traductions :	Les textes en français, anglais et allemand ont été traduits par Rolf Wipfli
Citation :	Wipfli, R., Müller, Ch. H. (2016). Formative Evaluation Orphanet Schweiz. Bern: Bundesamt für Gesundheit und Schweizerische Konferenz der kantonalen Gesundheitsdirektorinnen und -direktoren
Adresse de correspondance :	Die Ergonomen Usability AG Rolf Wipfli Steinstrasse 35 8003 Zurich http://www.ergonomen.ch/

Résumé

Orphanet est un consortium international composé de 40 pays partenaires qui exploite un portail de référence, « www.orpha.net », pour les maladies rares et les médicaments orphelins. Cette collaboration vise à améliorer le diagnostic, la prise en charge et le traitement des maladies rares. Dans ce but, Orphanet réunit des informations relatives aux maladies rares et aux médicaments orphelins et les met à disposition sur orpha.net.

«Orphanet Suisse» représente notre pays au sein de ce consortium. Son travail consiste à recenser de la manière la plus complète possible les offres de thérapie pour les maladies rares et les médicaments orphelins disponibles en Suisse et à les transmettre au portail de référence. Orphanet Suisse exploite son propre site Internet « www.orphanet.ch ».

Dans le cadre d'une évaluation externe, la conception et l'organisation d'Orphanet ont été examinées, les questions liées au financement et à l'exploitation ont été clarifiées, les contenus et l'utilisation d'orpha.net et orphanet.ch ont été évalués, et des potentiels d'optimisation ont été identifiés.

L'analyse s'appuie sur des documents, entretiens et analyses de contexte (observations de travail) avec les parties prenantes choisies parmi les organisations dans le domaine des maladies rares et des patients ou leurs proches. Un questionnaire en ligne auquel 29 personnes ont répondu et une discussion avec certains représentants de l'organisation du projet sur les solutions possibles sont venus compléter l'évaluation.

Dans l'évaluation, les personnes interrogées sont toutes d'avis que la Suisse doit poursuivre sa collaboration avec le consortium international Orphanet. La coordinatrice nationale actuelle doit en outre continuer à faire le lien avec le consortium international.

En ce qui concerne l'exploitation et la charge de travail, l'évaluation conclut que la validation des informations pour Orphanet Suisse prend inutilement beaucoup de temps. Des outils et processus compliqués, mis à disposition par l'organisation internationale Orphanet, rendent le travail difficile. En ce qui concerne les contenus d'orpha.net et orphanet.ch, les parties prenantes critiquent la couverture manquante des offres de thérapie pour les maladies rares en Suisse, en particulier en Suisse alémanique et en Suisse italienne. La recherche d'informations sur le portail orpha.net a été jugée difficile et peu conviviale. Tous les groupes cibles définis par le consortium international n'ont pas été atteints : les patients et leurs proches trouvent difficilement les informations sur le portail orpha.net. Le financement d'Orphanet Suisse a été assuré jusqu'ici par les cantons, la CDS et des fondations privées.

L'équipe d'évaluation recommande qu'à l'avenir la Suisse continue de participer au consortium international Orphanet, et l'organisation Orphanet Suisse, sise à Genève, doit être reconnue par la Confédération et les cantons. Elle recommande également de se baser sur les structures existantes pour la création de centres de récolte d'informations et de sites Internet simplifiés pour les patients. L'objectif de ces centres est de représenter plus d'offres de thérapie dans Orphanet et de renforcer les groupes cibles de patients. La convivialité d'orpha.net doit être améliorée, tout comme le processus de validation des données ; enfin, la charge de travail liée à l'exploitation de la page Internet orphanet.ch doit être réduite.

Synthèse

Introduction

Dans le monde, près de 300 millions de personnes souffrent d'une maladie rare. En Suisse, ce nombre s'élève à 580 000. Les maladies rares sont des maladies qui touchent moins de cinq personnes sur 10 000. Aujourd'hui, on en dénombre 7 000, la plupart étant des maladies génétiques. Les médicaments orphelins sont des médicaments utilisés pour traiter ces maladies rares.

Le consortium Orphanet, composé de 40 pays partenaires, vise à améliorer le diagnostic, la prise en charge et le traitement des maladies rares. Le portail de référence d'Orphanet informe sur les maladies rares et les médicaments orphelins, mais aussi sur les centres d'experts, les laboratoires de diagnostic, la recherche et les études cliniques, les organisations de patients ainsi que les professionnels et les institutions.

Orphanet exploite un portail Internet sur les maladies rares et les médicaments orphelins nommé « orpha.net ». Les données sont disponibles en ligne.

En outre, des organisations nationales, comme Orphanet Suisse, rassemblent et valident les informations dans un contexte national et exploitent les sites d'informations spécifiques aux pays. En Suisse, il s'agit d'« Orphanet Suisse », qui est affilié aux Hôpitaux Universitaires de Genève (HUG). Orphanet Suisse exploite le site « orphanet.ch ».

L'Office fédéral de la santé publique (OFSP) et la Conférence suisse des directrices et directeurs cantonaux de la santé (CDS) ont chargé la société Ergonomen Usability SA de réaliser une évaluation formative d'Orphanet Suisse.

Questions d'évaluation

L'évaluation formative portait sur Orphanet, auquel appartiennent le portail international orpha.net et la page suisse orphanet.ch. L'évaluation se concentre, du point de vue des personnes et organisations suisses, sur l'organisation, la présentation, le financement, ainsi que les contenus et l'utilisation d'Orphanet. Elle porte également sur le potentiel d'optimisation d'Orphanet. Le cadre politique, en particulier le concept national maladies rares, est aussi pris en compte dans l'évaluation.

Les questions principales de l'évaluation formative étaient :

- Comment Orphanet est présenté et organisé ?
- Quel jugement peut être porté sur Orphanet du point de vue de son financement, de son exploitation, de son contenu et de son utilisation ?
- Quel est le potentiel d'optimisation d'Orphanet ?

Méthodes

La société Ergonomen a réalisé l'évaluation en trois étapes de travail liées les unes aux autres :

Étape de travail 1 : Entretiens, analyses de contexte et analyses de documents

Les membres de la société Ergonomen se sont entretenus avec neuf représentants d'organisations dans le domaine des maladies rares, y compris des patients ou leurs proches. Dans certains cas, des analyses de contexte ont été réalisées à leurs postes de travail, au cours desquelles les participants ont été observés pendant leur utilisation d'Orphanet ; ils ont commenté les étapes de travail ainsi que les aspects positifs et négatifs de l'utilisation. Parallèlement aux

entretiens et aux analyses de contexte, les membres de la société Ergonomen ont analysé les documents pertinents pour Orphanet et pour le domaine des maladies rares.

Étape de travail 2 : Questionnaire en ligne

L'équipe d'évaluation de la société Ergonomen a créé un questionnaire composé de 42 questions portant sur l'utilisation et sur le potentiel d'amélioration d'Orphanet. Les participants ont pu y indiquer s'ils utilisaient Orphanet en tant que patient, médecin, employé d'Orphanet Suisse, etc. Ces « rôles » ont été définis dans ce qui suit comme des « rôles utilisateurs ». Les personnes interrogées avaient la possibilité de s'attribuer plusieurs rôles utilisateurs. En fonction du rôle, le choix des questions était automatiquement adapté.

Les membres de la société Ergonomen ont invité 48 personnes à participer à l'enquête ; 29 personnes ont rempli le questionnaire : 3 patients ou proches, 6 représentants des administrations, 2 représentants des associations professionnelles, 2 chercheurs, 8 collaborateurs du secteur de la santé, 5 représentants d'organisations de patients et 3 collaborateurs d'Orphanet Suisse.

Étape de travail 3 : Discussion de la faisabilité des propositions d'amélioration

Les membres de la société Ergonomen et certains représentants de l'organisation de cette évaluation ont discuté de la faisabilité des propositions d'amélioration pour Orphanet Suisse, qui ont été développées sur la base de ces étapes de travail.

Résultats

Organisation d'Orphanet

Orphanet a été fondé en 1997 à Paris par la Direction générale de la santé et l'Institut national de la santé et de la recherche médicale (INSERM). Depuis sa création, Orphanet a été pensé à des fins de collaboration internationale afin de réunir le plus de données possibles sur les maladies rares et les médicaments orphelins et de les mettre à la disposition des patients, de la recherche et des spécialistes médicaux. Au moment de l'évaluation, le consortium Orphanet se compose de 40 pays membres.

Orphanet compte deux niveaux : l'équipe de coordination à Paris et les équipes des pays membres.

L'**équipe de coordination** est chargée de coordonner la collaboration entre les pays et de préparer l'infrastructure technique nécessaire (p. ex., serveurs). Les données sur les maladies rares et les offres de thérapies obtenues dans les pays et déjà pré-validées sont finalement validées et publiées à Paris.

Les **équipes nationales** ont pour tâche de trouver les offres de thérapie pour les maladies rares dans leur pays et de contacter les spécialistes médicaux. Elles aident ces derniers à remplir le formulaire requis pour l'entrée d'une offre de thérapie correspondante (p. ex., un centre de compétence pour une maladie rare). Orphanet Suisse valide cette entrée pour la Suisse avant de la transmettre à l'équipe de coordination à Paris.

La collaboration et la répartition des tâches sont définies dans les *Standard Operating Procedures* d'Orphanet.

Le **groupe cible** d'Orphanet comprend les groupes d'utilisateurs suivants :

- Spécialistes médicaux
- Patients et leurs proches
- Organisations de patients
- Chercheurs
- Entreprises de biotechnologie et de pharmaceutique
- Systèmes de santé publique

- Établissements de recherche
- Administrations publiques.

Charges liées à Orphanet

En tant que pays non-membre de l'Union européenne (UE), la Suisse collabore en tant que partenaire et prend elle-même en charge les frais inhérents à sa participation au consortium. Jusqu'à présent, les frais pour Orphanet Suisse ont été pris en charge par des organisations privées, par les cantons puis par la CDS de 2011 à 2015. À l'avenir, un financement dans le cadre du concept national maladies rares devrait être envisagé. Au moment de l'évaluation, les frais de personnel pour l'année courante se montent à environ 370 000 francs. Les Hôpitaux Universitaires de Genève y ont participé en 2016.

Le temps nécessaire à la pré-validation des informations pour la Suisse et à la prise de contact avec les spécialistes médicaux est considérable. Cette situation est due, d'une part, aux processus complexes impliquant des demandes de précision entre Paris et les spécialistes médicaux des hôpitaux suisses et, d'autre part, aux outils peu conviviaux. En 2015, Orphanet Suisse a ajouté 126 entrées à Orphanet et mis à jour 552 entrées. Pour l'année 2016, il y a eu 99 nouvelles entrées et 499 mises à jour jusqu'au mois d'octobre.

Utilisation effective d'Orphanet

Sur l'ensemble des 29 personnes interrogées, 23 avaient déjà utilisé Orphanet. Sur les 4 patients interrogés, un seul connaissait Orphanet.

D'après le questionnaire, les rubriques les plus souvent consultées sur le portail Internet sont « Maladies rares », « Centres experts et filières / réseaux » et « Professionnels et institutions ». Trois utilisateurs interrogés seulement consultent Orphanet plus d'une fois par jour.

Orphanet propose des contenus pour tous les groupes d'utilisateurs. On y trouve des documents pour les spécialistes médicaux, des informations codées pour les chercheurs et des documents simplifiés pour les patients et leurs proches. Toutefois, les utilisateurs ont difficilement accès à ces informations.

La recherche d'informations présuppose que l'on connaisse les catégories dans Orphanet (p. ex., centres d'expert et réseaux, diagnostic, recherche et études cliniques). Il faut en outre beaucoup de connaissances médicales préalables sur la maladie recherchée et de bonnes connaissances médicales générales (*health literacy*), afin de trouver les informations nécessaires. Il n'est pas possible d'afficher directement sur le portail orpha.net toutes les informations sur une maladie rare dans un pays.

Qualité des contenus

Les participants, en particulier les spécialistes médicaux et les collaborateurs des administrations, mentionnent que les offres de thérapie ne couvrent pas suffisamment le territoire suisse. Il manque surtout les offres de Suisse alémanique. Cette situation s'explique par le fait qu'Orphanet Suisse a en général des difficultés à convaincre les hôpitaux d'intégrer les offres dans Orphanet. Il y a d'un côté des barrières linguistiques lors de la communication et, de l'autre, une faible motivation de la part des spécialistes médicaux à investir beaucoup de temps pour saisir une entrée.

Les personnes interrogées étaient satisfaites de la qualité des données dans Orphanet. L'utilité et la qualité des informations d'Orphanet ont été considérées comme légèrement positives par les répondants (voir illustration A). Par contre, la facilité d'utilisation a été évaluée comme moyenne. Dans les commentaires, les spécialistes médicaux et les organisations de patients ont déclaré que la recherche d'informations était mal aisée et que la convivialité devrait être améliorée. Le design du portail orpha.net (et également la page Internet suisse orphanet.ch) doit être adapté à l'exigence visuelle d'aujourd'hui d'une page Internet.

Les contenus de la page Internet suisse orphanet.ch ont été jugés comme inutiles par les personnes interrogées, en particulier par les spécialistes médicaux et les organisations de patients. Les informations qui y sont proposées sur l'organisation d'Orphanet Suisse et les annonces d'événements sont peu importantes d'après les déclarations des personnes interrogées. En outre, il n'était pas clair pour de nombreuses personnes interrogées qu'orphanet.ch ne représentait qu'une page d'accueil pour le portail international orpha.net, et que les véritables données sur les maladies rares et les médicaments orphelins ne sont stockées que sur le portail international.

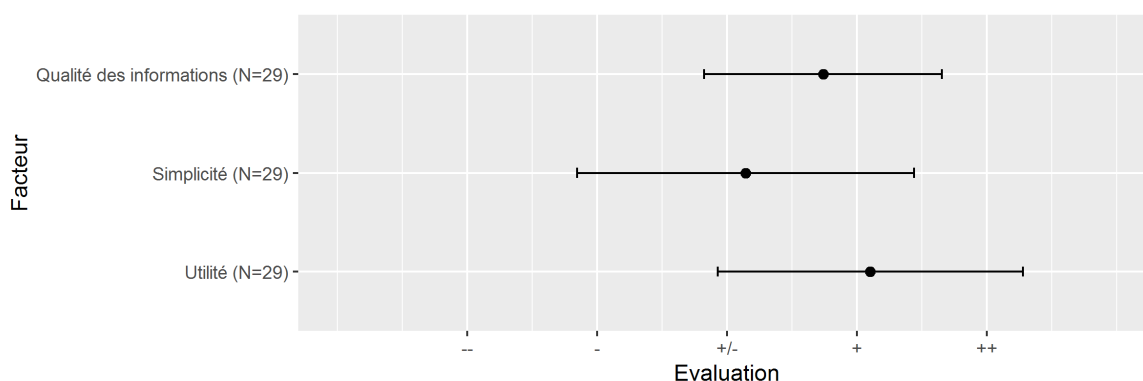


Illustration A : Simplicité perçue, utilité perçue et qualité d'information avec indications de la valeur moyenne et de l'écart-type. L'échelle va d'une évaluation très négative (--) à une évaluation très positive (++). (Source : questionnaire en ligne par la société Ergonomen)

En Suisse, les autorités publiques soutiennent deux autres initiatives en faveur des maladies rares : la page Internet info-maladies-rares.ch (une collaboration des Hôpitaux Universitaires de Genève et de Vaud) et le « centre de compétences pour les maladies rares – Médecine universitaire à Zurich ». Les deux offres s'adressent aux patients et à leurs proches et proposent une assistance téléphonique. Le site Internet info-maladies-rares.ch dispose en outre d'un outil de recherche adapté aux besoins des patients, qui affiche les offres des cantons de Genève et Vaud de façon compréhensible.

Recommandations

Participation de la Suisse à Orphanet : La société Die Ergonomen recommande que la Suisse continue de participer à Orphanet en tant que partenaire (*collaborating partner*). Toutes les personnes interrogées ont souligné qu'Orphanet est la seule organisation en Europe qui permette d'obtenir et d'échanger des données sur les maladies rares et les médicaments orphelins.

La décision de participer à Orphanet implique que les règles définies dans les *Standard Operating Procedures* sont remplies. La marge de manœuvre pour la Suisse est donc limitée. D'une part, les processus et les outils utilisés pour la saisie et la validation des offres concernant les maladies rares sont prédéfinis. D'autre part, le portail international orpha.net est exploité par l'équipe de coordination à Paris, ce qui signifie que l'influence (p. ex., en ce qui concerne les optimisations) ne peut être exercée que sur le Conseil d'administration d'Orphanet.

La Suisse peut toutefois influencer sur la communication et la participation des différents groupes d'intérêts. Les recommandations suivantes servent à remplir ces objectifs :

Reconnaissance de l'organisation Orphanet Suisse : Les Hôpitaux Universitaires de Genève doivent être confirmés dans leur statut de siège d'Orphanet Suisse. L'OFSP et la CDS doivent convenir avec les Hôpitaux Universitaires de Genève un règlement de succession pour le cas où la coordinatrice nationale actuelle devrait se retirer de ce poste.

Meilleure prise en compte des patients et de leurs proches : Les patients et leurs proches doivent être mieux soutenus lors de la recherche d'informations sur les maladies rares. Il faut que les pages Internet soient faciles à utiliser pour les patients et leurs proches et qu'elles contiennent/présentent des informations adaptées à leurs besoins.

Augmentation de la convivialité : La recherche dans Orphanet doit être améliorée. L'utilisateur doit pouvoir chercher dans tous les domaines et trouver des informations adaptées à ses besoins. Cette mesure peut être proposée par la coordinatrice nationale au Conseil d'administration.

Le lien de la page suisse orphanet.ch vers le portail orpha.net doit être adapté de façon à ce que les utilisateurs reconnaissent qu'ils passent d'une page nationale à un portail international. Cette mesure peut être mise en œuvre par Orphanet Suisse.

Optimisation de la validation des données : La coordinatrice nationale peut demander au Conseil d'administration d'Orphanet que les outils développés et définis par l'équipe de coordination Orphanet soient retravaillés ou remplacés par d'autres plus efficaces. Les outils existants ne permettent pas de traiter et de valider une nouvelle entrée de manière efficace.

Réduction de la charge de travail liée à l'exploitation d'orphanet.ch : Les personnes interrogées estiment que l'utilisation d'orphanet.ch est compliquée. C'est pourquoi le travail lié à l'entretien de la page doit être réduit au minimum. Les contenus de la page Internet doivent être modifiés par Orphanet Suisse uniquement si cela répond à la tâche définie dans les *Standard Operating Procedures* d'Orphanet.

Création de centres de récolte d'informations et des sites Internet simplifiés pour les patients : Afin d'avoir une couverture la plus complète possible des offres en matière de maladies rares disponibles en Suisse, les membres de la société Die Ergonomen proposent de créer un ou plusieurs centres de récolte d'informations. Ceux-ci devraient être mis en place par la Confédération et les cantons au niveau politique et être bâtis sur des structures existantes. Ces centres de récolte d'informations auraient pour tâche de créer un réseau avec toutes les parties prenantes du domaine des maladies rares, notamment les organisations de patients. Ces dernières, qui ont un intérêt à ce que les informations sur Orphanet soient complètes et actuelles, devraient être mieux intégrées. Les centres de récolte d'informations recevraient des déclarations concernant de nouvelles offres de thérapie et vérifieraient l'exactitude de celles-ci auprès des spécialistes médicaux nommés par les associations de patients ou autre. Les centres de récolte d'informations seraient chargés de soutenir les spécialistes lors de la saisie de nouvelles entrées dans Orphanet. Ils devraient faire office d'institutions régionales. Cette mesure permettrait d'augmenter la confiance et la disposition des spécialistes médicaux à fournir des informations confidentielles.

De plus, la société Die Ergonomen propose de créer des sites Internet simplifiés pour les patients. Ces sites proposeraient une assistance téléphonique, grâce à laquelle les patients et leurs proches pourraient obtenir des conseils.