

Point de vue

Vers la transparence des résultats des centres comme un droit des patients

Patrick Lebecque

2015-08-22

- ✓ D'un centre à l'autre, le suivi et le traitement de la mucoviscidose diffèrent parfois beaucoup.
- ✓ Ces différences peuvent étonner : idéalement, la pratique médicale devrait être assez similaire et pour l'essentiel basée sur un niveau de preuves (EBM : Evidence Based Medicine), se limitant alors à la mise en œuvre d'attitudes dont l'efficacité est consensuellement admise. Mais cet idéal n'est pas rencontré dans la mucoviscidose : i) la maladie est rare, de telle sorte que la plupart des modalités de traitement n'ont tout simplement pas fait l'objet d'études irréfutables ; ii) elle est très hétérogène : ce qui peut être démontré au niveau d'un groupe ne vaut pas nécessairement pour un sujet donné ; iii) même instauré très tôt, le traitement consensuel actuel de la mucoviscidose ne suffit pas à empêcher le développement précoce de lésions pulmonaires irréversibles (bronchectasies) chez la plupart des patients. Des stratégies innovantes sont nécessaires.
- ✓ Ces différences se répercutent en termes de qualité des résultats cliniques, très variables entre centres, y compris dans un aussi petit pays que la Belgique où les patients n'ont aucun accès à ces informations. En cause ici, des différences qui peuvent avoir trait à l'investissement des équipes, aux modalités d'organisation des centres, à des choix cliniques des médecins.
- ✓ Aux Etats-Unis, les patients ont depuis 2006 la possibilité de comparer sur le site Internet de l'Association nationale (CFF) les résultats cliniques des centres agréés. C'est le résultat d'un choix de cette Association qui a considéré qu'il s'agissait là d'un droit des patients et d'un moyen d'accélérer l'amélioration de la qualité des soins. Plus récemment, le Royaume Uni et les Pays-Bas ont adopté cette transparence.
- ✓ Nous prenons ici, en fin de chapitre, l'initiative d'un premier pas dans cette direction.

UNE MALADIE QUI SE PRETE BIEN A LA COMPARAISON DES RESULTATS CLINIQUES ENTRE CENTRES

D'avantage que la plupart des activités médicales, la prise en charge de la mucoviscidose se prête à une évaluation des résultats cliniques dans le temps et à des comparaisons entre centres. Plusieurs paramètres sont à cet égard particulièrement pertinents. Le premier d'entre eux est le VEMS, un indice assez peu sensible en début d'évolution mais très reproductible et robuste de l'atteinte respiratoire qui conditionne presque toujours

le pronostic de la mucoviscidose. On l'exprime en % de la valeur prédite (% pr). Le VEMS des adultes dans un centre peut être sujet à plusieurs biais, dont une mortalité prématurée et le recrutement via une activité de transplantation pulmonaire mais celui des enfants échappe à ces limitations. Décès ou transplantation pulmonaires ne devraient virtuellement plus survenir avant l'âge de 18 ans et la plupart des enfants ont aujourd'hui été pris en charge relativement tôt dans un centre : leur condition reflète globalement bien la qualité de leur prise en charge.

La valeur moyenne ou la valeur médiane du VEMS des enfants (6 - <18 ans) constitue au niveau national l'indice le plus convaincant pour juger de l'amélioration de la prise en charge dans le temps. On peut regretter que cet indice ne figure pas comme tel dans les rapports du Registre Belge de la mucoviscidose et que depuis 2009 aient également disparu des rapports standardisés les données qui permettaient de le calculer.

Cette valeur constitue par ailleurs le meilleur critère de comparaison des résultats cliniques d'un centre.

Alternativement, on peut s'intéresser aux pourcentages d'enfants de chaque centre ayant un VEMS \geq 90% pr (valeur considérée par convention comme normale dans la mucoviscidose), compris entre 89 et 70% pr (atteinte respiratoire « légère »), entre 69 et 40% pr (atteinte respiratoire « modérée ») ou inférieur à 40 % pr. (atteinte respiratoire sévère).

D'autres paramètres peuvent être considérés, parmi lesquels :

- le pourcentage de jeunes patients (2 - <20) mal nourris: souvent tributaire de l'atteinte respiratoire, l'état nutritionnel (exprimé en termes de Z score du BMI) peut en retour, en partie l'influencer,
- le taux de colonisation chronique des voies aériennes par la bactérie *Pseudomonas aeruginosa* parce que « globalement » (des exceptions sont possibles), cette colonisation est associée à un déclin accéléré du VEMS, un traitement plus lourd et plus coûteux,
- le respect de quelques standards simples de suivi comme au moins 4 consultations et prélèvements bactériologiques par an,
- ou encore la fréquence de complications majeures (hémoptysies massives, SOID, pneumothorax ... (Wiedemann 2001).

IL EXISTE ENTRE LES CENTRES DE REFERENCE D'IMPORTANTES DIFFERENCES DE SUIVI ET DE TRAITEMENT

1. Le constat

Cette réalité, qui peut désorienter les patients et/ou parents lorsqu'ils en prennent conscience, est largement documentée dans la littérature médicale.

Quelques exemples suivent, parmi beaucoup d'autres :

- Les réponses de 54 centres représentant 28 pays à un questionnaire concernant leur pratique en matière d'aérosolthérapie en 1996 révélait de considérables disparités. Par exemple, chez le nourrisson de moins d'un an, l'attitude la plus commune (36%) était de la proposer à tous les enfants mais dans 10 % des centres elle n'était jamais proposée à cet âge (Borsje 2000).
- Chez presque tous les patients, l'évolution de la maladie respiratoire est émaillée d'épisodes d'exacerbation des symptômes. Leur importance ne

fait aucun doute : près d'une fois sur quatre, elles laisseront des séquelles fonctionnelles (Sanders 2010). Pourtant, ni leur définition ni l'attitude à adopter ne sont clairement consensuelles. Des auteurs ont analysé les 2.792 réponses de 112 médecins de 13 centres nord-américains à des questions concernant leurs attitudes devant de telles situations et mis en évidence de larges différences entre centres mais aussi entre cliniciens d'un même centre (Kraynack 2011).

- Les données du registre US pour l'année 2012 révèlent que 2 standards de soins tout à fait basiques (au moins 4 consultations/an et au moins 4 cultures de sécrétions respiratoires par an) ne sont pas rencontrés chez la moitié et le tiers des patients respectivement (CFF 2012).
- La prise en charge (dépistage et attitude thérapeutique) des problèmes de déminéralisation osseuse et du diabète associés à la mucoviscidose reste notoirement disparate et controversée.

2. Les explications

Des différences de résultats cliniques peuvent être influencées par des éléments structurels liés aux personnes (existence d'équipes de professionnels dédiés, niveau de leur investissement) ou à l'organisation d'un hôpital (mise en place de mesures pour limiter le risque d'infection croisée, locaux corrects, adéquation du fonctionnement des laboratoires de fonction respiratoire et de microbiologie aux standards actuels ...) (Van der Ent 2008).

En Belgique, le système de santé national soutient et impose la disponibilité de moyens comparables. L'optimisation de la prise en charge dans un centre donné passe alors par une organisation jusque dans les détails (structure du centre, cohérence des attitudes, éducation du patient ...) qui nécessite un investissement considérable, réfléchi et au long cours de tous les intervenants.

Mais d'autres facteurs peuvent également entrer en ligne de compte :

a. Les limites de la médecine basée sur le niveau de preuves (EBM).

Les progrès de la médecine doivent passer par une hiérarchisation de la qualité des informations utilisées par les médecins. C'est dans ce contexte que s'inscrit depuis plus de 20 ans la médecine basée sur le niveau de preuves. Elle propose 3 outils précieux qui aident à limiter la part de l'empirisme dans une prise en charge: les revues systématiques, les méta-analyses, les recommandations de pratique clinique (Hess 2013).

Ces dernières en particulier ont été largement promues et diffusées dans le domaine de la mucoviscidose, avec l'espoir explicite d'accélérer l'amélioration de la qualité de la prise en charge dans les centres (Quinton 2007). L'information concernant les standards de soins

dans la mucoviscidose est partout accessible et les nouveaux traitements sont rapidement disponibles dans les pays riches.

L'annexe F propose une sélection de telles recommandations.

De possibles dérives de l'EBM sont connues, comme son instrumentalisation abusive à des fins économiques et politiciennes ou une déshumanisation des soins si le point de vue du patient n'est pas suffisamment pris en compte (Sniderman 2009, Miles 2011, Tanenbaum 2014). Des limites de cette approche sont également identifiées, en particulier s'agissant d'affections complexes, rares et hétérogènes (Nunn 2008, Kruer 2008). La mucoviscidose s'inscrit pleinement dans cette catégorie. A ce jour, seule une minorité d'attitudes thérapeutiques la concernant ont été investiguées avec rigueur mais l'absence d'études irréprochables n'implique pas nécessairement l'inefficacité des autres modalités. Un exemple simple permet d'illustrer ce point. En présence d'une colonisation des voies aériennes par *Pseudomonas aeruginosa*, l'importance de l'antibiothérapie inhalée ne fait aucun doute. Il est clair aussi que la qualité des études qui ont précédé la mise sur le marché du TOBI est très supérieure à celle des études qui ont concerné la Colimycine. Mais c'est bien l'utilisation de la Colimycine dans ce contexte qui a permis d'établir l'intérêt de cette approche, presque 15 ans avant le développement du TOBI.

b. L'insuffisance de l'actuel traitement consensuel

Symptomatique, l'actuel traitement de la mucoviscidose a permis une amélioration considérable du pronostic mais il s'est aussi révélé incapable d'enrayer réellement l'atteinte respiratoire très précoce qui conditionne presque toujours ce pronostic.

Même chez des nourrissons diagnostiqués très tôt (dépistage néonatal) et pris immédiatement en charge dans un centre de référence, la série des études prospectives AREST CF en Australie a bien montré, grâce à des lavages broncho-alvéolaires systématiques et répétés, la précocité d'une atteinte inflammatoire et la fréquence de l'infection des voies aériennes dès les tout premiers mois de vie (âge médian 3.6 mois), en l'absence le plus souvent de tout symptôme respiratoire (Sly 2009). Et chez de tels enfants, le CT-scann thoracique documentait dès l'âge de 3 ans la présence de bronchectasies dans plus de la moitié des cas (Sly 2013).

Ce constat de relative impuissance souligne le besoin d'idées originales et de stratégies nouvelles (Reix 2011). A priori, des interventions précoces sont envisageables sur le plan des mucolytiques (dornase alpha ?), des antibiotiques (« prophylaxie » plus large que vis-à-vis du seul staphylocoque doré), des anti-inflammatoires (Azithromycine ?).

Fruit d'intuitions de cliniciens, deux de ces modalités qui n'ont pas fait l'objet d'études prospectives, ont semblé dans la littérature médicale associées à des résultats

cliniques particulièrement favorables : usage de dornase alpha chez l'enfant de moins de 2 ans (Padman 2007) et politique d'antibiothérapie inhalée « prophylactique » dès le diagnostic (Lebecque 2006).

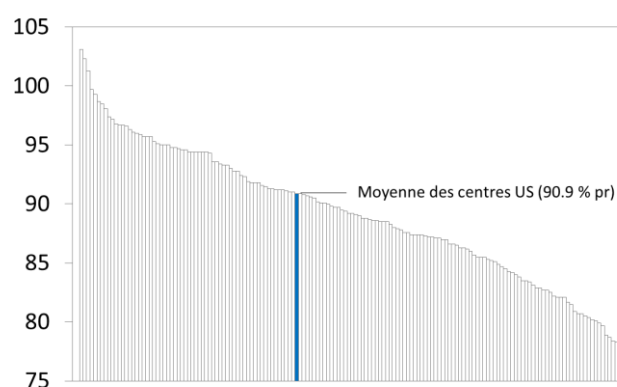
IL EXISTE ENTRE LES CENTRES DE REFERENCE D'IMPORTANTES DIFFERENCES DE RESULTATS CLINIQUES

1. Le constat

De larges variations de la qualité des résultats cliniques entre centres sont documentées depuis près de 20 ans (Bauernfeind 1996), y compris au niveau d'un même pays (données nord-américaines et allemandes notamment).

La figure 1 illustre de manière spectaculaire cette réalité. En 2009, la valeur médiane du VEMS des enfants (6-<18 ans) des 158 centres US accrédités correspondait en moyenne à 91% de la valeur prédite mais elle variait selon les centres de 103 et 77% de la valeur prédite. Ces différences concernent des valeurs ajustées pour des facteurs confondants possibles (socio-économiques en particulier), l'impact de ces ajustements restant marginal parce que la gravité de la maladie et sa relative rareté font éviter les biais d'un recrutement trop local.

Figure 41.1 – VEMS moyen (% pr) des enfants (6 - <18 ans) dans les 158 centres US en 2009 (source : [CFF](#)).



Aux USA encore, des différences tout aussi spectaculaires concernent d'autres paramètres importants.

En 2002, le poids de 18% des enfants du Registre était inférieur au seuil d'alerte sérieuse (le percentile 5 qui correspond à un Z score de -1.64) mais cette proportion variait suivant les centres de 5 à 35%. Ici non plus, le contexte socio-économique, apprécié par le pourcentage de recours au système Medicaid (en l'impossibilité de pouvoir souscrire une assurance privée), n'avait pas d'impact sur les différences d'état nutritionnel entre centres (Schechter 2002).

En 2007, le pourcentage moyen de patients du Registre porteurs au niveau des sécrétions respiratoires d'une

souche résistante de Staphylocoque doré (MRSA) atteignait 21% mais les valeurs extrêmes allaient de 6.2 à 42 %.

IMPLICATIONS PRONOSTIQUES DE TELLES DIFFERENCES

Elles sont importantes.

S'agissant d'enfants en moyenne âgés de 12 ans seulement, une différence de VEMS de 26% de la valeur prédite est considérable. Elle correspond pour l'essentiel à des lésions et/ou évènements irréversibles. Les implications pronostiques sont évidentes, y compris, très clairement, en termes d'espérance de vie.

Aux Etats-Unis, pour la période 1999-2001, l'âge médian de décès était de 28 ans pour les 10 centres les plus performants en termes de fonction respiratoire et de nutrition alors qu'il n'était que de 22 ans pour les autres centres soignant au moins 100 patients (Quinton 2007). Les données concernant les 10 centres les plus médiocres n'ont pas été publiées.

Toujours aux Etats-Unis, il a fallu 18 ans (1990-2008) pour augmenter de 14 % de la valeur prédite le VEMS médian des enfants âgés de 12 ans ! Sur la même période, l'espérance de vie médiane est passée de 28 à 38 ans.

En Belgique, il a fallu 12 ans (1998-2010) pour augmenter au niveau national de 10% de la valeur prédite le VEMS moyen des enfants de 11 à 17 ans.

BENCHMARKING (COMPARAISON DES CENTRES) : POURQUOI ?

Cette hétérogénéité des résultats des centres pose deux types de questions :

- que font de différent les centres dont les résultats sont plus favorables ?,
- un accès public aux données des centres n'est-il pas un droit des patients ?

1. Comprendre les différences pour accélérer l'amélioration de la qualité des soins

Dès 2002, la puissante Fondation nord-américaine de lutte contre la mucoviscidose (CFF) a mis en route un programme innovant d'amélioration de la qualité des soins baptisé « Accélérer l'amélioration de la qualité des soins dans la mucoviscidose ».

La démarche visait à améliorer substantiellement l'espérance de vie de l'ensemble des patients. Sept objectifs étaient définis (tableau 41.1)(Quinton 2007).

Chacun de ces objectifs reste parfaitement pertinent. En pleine cohérence avec la démarche, chaque version annuelle du registre est structurée en fonction de ces 7 objectifs.

Les 2 principaux outils retenus pour leur mise en œuvre étaient la rédaction et la diffusion de recomman-

datations de bonne pratique basées sur le niveau de preuve et le benchmarking.

L'idée de la CFF était d'identifier les caractéristiques des centres les plus performants et de les faire partager aux autres centres pour « tirer vers le haut » la qualité globale des soins.

Tableau 41.1 – Améliorer la qualité des soins : 7 objectifs retenus par la CFF en 2001

1. Intégrer patients et familles comme partenaires à part entière dans l'équipe muco
2. Assurer une croissance normale, maintenir un état de nutrition normal chez l'enfant (<18), aussi proche de la normale que possible chez l'adulte
3. Freiner le déclin de la fonction respiratoire et diminuer la fréquence des exacerbations
4. Informer patients et soignants et agir pour limiter les risques d'infection croisée (*Pseudomonas aeruginosa* et *Burkholderia Cepacia* en particulier).
5. Dépister et traiter agressivement les complications de la maladie, dont le diabète.
6. Soutenir concrètement les patients les plus malades face aux perspectives d'une transplantation ou de la fin de vie.
7. Permettre l'accès des patients aux traitements et à un support approprié, indépendamment de leur origine ethnique, leur âge, leur niveau d'éducation, leur capacité à payer ces traitements.

Il existait un précédent historique illustrant le bénéfice que pouvait apporter la comparaison détaillée des résultats cliniques de centres de référence. Quinze ans plus tôt, les résultats de Toronto étaient apparus plus favorables que ceux de Boston, la principale différence d'attitude entre les 2 centres semblant d'ordre diététique : à Toronto était prônée une alimentation hypercalorique *sans restriction de graisses*, devenue depuis lors un standard de soins (Corey 1988).

Plusieurs auteurs ont essayé de dégager les caractéristiques des centres obtenant les meilleurs résultats (Johnson 2003, Padman 2007). La démarche est particulièrement approfondie aux USA mais aucune réponse simple n'a pu y est apportée. Sans vraie surprise, un suivi plus étroit et globalement plus interventionniste notamment en ce qui concerne l'antibiothérapie semble caractériser les centres avec les meilleurs résultats (Johnson 2003).

Pour de nombreuses raisons, il est souvent impossible de comparer entre eux deux registres nationaux. Une étude suggère qu'à l'âge de 6 ans le VEMS moyen des enfants britanniques soit de 7% inférieur à celui des enfants américains, une différence qui s'amenuise par la suite (Goss 2014). Un traitement plus intensivement précoce est proposé comme explication mais en dépit d'un traitement statistique soigneux, on peut soupçonner un biais en lien avec la couverture plus

large, presque exhaustive du registre britannique par rapport au registre US (Taylor-Robinson 2014).

En réalité, on peut suspecter que les résultats plus favorables de certains centres résultent le plus souvent, d'une multitude d'items (cohérence des attitudes, barre placée haut, proactivité, multiplication des « filets de sécurité », implication des patients et parents ...) qui nécessitent l'investissement à long-terme de tous les membres d'équipes profondément dédiées ainsi qu'une « culture visant à toujours vouloir améliorer » la prise en charge (Britton 2008).

De manière peut-être plus inattendue, des initiatives non consensuelles de cliniciens ont également pu être associées à des résultats particulièrement favorables, comme, l'usage de Dornase alpha (Pulmozyme ®) en-dessous de l'âge de 2 ans (Padman 2007) ou un recours prophylactique plus libéral aux antibiotiques inhalés (Johnson 2003).

2. Vers la transparence des données comme un droit des patients

En 2001 aux USA, un rapport des autorités de santé mentionnait explicitement « le devoir de mettre à la disposition des patients et de leurs familles l'information nécessaire à leur permettre le choix éclairé d'une institution de soins ».

Malgré la réticence de certains médecins, un comité pluraliste de la CFF comprenant des soignants, des parents, des statisticiens et des dirigeants de la fondation prit en 2004 la décision de publier sur Internet les données comparatives des centres. Le but était de pousser les centres à apprendre les uns des autres et de responsabiliser médecins et patients quant aux soins prodigués. En 2005, plusieurs centres publièrent leurs propres données sur leur site Internet.

Dès 2006, la CFF rendait accessibles sur son site (<http://www.cff.org/LivingWithCF/CareCenterNetwork/CareCenterData/>) les données comparatives de tous les centres qu'elle accréditait, accompagnées d'une mise en garde contre une utilisation trop simpliste de ces données. Une raison explicitement avancée pour le faire était d'attester la priorité accordée par la Fondation à l'intérêt des patients sur l'ego de certains médecins (Quinton 2007). Les patients étaient encouragés à aborder ouvertement le sujet avec les médecins de leur centre. L'expérience a été que les patients et les familles n'étaient pas perturbés par la découverte de performances moyennes de leur centre et ne le quittaient pas tant qu'ils percevaient que tout était mis en œuvre pour les améliorer (Quinton 2007). Dans le domaine de la mucoviscidose, l'intérêt du benchmarking comme outil d'amélioration de la qualité des soins a été confirmé en Amérique du Nord (Schechter 2012) et en Allemagne (Stern 2008, Stern 2011). Il a été souligné dans plusieurs éditoriaux (Littlewood 2005, Tiddens 2009).

La démarche nord-américaine (Schechter 2010) a récemment inspiré un projet similaire concernant la myopathie de Duchenne, (Scully 2013).

D'autres pays disposant de registres bien établis ont jugé cette démarche à la fois légitime et nécessaire. Au [Royaume-Uni](#) comme aux [Pays-Bas](#), les données complètes du Registre sont non seulement publiques mais détaillées par centres depuis plusieurs années, et depuis 2013 les centres sont explicitement identifiés ([Dutch CF Registry 2013](#), [UK CF Registry 2013](#)).

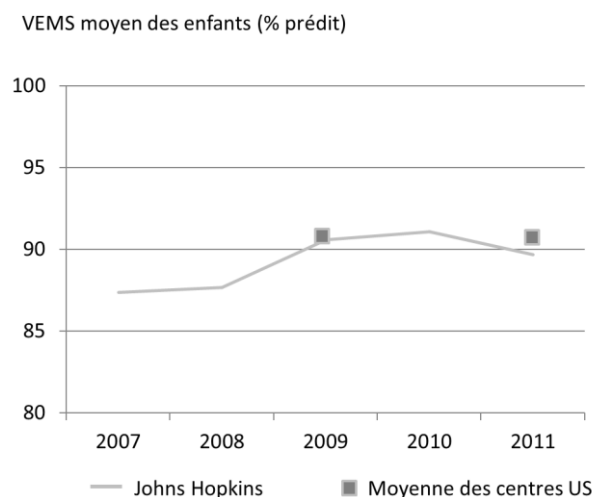
Le Registre Belge de la mucoviscidose est l'un des plus fiables mais reste tout fait à la traîne sur ce plan.

BENCHMARKING : PRECAUTIONS ET LIMITES

Il va de soi que les données utilisées doivent être fiables, aussi complètes que possible et vérifiées. Cette fiabilité des données passe par un contrôle de qualité du registre et une mise en perspective sur une période de quelques années (figure 41.2).

L'exemple du Johns Hopkins est intéressant parce que sa contribution scientifique dans le domaine de la mucoviscidose est très importante. Mais une telle expertise ne se traduit pas nécessairement dans la qualité des soins prodigués (Schechter 2005).

Figure 41.2 – VEMS moyen des enfants (6 - < 18 ans) suivis dans l'hôpital Johns Hopkins, de 2007 à 2011 (source – site Internet de la CFF).



En pratique, l'ajustement des données brutes pour tenir compte de facteurs de sévérité comme l'âge, le sexe, la fonction pancréatique exocrine, l'ethnicité, le statut socio-économique, l'âge au diagnostic apparaît avoir très peu d'impact sur les données brutes (Schechter 2005, Registre national des Pays Bas : rapport de [2009](#) à 2012)

« Tout n'est pas dans les chiffres » : cet avertissement n'enlève rien à leur valeur mais rappelle, comme l'avait fait un éditorial (Van der Ent 2008), qu'ils résultent non seulement d'aspects qualitatifs de leur mode de fonctionnement mais également de facteurs d'amont (infrastructure, moyens humains et matériels).

Ces derniers en particulier peuvent varier fortement d'un pays à l'autre, influencés qu'ils sont par les ressources affectées à la maladie et le système de protection sociale.

ET EN BELGIQUE ?

1. Les données comparatives existent depuis longtemps.

Le Registre belge de la mucoviscidose (RBM) a été mis en place en 1999, à l'initiative des médecins des centres. Initialement hébergé par la VUB, il est passé sous le contrôle de l'Institut de santé publique en 2006, avec plusieurs avantages : pérennité assurée, disponibilité d'une infrastructure efficace (statisticiens notamment), lien contraignant avec la convention INAMI mucoviscidose (remplir les données du Registre pour tout patient bénéficiant de cette convention est devenu une obligation contractuelle pour les centres). Perfectible mais objet d'un processus continu d'amélioration, le RBM est aujourd'hui considéré comme l'un des registres nationaux de mucoviscidose les plus fiables, par la quantité des données recueillies comme par le taux d'exhaustivité atteint (on estime qu'il est l'un des rares registres où plus de 90 % des patients d'un pays sont recensés).

2. Les différences de résultats cliniques entre centres sont et restent très marquées

Si le niveau global de qualité des soins est élevé en Belgique, les différences entre centres sont importantes. Accessibles au public via le site Science Direct, les résultats d'une étude belge multicentrique en

constituaient une illustration parmi d'autres : en 2003, le VEMS moyen des enfants variait pour les 6 centres impliqués entre 95 et 74% de la valeur prédite (Lebecq 2009).

De telles variations sont du même ordre que celles rapportées pour l'année 2011 entre les 6 centres de référence des Pays-Bas (VEMS médian variant de 73.9 à 97% de la valeur prédite, avec une moyenne à 88.7% ; Dutch CF Registry 2012, www.ncfs.nl).

Au cours de la dernière décennie, les valeurs de VEMS des enfants belges se sont améliorées mais les impressionnantes différences de plus de 20% entre centres ont persisté. On peut s'en inquiéter. Pays encore prospère, la Belgique dispose de tous les atouts pour mieux faire: de bonnes universités, 7 centres structurés et subsidiés par le système de santé fédéral, une taille qui rend dérisoire par rapport à d'autres pays l'obstacle des distances, un système de protection sociale qui reste envié dans le monde entier.

Par ailleurs, l'histoire naturelle de la mucoviscidose est dévastatrice et l'on est en droit d'attendre des équipes qui s'investissent au service des patients atteints de cette maladie une volonté sans faille de faire toujours mieux (Schechter 2005).

3. Belgique en 2013 - Qui sait quoi ?

Le tableau 41.2 fait le point en 2013 sur l'accessibilité des données du registre et des données cliniques des centres. Dans de nombreux pays, les données annuelles complètes des Registres nationaux sont accessibles sur Internet depuis longtemps, ce qui peut notamment être utile à des mémorants de tous horizons. La Belgique est à la traîne.

Tableau 41.2 - 2013 : quelles données sont-elles accessibles, et à qui ?

	Registre Belge & INAMI	Médecins des Centres	Parents & patients, ABLM
Registre annuel, rapport complet	1999	1999	-
Registre annuel, rapport public simplifié *	2009	2009	2009
Données nationales + données de son propre centre **	1999	1999	-
Moyennes nationales + données de son propre centre + données des autres centres, sans qu'ils soient identifiés	1999	2013	-
Données complètes (moyennes nationales et détails de chaque centre, identifié)	1999	-	-

* Version en anglais mise en ligne par par l'Institut de santé publique en 2009 (données de l'année 2007). A partir de 2012, ce résumé est également disponible en français et en néerlandais : <https://www.wiv-isp.be/epidemiologie/epifr/index20.htm>

** Les centres disposant d'une base de données sont en mesure de se comparer à la moyenne nationale depuis le début. A partir de 2010 (année 2008), le registre adresse à chaque Centre, « pour usage interne », un document de feed-back structuré lui permettant de se situer par rapport à la moyenne belge.

4. Pour un accès public des données

La plupart des médecins responsables des centres s'opposent à la diffusion de données étayant les disparités. On peut opposer que ce que, dûment contrôlé, reflète un paramètre comme le VEMS médian des enfants (6 - < 18 ans) échappe à toute forme d'esbroufe et est d'une importance primordiale pour les parents et patients, qui sont bien les premiers concernés.

Ce point de repère est en lien direct avec la probabilité qu'un enfant puisse un jour bénéficier au maximum d'un traitement plus « curatif » de la maladie pulmonaire, aujourd'hui raisonnablement entrevu.

Or c'est bien là que réside depuis 2 décennies une grande partie de l'enjeu de leur suivi.

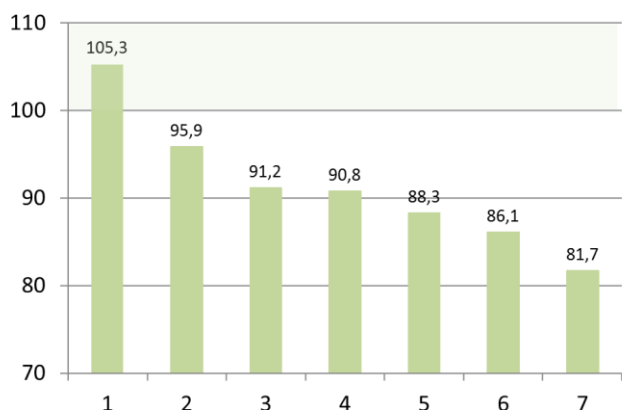
La figure 41.3 reprend des données comparatives des 7 centres pour l'année 2011. Elle concerne les principaux indices de fonction respiratoire (VEMS) et d'état nutritionnel (IMC).

Les deux arguments qui justifient cette décision de rendre publiques ces données sont les mêmes que ceux retenus par la CFF il y a plus de 10 ans:

- cet accès correspond à un droit des patients,
- cette démarche a le potentiel d'accélérer les efforts de tous les centres à continuer à s'améliorer.

Figure 41.3 - Points de repères spirométriques et nutritionnels chez l'enfant : données comparatives des 7 centres de référence belges (dernière consultation de l'année 2011).

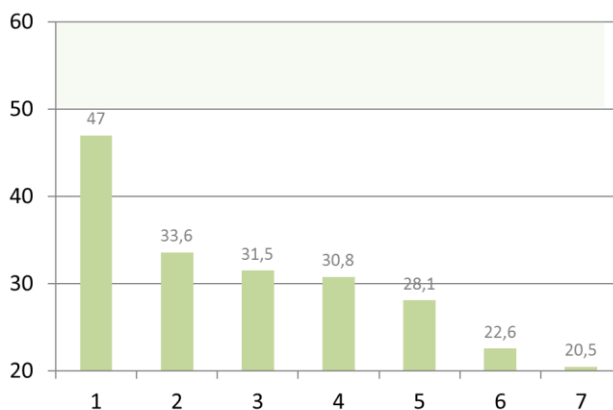
VEMS médian (% prédit)



2a

Interprétation : pour le septième centre par exemple, la moitié des enfants présentent à la fin de l'année 2011 un VEMS supérieur à 81.7 % de la valeur prédite, l'autre moitié un VEMS inférieur à cette valeur. Comme 8 ans plus tôt, les différences entre centres sont importantes. Ces données concernent les enfants de 6 à moins de 18 ans.

IMC (percentile)



2b

L'indice de masse corporelle (IMC) varie avec l'âge. C'est le meilleur reflet de l'état nutritionnel. Le percentile 50 correspond à la valeur type dans une population d'enfants en bonne santé. Il existe globalement une corrélation entre une bonne fonction respiratoire et un bon état nutritionnel. Ces données concernent les patients de 2 à 20 ans.

REFERENCES

	Bauernfeind A, Marks MI, Strandvik B, editors. Cystic fibrosis pulmonary infections: lessons from around the world. Basel' Birkhauser Verlag; 1996.
	Borsje P, de Jongste JC, Mouton JW et al. Aerosol therapy in cystic fibrosis: a survey of 54 CF centers. <i>Pediatr Pulmonol.</i> 2000; 30: 368-376
	Boyle MP, Sabadosa KA, Quinton HB, et al. Key findings of the US Cystic Fibrosis Foundation's clinical practice benchmarking project. <i>BMJ Qual Saf</i> 2014;23: i15–i22.
**	Britton LJ, Thrasher S, Gutierrez H. Creating a culture of improvement: experience of a pediatric cystic fibrosis center. <i>J Nurs Care Qual.</i> 2008 ; 23: 115-120.
	CFF Registry, Cystic Fibrosis Foundation Patient Registry 2012 Annual Data Report. Bethesda, Maryland
*	Corey M, McLaughlin FJ, Williams M et al. A comparison of survival growth, and pulmonary function in patients with cystic fibrosis in Boston and Toronto. <i>J Clin Epidemiol.</i> 1988; 41: 583-591
	Goss CH, MacNeill SJ, Quinton HB et al. Children and young adults with CF in the USA have better lung function compared with the UK. <i>Thorax.</i> 2014 Sep 25. pii:thoraxjnl-2014-205718. doi: 10.1136
	Hess DR. Science and evidence: separating fact from fiction. <i>Respir Care.</i> 2013 ; 58: 1649-1661.
	Johnson C, Butler SM, Konstan MW et al. Factors influencing outcomes in cystic fibrosis: a center-based analysis. <i>Chest</i> 2003; 123: 20-27.
	Kraynack NC, Gothard MD, Falletta LM et al. Approach to treating cystic fibrosis pulmonary exacerbations varies widely across US CF care centers. <i>Pediatr Pulmonol.</i> 2011; 46: 870-881.
	Kruer MC, Steiner RD. The role of evidence-based medicine and clinical trials in rare genetic disorders. <i>Clin Genet.</i> 2008 ; 74: 197-207.
	Lebecque P, Leal T, Zylberberg K et al. Towards zero prevalence of chronic <i>Pseudomonas aeruginosa</i> infection in children with cystic fibrosis. <i>J Cyst Fibros.</i> 2006 ; 5: 237-244.
	Lebecque P, Leonard A, De Boeck K et al. Early referral to cystic fibrosis specialist centre impacts on respiratory outcome. <i>J Cyst Fibros.</i> 2009; 8: 26-30.
**	Littlewood JM. European cystic fibrosis society consensus on standards – a roadmap to "best care". <i>J Cyst Fibros.</i> 2005 ;4:1-5.
	Miles A, Loughlin M. Models in the balance: evidence-based medicine versus evidence-informed individualized care. <i>J Eval Clin Pract.</i> 2011 ; 17: 531-536
	Nunn R. Evidence-based medicine and limits to the literature search. <i>J Eval Clin Pract.</i> 2008 ; 14: 672-678.
	Padman R, McColley SA, Miller DP et al. Infant care patterns at epidemiologic study of cystic fibrosis sites that achieve superior childhood lung function. <i>Pediatrics</i> 2007; 119: e531-537.
***	Quinton HB, O'Connor GT. Current issues in quality improvement in cystic fibrosis. <i>Clin Chest Med.</i> 2007; 28: 459-472.
*	Reix P, Bellon G. Mucoviscidose, les stratégies actuelles ne préviennent pas l'atteinte respiratoire : il faut intervenir plus tôt chez les nourrissons dépistés ! <i>Arch Pediatr.</i> 2011 ; 18: 125-127.
	Sanders DB, Bittner RC, Rosenfeld M et al. Failure to recover to baseline pulmonary function after cystic fibrosis pulmonary exacerbation. <i>Am J Respir Crit Care Med.</i> 2010; 182: 627-632.
	Schechter MS. Demographic and center-related characteristics associated with low weight in pediatric CF patients. <i>Pediatr Pulmonol</i> 2002 ; 34 S24 : 331 (A441)
	Schechter MS, Gutierrez HH. Improving the quality of care for patients with cystic fibrosis. <i>Curr Opin Pediatr.</i> 2010; 22: 296-301.
**	Schechter MS. Benchmarking to improve the quality of cystic fibrosis care. <i>Curr Opin Pulm Med.</i> 2012; 18: 596-601.
	Scully MA, Cwik VA, Marshall BC et al. Can outcomes in Duchenne muscular dystrophy be improved by public reporting of data? <i>Neurology.</i> 2013; 80: 583-589.
	Sly PD, Brennan S, Gangell C et al. ; Australian Respiratory Early Surveillance Team for Cystic Fibrosis (AREST-CF). Lung disease at diagnosis in infants with cystic fibrosis detected by newborn screening. <i>Am J Respir Crit Care Med.</i> 2009 ; 180: 146-152.
**	Sly PD, Gangell CL, Chen L et al. ; AREST CF Investigators. Risk factors for bronchiectasis in children with cystic fibrosis. <i>N Engl J Med.</i> 2013 May 23;368(21):1963-70.
	Sniderman AD, Furberg CD. Why guideline-making requires reform. <i>JAMA.</i> 2009 ; 301: 429-431.
	Stern M, Wiedemann B, Wenzlaff P; German Cystic Fibrosis Quality Assessment Group. From registry to quality management: the German Cystic Fibrosis Quality Assessment project 1995-2006. <i>Eur Respir J.</i> 2008; 31: 29-35.
	Stern M. The use of a cystic fibrosis patient registry to assess outcomes and improve cystic fibrosis care in Germany. <i>Curr Opin Pulm Med.</i> 2011 ; 17: 473-477.
	Taylor-Robinson DC, Schechter MS, Smyth RL. Comparing cystic fibrosis outcomes across the pond. <i>Thorax.</i> 2014 Dec 23. pii: thoraxjnl-2014-206393.
	Tanenbaum SJ. Particularism in health care: challenging the authority of the aggregate. <i>J Eval Clin Pract.</i> 2014 Nov 19. doi: 10.1111/jep.12249.
**	Tiddens HA. Quality improvement in your CF centre: taking care of care. <i>J Cyst Fibros.</i> 2009; 8 Suppl 1:S2-5.
*	van der Ent CK. Quality assessment: is the truth in the outcome? <i>Eur Respir J.</i> 2008 ; 31:6-7.
	Wiedemann B, Steinkamp G, Sens B et al. German Cystic Fibrosis Quality Assurance Group. The German cystic fibrosis quality assurance project: clinical features in children and adults. <i>Eur Respir J.</i> 2001 ; 17: 1187-1194