

**Questionnaire destiné à évaluer l'information et les attentes des patients et de leurs proches concernant le projet de recherche *LeukoTreat***

*Le projet LeukoTreat, financé par le 7<sup>ème</sup> Programme Cadre Européen, a pour objectif de promouvoir des solutions thérapeutiques pour le plus grand nombre de patients atteints de Leucodystrophies et autres pathologies affectant la myéline.*

*Ces pathologies sont rares, ainsi réunir un maximum de données les concernant est donc un élément clé pour l'avancée de la recherche.*

*Ce programme de recherche vise à mettre en commun les données sur les leucodystrophies au niveau national et européen au moyen d'une base informatisée (collecte de données médicales). Par données médicales, on entend des informations personnelles, cliniques ainsi que des informations se rapportant à des échantillons biologiques.*

*Le Centre dans lequel vous (votre proche) êtes suivi(e) participe à ce programme de recherche. Votre participation a été ou va être sollicitée.*

*A ce titre, nous souhaitons mieux comprendre vos attentes en matière d'information et d'interactions entre vous et le monde médical, de manière à favoriser une recherche à l'écoute des patients et de leurs proches.*

*Un questionnaire a ainsi été réalisé par le groupe de recherche en éthique du projet LeukoTreat. Ce questionnaire a été validé par le Comité d'Éthique du projet européen LeukoTreat, chargé de promouvoir les bonnes pratiques et de veiller au respect des patients impliqués.*

*Cette enquête est destinée aux patients, leurs conjoints, leur famille (avec lien de parenté), leur personne de confiance ou leur représentant légal, et ses résultats seront anonymisés. Sa diffusion est réalisée selon plusieurs modes (mail, courrier, en main propre) en partenariat avec les centres cliniques et les associations de patients, en particulier ELA. Il est également disponible en ligne sur le site internet du projet LeukoTreat ([www.leukotreat.eu](http://www.leukotreat.eu)) qui présentera ensuite les résultats globaux de cette enquête. Des publications scientifiques à venir, dans le respect de l'anonymat des participants, seront aussi à votre disposition.*

*Le présent questionnaire est à retourner par mail :*

[leukoethic@gmail.com](mailto:leukoethic@gmail.com)

*Ou à l'adresse suivante :*

**Laboratoire d'Éthique Médicale**  
Groupe de recherche en éthique LeukoTreat  
Université Paris Descartes  
45, rue des Saints-Pères, 75006 Paris

*Nous sommes également à votre disposition pour toute interrogation ou information complémentaire concernant le questionnaire, Tel : 01 42 86 41 35. Nous vous remercions par avance de votre participation à cette étude.*

***N.B.: ce questionnaire a été précédé d'une pré-étude à laquelle vous avez peut-être participé. Si tel est le cas, nous vous serions reconnaissants de remplir également le présent questionnaire finalisé.***

1. Répondez-vous à ce questionnaire (plusieurs réponses possibles) en tant que :

- Patient
- Mère du patient  Père du patient
- Conjoint du patient
- Personne ayant un autre lien de parenté avec le patient - **Précisez**.....
- Représentant légal du patient  Personne de confiance du patient

2. Veuillez, à titre informatif, indiquer :

- **votre âge :**
  - entre 15 et 17 ans  entre 18 et 39 ans
  - entre 40 et 64 ans  65 ans et plus
- **votre sexe :**
  - féminin  masculin
- **votre pays de résidence :** .....

3. Depuis combien de temps avez-vous connaissance de votre maladie ou de celle de votre proche ?

- Moins d'un an  1 à 3 ans
- 3 à 5 ans  plus de 5 ans

4. La leucodystrophie qui vous atteint/ atteint votre proche est-elle :

- de cause connue (gène identifié) **Précisez** :.....
- de cause indéterminée

**Votre point de vue sur le partage de données personnelles**  
(Questions 5 à 16)

5. Est-ce que vous (ou votre proche) participez actuellement à une recherche qui recueille des données personnelles, cliniques et biologiques sur les leucodystrophies (base de données) ?

- Oui  Non  Ne sais pas

Si Oui, connaissez-vous le nom de cette base de données ?

.....

Si Non (ou Ne sais pas), accepteriez-vous de participer à un programme de ce type ?

- Oui  Non  Ne sais pas

6. Quelle que soit votre réponse à la question 5, énoncez librement les raisons de participer ou non à une base de données de recherche :

Raisons d'y participer (plusieurs réponses possibles) :

.....

.....

Raisons de ne pas y participer (plusieurs réponses possibles) :

.....

.....

**Pour chaque raison de participer, cochez une colonne en fonction de l'importance que vous lui accordez :**

	Pas important	Peu important	Assez important	important	Très important
La <b>volonté d'agir</b> face à la maladie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
L'espoir de découvertes permettant une <b>meilleure connaissance</b> des causes de la maladie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
L'espoir de développer des <b>méthodes diagnostiques</b> plus efficaces (marqueurs diagnostiques).	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
L'espoir de comprendre ce qui détermine l' <b>évolution</b> de la maladie (marqueurs pronostiques).	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
La possibilité d'accès éventuel à des <b>essais cliniques</b> thérapeutiques	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
L'espoir de <b>découvertes thérapeutiques</b> ayant une incidence directe sur votre santé ou celle de votre proche	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
L'espoir de <b>découvertes thérapeutiques</b> même si elles n'ont pas d'incidence directe sur votre santé ou celle de votre proche	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Le désir d'être <b>moins isolé</b> face à la maladie et d'appartenir à une communauté	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
La peur de <b>décevoir le médecin</b> qui vous suit (ou qui suit votre proche)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

7. Quelles sont, selon vous, les conditions indispensables dont vous devez être informé(e) en vue de participer à une base de données ?

Pour chacune, cochez une colonne en fonction de l'importance que vous lui accordez.

	Pas important	Peu important	Assez important	important	Très important
Objectifs de la base de données	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Conditions de la confidentialité des données	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Conditions d'accès aux données	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Conditions de sécurisation des données	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Modalités d'accès aux résultats de la recherche	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Durée de conservation des données	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<b>AUTRES</b> - Merci de préciser : ..... .....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

8. Il existe aujourd'hui un débat sur la conservation des données et des échantillons biologiques en cas de décès d'un patient.

Selon vous, la poursuite du stockage et de l'utilisation des **données** dans ce cas, est-elle :

- Légitime                       Illégitime                       Ne sais pas

Selon vous, la poursuite du stockage et de l'utilisation des **échantillons biologiques** dans ce cas, est-elle :

- Légitime                       Illégitime                       Ne sais pas

Dans tous les cas, pouvez-vous expliquer ?

.....  
.....

9. Souhaitez-vous avoir des informations régulières sur les recherches issues de la base de données du projet LeukoTreat ?

Oui

Non

Ne sais pas

Si Oui, sur quels points ?

.....  
 .....

A quelle fréquence ?

.....

Par qui (plusieurs réponses possibles) ?

.....

Par quels supports ou outils de communication ?

.....

.....

10. Quelles informations aimeriez-vous alors recevoir ?

**Pour chacune des propositions ci-dessous, cochez la case correspondant à l'importance que vous leur accordez :**

	Pas important	Peu important	Assez important	important	Très important
Information sur les publications scientifiques relatives à la recherche	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Information sur les nouvelles orientations de la recherche	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Information sur les projets de recherche en cours	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Information sur les résultats de la recherche	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Informations générales sur la base de données (nombre de patients inclus, évolution de la base de données etc.)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Information des résultats concernant votre santé ou celle de votre proche	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

11. La base de données peut fournir des informations sur l'évolution possible (éléments pronostiques) de votre maladie (ou celle de votre proche).

Souhaiteriez-vous en être informé par votre médecin ?

- Oui
  Non (droit de ne pas savoir)
  Ne sais pas

Dans tous les cas, expliquez pourquoi :

.....  
 .....

12. Quelle importance accordez-vous à l'implication des associations de patients dans la diffusion de l'information ?

- très important  
 important  
 moyennement important  
 peu important  
 pas important

13. Que pensez-vous de l'accès à la base de données par les personnes suivantes ?

**Cochez la case correspondant à votre choix pour chacun des items suivants.**

	Favorable (sans réserve)	Réservé	Opposé	Expliquez :
Le patient (ou son représentant légal)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Son médecin généraliste	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Son médecin spécialiste	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Ses proches	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Employeurs	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Administrations (secu, assedic...)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Médias	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Banques, assurances, mutuelles	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....

14. Sous certaines conditions, l'accès à des bases de données peut être possible par des chercheurs hors LeukoTreat qui en font la demande.

**Pour les chercheurs cités dans le tableau suivant, que pensez-vous de leur accès à la base de données ? Cochez la case correspondant à votre choix.**

		Favorable (sans réserve)	Réservé	Opposé
Des chercheurs <i>de votre pays</i>	Recherches sur les leucodystrophies	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
	Recherches sur d'autres maladies	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Des chercheurs <i>d'un autre pays européen</i>	Recherches sur les leucodystrophies	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
	Recherches sur d'autres maladies	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Des chercheurs <i>non-européens</i>	Recherches sur les leucodystrophies	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
	Recherches sur d'autres maladies	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

Avez-vous des commentaires ?

.....

.....

.....

15. Certains partenariats avec l'industrie pharmaceutique permettent de développer des innovations diagnostiques ou thérapeutiques et/ou de participer au financement de la recherche.

Si un partenariat avec l'industrie pharmaceutique, portant sur l'utilisation de vos données (ou celles de votre proche), était envisagé dans le cadre de ce programme, l'accepteriez-vous ?

Oui                                       Non                                       Ne sais pas

Si Oui, à quelles conditions accepteriez-vous ce partenariat ?

.....

.....

.....

16. Il existe au sein du programme de recherche un Comité d’Ethique. Qu’en attendez-vous ?

.....  
.....  
.....

**Votre point de vue sur les données génétiques familiales  
(Questions 17 à 20)**

17. **Génétique et Recherche** : À l’occasion de la recherche, il peut être envisagé de contacter vos proches pour réaliser des analyses génétiques familiales. Donneriez-vous votre accord ?

- Oui                                       Non                                       Ne sais pas

Dans tous les cas, pouvez-vous expliquer ?

.....  
.....  
.....

Si oui, par qui souhaiteriez-vous qu’ils soient contactés ?

- par vous-même  
 de manière anonyme, par un médecin de l’équipe de recherche ou le médecin spécialiste qui vous suit (après lui avoir remis la liste des personnes concernées)  
 par les deux (certains membres de votre famille par vous-même, d’autres par un médecin de l’équipe de recherche ou le médecin spécialiste)

Dans tous les cas, pouvez-vous expliquer ?

.....  
.....  
.....

18. **Génétique et Thérapeutique** : La loi de bioéthique (loi parue en juillet 2011 relative à la protection des personnes) et a récemment évolué sur l’information de la famille dans le cas de maladies génétiques graves pour lesquelles **il existe des traitements ou des mesures de prévention** : le patient chez qui l’on a diagnostiqué ce type de maladies génétiques est tenu d’informer les membres de sa famille, soit directement, soit en donnant les coordonnées de ceux-ci au médecin. Qu’en pensez-vous ?

Avantages (plusieurs réponses possibles) :

.....  
.....

Inconvénients (freins) (plusieurs réponses possibles) :

.....  
.....



19. Comment souhaiteriez-vous informer les membres de votre famille ?

- Par vous-même directement
- Par un médecin, en préservant l'anonymat du patient
- Par les deux (par vous-même pour certains proches, par un médecin pour les autres)

Dans tous les cas, pouvez-vous expliquer ?

.....  
.....

20. Quelles sont les meilleures conditions, selon vous, pour informer vous-même les membres de votre famille ?

En termes d'accompagnement (plusieurs réponses possibles) :

- Seul
- Avec l'aide du médecin qui a fait le diagnostic
- Avec l'aide d'une association de patients
- Avec l'aide de spécialistes de la génétique

En termes d'information (plusieurs réponses possibles) :

- Sans support d'information particulier
- Avec une lettre rédigée par le médecin sur la maladie, ses traitements et/ou mesures de prévention
- Avec des documents des associations de patients concernées

Dans quel délai, après le diagnostic, pensez-vous que cela doit-être fait ?

.....

Merci d'expliquez pourquoi :

.....  
.....

**Votre point de vue sur une participation active à la base de données  
(Questions 21 à 28)**

Il est envisagé, avec votre accord préalable, que vous puissiez saisir certaines de vos données personnelles afin d'enrichir la base de données et d'améliorer la connaissance de la maladie.

21. Seriez-vous disposé(e) à saisir des données vous concernant (ou concernant votre proche) ?

- Oui                                       Non                                       Ne sais pas

Précisez pourquoi :

.....  
.....

22. Préférez-vous saisir ces données :

Seul(e)

Accompagné(e) par un acteur de santé

23. Préférez-vous saisir ces données :

À domicile

Au centre de référence

L'un et l'autre

24. Quels types de données seriez-vous prêt à saisir dans ce système informatique ?

	Oui	Non	Ne sais pas	Expliquez :
Histoire de la maladie (diagnostic, prise en charge, ...)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Aptitudes physiques (marche, motricité, chute, ...)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Modifications du comportement (agitation, crises d'épilepsie, ...)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Difficultés d'alimentation (déglutition, fausses routes, complications pulmonaires, ...)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Données relatives à l'apprentissage (autonomie des gestes de la vie quotidienne, scolarité, accès à l'emploi, ...)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... ..... .....
Efficacité des traitements	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Effets secondaires des traitements / de la prise en charge	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Evaluation de la qualité de vie	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Evaluation de la douleur	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
Evaluation psychologique	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	..... .....
<b>AUTRE :</b> .....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	.....

25. A quelle fréquence seriez-vous disposé(e) à remplir de nouvelles données ?

- Une fois par semaine                       Une fois par mois  
 Deux fois par an                               Une fois par an

26. Selon vous, quels seraient les avantages de ce type de saisie individuelle par informatique (plusieurs réponses possibles) ?

- Etre actif face à la maladie  
 Etre impliqué dans la démarche de recherche  
 Agir sur la qualité de la prise en charge (la mienne, celle de mon enfant, de mon proche...)  
 Avoir un outil de suivi de l'évolution de la maladie et de sa prise en charge  
 Autre : .....

27. Selon vous, quels peuvent être les inconvénients d'une saisie individuelle (plusieurs réponses possibles) ?

.....  
 .....

28. Y-a-t-il des données que vous ne souhaiteriez pas saisir (plusieurs réponses possibles) ?

.....  
 .....

**De la base de données aux essais cliniques  
(Questions 29 à 36)**

Une base de données est un outil qui peut aider la recherche thérapeutique. Elle facilite le recrutement des participants aux essais cliniques.

29. Selon vous, qui est le mieux placé pour vous informer sur votre participation éventuelle à de futurs essais cliniques ?

**Classez, de 1 (le moins bien placé) à 5 (le mieux placé), les acteurs cités ci-dessous :**

	1	2	3	4	5
Centre de référence	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Médecin spécialiste	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Médecin traitant	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Association de patients	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Chercheurs	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Autres : .....	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

30. Quel(s) type(s) d'information souhaiteriez-vous recevoir concernant un essai clinique (plusieurs réponses possibles) ?

.....  
.....  
.....

31. Il existe des critères d'inclusion et d'exclusion (âge, sexe, évolution de la maladie, critères cliniques et biologiques ...) qui président à la mise en œuvre d'un essai clinique, le saviez-vous ?

- Oui  Non

Qu'en pensez-vous ?

.....  
.....

Vous avez eu connaissance d'un essai clinique et vous (ou votre proche) n'avez pas été choisi pour y participer.

Vous en a-t-on expliqué les raisons ?

- Oui, lesquelles : .....  
 Non

Comment l'avez-vous vécu ?

.....

32. Un essai clinique a été réalisé et vous (ou votre proche) n'y avez pas participé. Pour quelles raisons (plusieurs réponses possibles) ?

- Manque d'information  
 Crainte des conséquences de l'essai clinique  
précisez :  
 Conséquences physiques  
 Conséquences psychiques  
 Retentissement sur la qualité de vie de la famille  
 Autre : .....

- Essai situé dans un autre pays européen  
 Essai situé dans un pays non-européen  
 Protocole trop lourd (conditions matérielles, difficultés organisationnelles...)  
 Essai non adapté à votre cas (critères d'exclusion)  
 Autres .....

33. Pensez-vous que les associations de patients doivent intervenir dans la **rédaction et conception des protocoles** d'essai clinique ?

- Oui  Non  Ne sais pas

Si Oui, pourquoi ?

.....  
.....  
.....

Sur quels points ?

.....  
.....

Si Non, pourquoi ?

.....  
.....  
.....

34. **Dans la construction du protocole d'un essai clinique**, sur quels éléments une association de patients peut-elle, selon vous, intervenir ?

**Classez de 1 (le moins important) à 5 (le plus important), les éléments suivants :**

	<b>1</b>	<b>2</b>	<b>3</b>	<b>4</b>	<b>5</b>
Conditions de suivi : consultations et hospitalisations (lieux, modalités, hébergement des parents, ...)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Modalités d'organisation des examens (réalisation des examens à proximité du domicile et organisation de leur transfert vers le centre coordinateur de l'essai)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Conditions d'accès pour les patients à l'information sur les résultats de la recherche globaux et/ou personnels	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Prise en compte des conséquences sociales et financières (impact sur la scolarité, l'emploi, ...)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
Aide à la construction d'outils d'information et de consentement (adaptés aux patients)	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

35. Quel soutien l'association de patients peut-elle apporter aux patients et aux familles lors du **déroulement** de l'essai clinique (plusieurs réponses possibles) ?

.....  
.....  
.....  
.....