

# France - Expérience Patient des Parcours Mucoviscidose (ExPaParM- ACTION)

**BELLIS Gil, LOMBRAIL Pierre, PUGHEON BERTRAND Dominique**

Rapport généré le: February 10, 2026

Vous pouvez consulter notre catalogue de données sur: <https://data.ined.fr/index.php>

## Identifiant

### IDENTIFIANT

IE0276

### TITRE

Expérience Patient des Parcours Mucoviscidose (ExPaParM-ACTION)

### TITRE TRADUIT

Patient experience of the Cystic Fibrosis care pathways

### PAYS

Nom	Code (ISO)
France	FR

### RÉSUMÉ

L'enquête ExPaParM-ACTION recueille l'Expérience Patient liée à quatre types de parcours de soins « mucoviscidose », dans l'objectif de les améliorer. Elle englobe également deux pathologies dont le parcours de soin comprend une transplantation pulmonaire : l'emphysème-BPCO et la fibrose pulmonaire. Le recueil s'effectue via des questionnaires électroniques, auto-administrés et diffusés à deux échelles géographiques (l'une régionale, circonscrite à des centres hospitaliers spécialisés, et l'autre nationale).

L'enjeu est également de tester l'adaptation d'une base de questions pré-existante (ExPaParM), spécifique à l'Expérience Patient et couvrant l'intégralité du parcours de soins « mucoviscidose ». Six questionnaires ont ainsi été construits à partir de cette base, et l'ont alimentée en retour (création de nouveaux items et modules). L'objectif est double : anticiper les contraintes liées au ré-emploi de cette base générique (destinée à être un outil de support pour d'autres recherches), et expérimenter la gestion/structuration de la base de référence ExPaParM.

Cette enquête, volet opérationnel d'une recherche plus large (qui s'inscrit dans une démarche de recherche-action), relève d'une recherche participative impliquant des patients (ou des parents d'au moins un patient mineur) et des soignants (pneumologues, infirmières en pratiques avancées, infirmières coordinatrices en éducation thérapeutique [ETP]). Le partenariat inclut l'association VLM (Vaincre La Mucoviscidose), trois CRCM (Centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose), l'Ined (Institut national d'études démographiques), et un tiers-veilleur (association « Tous chercheurs »). Les six questionnaires définis par cette enquête ont généré des effectifs de répondants compris entre 33 et 304 répondants. L'approche semi-directive des questionnaires offre la possibilité d'affiner le recueil de l'Expérience Patient.

### TYPE DE DONNÉES

Données d'enquête

### UNITÉ D'ANALYSE

Individu

## Champ

### THÈMES

Thèmes	Thésaurus	URL
3. Espérance de vie, Mortalité, Santé	Ined	<a href="#">Link</a>
Maladies, troubles spécifiques et conditions médicales	CESSDA Topic Classification	<a href="#">Link</a>
Médicaments et traitements	CESSDA Topic Classification	<a href="#">Link</a>
Santé publique	CESSDA Topic Classification	<a href="#">Link</a>
Services et politiques de soins	CESSDA Topic Classification	<a href="#">Link</a>
Signes et symptômes ; conditions pathologiques	CESSDA Topic Classification	<a href="#">Link</a>

### MOTS-CLEFS

Mots-clefs	Thésaurus	URL
------------	-----------	-----

CHILD CARE	ELSST	<a href="#">Link</a>
CONDITIONS DE VIE	ELSST	<a href="#">Link</a>
DROITS ÉCONOMIQUES, SOCIAUX ET CULTURELS	ELSST	<a href="#">Link</a>
HISTOIRE MÉDICALE	ELSST	<a href="#">Link</a>
MALADIES CHRONIQUES	ELSST	<a href="#">Link</a>
MODE DE VIE ET SANTÉ	ELSST	<a href="#">Link</a>
PÉDIATRIE	ELSST	<a href="#">Link</a>
SANTE	ELSST	<a href="#">Link</a>
SOINS AUX PERSONNES À CHARGE	ELSST	<a href="#">Link</a>
SOINS MÉDICAUX	ELSST	<a href="#">Link</a>
TRAITEMENT THÉRAPEUTIQUE	ELSST	<a href="#">Link</a>
TRANSPLANTATION D'ORGANE	ELSST	<a href="#">Link</a>
ÉTAT DE SANTÉ	ELSST	<a href="#">Link</a>

## Couverture

### COUVERTURE GÉOGRAPHIQUE

- Régions parisienne / lyonnaise / nantaise.
- France (métropolitaine et outre-mer), via les réseaux sociaux de l'association VLM (Vaincre La Mucoviscidose).

### UNIVERS

La population principale se compose de sujets ayant la mucoviscidose, ou de leurs parents lorsque les patients sont mineurs. Une partie de l'enquête intègre également des patients majeurs, atteints d'emphysème-BPCO ou de fibrose pulmonaire, et qui ont suivi une transplantation pulmonaire sur la période 2017-2021 (traitement en commun avec la mucoviscidose).

Deux échelles géographiques président à l'enquête. La première est régionale. Les unités (régions parisienne / lyonnaise / nantaise) réunissent respectivement des patients suivis au sein d'un centre hospitalier donné. Il s'agit soit d'un Centre de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) soit d'une Unité de Transplantation Thoracique (UTT). La seconde échelle géographique est nationale (France métropolitaine et outre-mer), via les réseaux sociaux de l'association VLM (Vaincre La Mucoviscidose). Elle réunit des patients qui ne sont pas nécessairement rattachés à un même centre hospitalier, mais dont les données médicales sont à jour dans le Registre français de la mucoviscidose.

L'enquête liée à la mucoviscidose circonscrit six sous-populations. Les « parents d'au moins un patient mineur » et les « patients majeurs ayant suivi une transplantation pulmonaire sur la période 2017-2021 » constituent les quatre premières sous-populations, au sens qu'elles sont enquêtées aux deux échelles géographiques susmentionnées. Les individus d'une sous-population donnée ne sont probablement pas enquêtés deux fois, au sens que la probabilité est faible qu'un individu répondent à deux questionnaires.

L'échelle régionale prévaut pour la cinquième sous-population, qui est composée de patients majeurs et traités par une trithérapie innovante (elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor, distribué sous le nom commercial de « Kaftrio », et disponible en France depuis juillet 2021 via une Autorisation de Mise sur le Marché, ou antérieurement via des protocoles dérogatoires). L'échelle nationale prévaut pour la sixième sous-population, qui est composée de patients transférés dans un CRCM adulte (depuis un centre pédiatrique ou autres).

## Producteurs et financeurs

### EQUIPE DE RECHERCHE

Nom	Affiliation
BELLIS Gil	Ined
LOMBRAIL Pierre	Laboratoire Educations et Pratiques de Santé, LEPS (Université de Paris / UR3412)
POUGHEON BERTRAND Dominique	Laboratoire Educations et Pratiques de Santé, LEPS (Université de Paris / UR3412)

## PRODUCTEUR(S)

Nom	Rôle
Vaincre la Mucoviscidose	Maîtrise d'ouvrage et suivi et coordination des enquêtes nationales
Institut national d'études démographiques	Maîtrise d'œuvre
CRCM (Centres de Référence Maladies Rares) de Lyon	Suivi et coordination de l'enquête régionale de Lyon
Unité de Transplantation Thoracique (UTT), CHU de Nantes	Suivi et coordination de l'enquête régionale de Nantes
CRCM (Centres de Référence Maladies Rares) de Versailles	Suivi et coordination de l'enquête régionale de Versailles

## FINANCEUR(S)

Nom
Agence nationale de la recherche
Agence de la biomédecine

## CONTRIBUTIONS ET REMERCIEMENTS

Nom	Affiliation	Rôle
JAUTROU Henri	Ined	Exploitation de l'enquête
TAILLANDIER Lou	Ined	Mise en forme et maquettage du questionnaire, Exploitation de l'enquête
QUITTERIE Reynaud	CRCM (Centres de Référence Maladies Rares) de Lyon	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
DUPERRAY Isabelle	CRCM (Centres de Référence Maladies Rares) de Lyon	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
DANNER-BOUCHER Isabelle	Unité de Transplantation Thoracique (UTT), CHU de Nantes	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
PERRIN Amelie	Unité de Transplantation Thoracique (UTT), CHU de Nantes	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
CORMERAIS Sophie	Unité de Transplantation Thoracique (UTT), CHU de Nantes	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
GABSI Asma	CRCM (Centres de Référence Maladies Rares) de Versailles	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
NIDBOUHOU Delphine	CRCM (Centres de Référence Maladies Rares) de Versailles	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
GABORIT Marie	Vaincre La Mucoviscidose	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
LOMPAS Oksana	Vaincre La Mucoviscidose	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
SENECAL Nathalie	Vaincre La Mucoviscidose	Conception, test et mise en œuvre de l'un des questionnaires
MATHIEU Marion	Association « Tous chercheurs »	Coordination des équipes via le groupe national (Tiers veilleur)
CONESA Magali	Vaincre La Mucoviscidose	Coordination des équipes via le groupe national (Tiers veilleur)
GIRARD Florent	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête
FRENOD Cécile	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête et coordination des équipes via le groupe national

DEVORET Stéphane	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête
DURAND Alexandrine	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête et coordination des équipes via le groupe national
GIRARD Florent	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête
HEYMES-ROYER Christine	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête et coordination des équipes via le groupe national
LE BRETON Nicolas	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête et coordination des équipes via le groupe national
ORY Philippe	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête et coordination des équipes via le groupe national
RUFFIER Estelle	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête
SURAUULT Antoine	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête
SZYMKOWIAK Valérie	Patients partenaires du LEPS (Université de Paris / UR3412)	Conception de l'un des questionnaires de l'enquête

## Echantillonnage

### PROCÉDURE D'ÉCHANTILLONNAGE

Non probabiliste : disponibilité

\*Enquêtes régionales :

Les échantillons sont constitués de patients majeurs / parents d'au moins un patient mineur, suivis par un CRCM / UTT de Nantes, et correspondant aux critères d'inclusion respectifs des diverses enquêtes. L'échantillonnage relève d'une participation volontaire des patients disponibles dans les populations éligibles, ou de leurs parents (dans le cas des patients mineurs).

Critère d'exclusion : rares patients dont l'adresse électronique (ou celle de leurs parents) n'est pas renseignée dans les annuaires des CRCM / UTT de Nantes.

Compte tenu des données disponibles dans les registres de ces centres hospitaliers à la date des enquêtes, la population éligible est :

- 80 familles d'au moins un patient mineur. Le terme « familles » est utilisé ici, car plusieurs parents d'un même enfant peuvent être contactés, mais qu'un seul questionnaire est collecté. Lors de la construction technique du questionnaire, il convient d'anticiper le fait qu'une même famille peut être composée de plusieurs enfants atteints, et décider si un seul ou plusieurs questionnaires doivent être collectés (ou si des modules spécifiques doivent être ajoutés).
- 80 transplantés pulmonaires sur la période 2017-2021 (étiologie de la greffe : mucoviscidose / emphysème-BPCO / fibrose pulmonaire).
- 258 utilisateurs d'une trithérapie innovante (elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor).

\*Enquêtes nationales :

Les échantillons sont constitués de patients, ou de leurs parents (dans le cas des patients mineurs) qui répondent à l'appel à enquêtes diffusé par l'association VLM (Vaincre La Mucoviscidose), via ses comptes de réseaux sociaux. Les répondants sont ensuite redirigés, en fonction de leur profil et des critères d'inclusion relatifs aux diverses enquêtes, vers les questionnaires appropriés. L'objectif est de recueillir une vue d'ensemble des différents usagers de VLM, sans recherche particulière de représentativité.

Les effectifs sont les suivants :

- 304 familles d'au moins un patient mineur. Le terme « familles » est utilisé ici, car plusieurs parents d'un même enfant peuvent être contactés, mais qu'un seul questionnaire est collecté. Lors de la construction technique du questionnaire, il convient par ailleurs d'anticiper le fait qu'une même famille peut être composée de plusieurs enfants atteints, et décider si un seul ou plusieurs questionnaires doivent être collectés (ou si des modules spécifiques doivent être ajoutés). En l'occurrence, les 304 familles comprennent 313 enfants atteints (étant donné les fratries d'enfants atteints).
- 33 transplantés pulmonaires (entre 2005 et 2023).

- 81 patients transférés d'un CRCM pédiatrique vers un CRCM adulte.

### TAUX DE RÉPONSE

Le taux de réponse est calculé à partir du nombre de répondants ayant rempli le premier module du questionnaire, soit le module « Situation personnelle ».

Le nombre de « questionnaires complets » ne comprend pas le dernier module du questionnaire, relatif à l'avis des patients / parents sur le questionnaire. Le taux d'attrition est donc calculé sur le nombre de questionnaires complets sans considérer le dernier module. Toutefois, l'intégration de ce dernier module n'induirait pas de changement majeur (la différence d'effectif étant marginale : un individu le plus souvent, voire deux au maximum), à l'exception du questionnaire dédié aux parents, et distribué à l'échelle nationale par VLM (différence de 16 individus).

- Familles d'au moins un patient mineur :

o CRCM. Familles éligibles : 80, nombre de familles enquêtées : 51, taux de réponse : 64%, nombre de questionnaires complets : 41, taux d'attrition : 20%.

o VLM. Familles éligibles : non applicable, nombre de familles enquêtées : 304, taux de réponse : non applicable, nombre de questionnaires complets : 231, taux d'attrition : 24%.

- Patients ayant suivi une transplantation pulmonaire :

o CRCM (mucoviscidose / emphysème-BPCO / fibrose pulmonaire). Patients éligibles : 80 (20 mucoviscidose = 25%, 52 emphysème-BPCO = 65%, 8 fibrose pulmonaire = 10%), nombre de personnes enquêtées : 59 (sans différence notable dans le rapport des proportions entre les pathologies), taux de réponse : 77%, nombre de questionnaires complets : 50 (sans différence notable dans le rapport des proportions entre les pathologies), taux d'attrition : 15%.

o VLM. Patients éligibles : non applicable, nombre de personnes enquêtées : 33, taux de réponse : non applicable, nombre de questionnaires complets : 23, taux d'attrition : 30%.

- Patients traités par une trithérapie innovante (elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor), CRCM. Patients éligibles : 258, nombre de personnes enquêtées : 84, taux de réponse : 33%, nombre de questionnaires complets : 77, taux d'attrition : 8%.

- Patients transférés dans un CRCM adulte, VLM. Patients éligibles : non applicable, nombre de personnes enquêtées : 81, taux de réponse : non applicable, nombre de questionnaires complets : 70, taux d'attrition : 14%.

Pour deux des trois enquêtes régionales (CRCM), les forts taux de réponse (de 64 à 77%) s'expliquent probablement par la proximité des enquêtés avec les diffuseurs de l'enquête, ainsi que par leur sensibilisation à l'enquête, avant et durant la collecte (cf. onglet "Informations notables sur la collecte").

Quant aux taux d'attrition des trois enquêtes régionales, il n'est pas exclu que la longueur des questionnaires est jouée sur l'abandon des répondants. Cela semble se confirmer dans le cas de l'enquête sur les familles d'au moins un patient mineur (20%, pour une durée de 30 à 45'), mais pas dans le cas des deux autres enquêtes (8 et 15%, pour une durée de 30'). Il faut par ailleurs constater que le taux d'attrition le plus bas (8%) correspond paradoxalement à l'enquête ayant le plus faible taux de réponse (33%).

Dans le cas des enquêtes nationales (VLM), la différence de taux d'attrition (24 et 30%, contre 14%) s'explique probablement par la différence de longueur des questionnaires. Le questionnaire dédié aux parents d'au moins un patient mineur étant de longueur variable (8 modules pour les parents d'enfants < 12 ans, 4 modules pour ceux d'enfants > 12 ans), il n'est pas exclu que le taux d'attrition (14%) recouvre des différences.

### PONDÉRATION

L'enquête n'implique pas de pondération.

## Collecte des données

### DATES DE COLLECTE

Début	Fin	Cycle
2024-05-02	2024-07-16	Questionnaire lyonnais
2024-06-21	2024-10-02	Questionnaire versaillais
2024-01-12	2024-10-02	Questionnaire nantais
2024-05-16	2024-12-12	Questionnaires nationaux

### FRÉQUENCE DE LA COLLECTE

L'enquête par questionnaire a été conduite en une seule fois, de janvier 2024 à décembre 2024.

## PÉRIODE COUVERTE PAR LES DONNÉES

Début	Fin
2024-01-12	2024-12-12

## MODE DE COLLECTE

Questionnaire auto-administré : par Internet (CAWI)

La population cible est invitée à répondre à un questionnaire électronique disponible en ligne. La durée estimée de remplissage varie en fonction des terrains (les questionnaires étant spécifiques aux terrains), avec une fourchette comprise entre 20 et 45 minutes (le détail pour chaque questionnaire est fourni ci-après).

Le questionnaire sécurisé est construit sur Lime Survey. Son accès s'effectue via une URL et un pseudonyme dont la création est laissée à la discrétion des patients/parents. Ces derniers voient ainsi leur identité anonymisée, tout en ayant la possibilité de compléter le questionnaire en plusieurs étapes (arrêt éventuel, avec reprise ultérieure). Le questionnaire étant relativement long, il s'agit de limiter l'attrition due à la lassitude. L'une des contreparties est le risque d'oubli du pseudonyme (ou problèmes assimilés), comme en atteste des doublons issus de rares patients/parents. Afin de limiter le nombre de questionnaires à apurer, le message d'invitation à l'enquête peut alerter le destinataire sur l'importance d'utiliser un pseudonyme fiable.

## INFORMATIONS SUPPLÉMENTAIRES SUR LA COLLECTE

L'étude est conforme à la méthodologie de recherche MR004 et a obtenu l'autorisation réglementaire du Comité d'Évaluation Éthique de l'INSERM - CEEI/IRB n°23-1033 délivrée le 5/12/2023.

L'invitation à répondre au questionnaire s'effectue par message électronique, puis deux relances non nominatives s'ensuivent.

En parallèle de ces sollicitations, certains terrains d'enquêtes relevant de l'échelle régionale (CRCM) permettent de sensibiliser les patients/parents à l'existence de l'enquête (affiches et tracts en salle d'attente), de répondre à leurs questions, et de les relancer à l'occasion des consultations, d'échanges téléphoniques, voire d'appels spécifiquement dévolus à cet effet. Les supports de sensibilisation sont exposés au public avant le premier message électronique de sollicitation.

Les messages électroniques des patients/parents sont obtenus, pour les enquêtes régionales, à partir de la base de contacts des CRCM, et pour les enquêtes nationales à partir du Registre français de la mucoviscidose. Ils sont envoyés, dans le cas des enquêtes régionales, par les équipes du CRCM, et dans le cas des enquêtes nationales par le pôle Recherche de VLM.

## RESPONSABLE(S) DE LA COLLECTE

Nom	Sigle
Institut national d'études démographiques	Ined

## Questionnaires

## INSTRUMENT DE COLLECTE

Questionnaire semi-structuré

Ci-dessous, la présentation des six questionnaires est ordonnée en fonction du type d'individu enquêté, puis de l'échelle géographique de l'enquête. Les questionnaires comprennent quelques questions ouvertes.

Parents d'au moins un patient mineur :

- CRCM de la région parisienne, questionnaire composé de 16 modules (durée évaluée entre 30 et 45 minutes) :

\* Situation personnelle : 12 questions, dont des questions sur le nombre d'enfants atteints de mucoviscidose, l'éventualité de remplir le questionnaire pour chacun d'entre eux (et sinon pour lequel en priorité).

\* Annonce diagnostique : 14 questions sur les informations factuelles délivrées / l'expertise des professionnels de santé, le vécu des parents / l'impact sur leur vie / le soutien dont ils ont bénéficié, l'information médicale et générique délivrée, l'histoire clinique de la famille, le désir d'une nouvelle grossesse.

\* Les traitements au domicile : 17 questions sur les traitements (place au quotidien et nature de cas traitements), l'autonomie de l'enfant, le degré de vigilance / prise en charge par le parent.

\* Soins ville - hôpital : 4 questions sur l'orientation médicale vers un soignant de ville, la fonction de ce dernier et ses compétences pour la mucoviscidose (telles que ressenties par le parent), la transmission d'informations entre les soignants de ville et le CRCM.

\* Infirmier·ères libéral·es : 4 questions sur le recours à ce type de professionnel·les, la nature des soins, la correspondance entre l'organisation des professionnel·les et les besoins du traitement.

\* Kinésithérapeute en ville : 5 questions sur le nombre hebdomadaire de séances de kinésithérapie respiratoire, le degré d'autonomie de l'enfant (observance et déroulé des séances), la perception de la kinésithérapie respiratoire par les parents, le degré d'intégration de la kinésithérapie dans l'emploi du temps (échelle de Likert), le ressenti de la place de la

kinésithérapie dans la vie de la famille.

- \* ORL : 4 questions sur la nature des problèmes, une éventuelle intervention chirurgicale, les spécialistes consultés et la fréquence des consultations (ORL / autres spécialistes).
- \* Soins ville - hôpital / Pharmacie : 2 questions sur la transmission directe (du CRCM à la pharmacie habituelle) des prescriptions établies à distance des visites, les situations pour lesquelles la pharmacie facilite l'organisation quotidienne de la famille.
- \* Alimentation : 20 questions sur le contenu alimentaire (et les compléments alimentaires / supplémentation nutritionnelle), l'organisation, le vécu de l'enfant, l'écoute par les professionnels.
- \* Éducation thérapeutique : 7 questions sur les thèmes suivis, l'offre proposée par le CRCM et la présence de parent / patient partenaire acteur.
- \* Accompagnement psychologique : 7 questions, y compris sur l'accompagnement de l'entourage.
- \* Indépendance financière / droits sociaux : 9 questions sur la reconnaissance du handicap (« accès théorique aux droits sociaux », versus « effectivité des droits »), l'accompagnement dans les démarches et la charge mentale induite par ces droits, la perception du parent à propos de ces droits, le reste à charge, la situation financière.
- \* Indépendance financière / logement : 2 questions sur le déménagement suite à l'annonce de la mucoviscidose.
- \* Indépendance financière / Maladie et emploi : 9 questions sur l'aménagement professionnel et l'impact de la pathologie (parcours professionnel, revenus), la perception par l'employeur.
- \* Relations sociales et avec l'école : 4 questions.
- \* Avis sur le questionnaire : 8 questions sur la pertinence / l'utilité / la durée du questionnaire, la clarté des questions et du vocabulaire, la nature des difficultés rencontrées, les aspects manquants et les suggestions plus générales.
- VLM (échelle nationale), questionnaire composé de 4 à 8 modules (durée évaluée de 10 à 20 minutes) :  
Modules spécifiques aux parents d'enfants < 12 ans :
  - \* Diagnostic suite au dépistage néonatal : 7 questions sur ledit diagnostic, les signes durant la maternité, l'autonomie des patients en matière d'information médicale et de sources.
  - \* Diagnostic sur symptômes : 26 questions sur ledit diagnostic (symptômes anté/post-natals), l'histoire clinique de la famille, l'autonomie des patients en matière d'information médicale et de sources, les tests / opérations / traitements pratiqués, l'encadrement par des experts et l'annonce du diagnostic.
  - \* Vécu du diagnostic et mise en route des traitements : 13 questions, y compris sur les suggestions d'amélioration, le soutien psychologique par les proches (et de ces proches eux-mêmes), l'observance des consignes de traitements, l'information médicale et génétique délivrée.
  - \* Après le diagnostic : 13 questions sur la présence d'une consultation génétique post-diagnostic (modes de transmission de la maladie / modalités existantes pour un éventuel nouvel enfant), la sensibilisation des membres élargis de la famille nucléaire (transmission d'information sur les modes de transmission, consultation de conseil génétique), la natalité/grossesse après l'enfant malade (et la modalité médicale) ou la raison d'une absence de natalité/grossesse, le désir d'un nouvel enfant ou la raison d'une absence de désir d'enfant.Modules spécifiques aux parents d'enfants > 12 ans :
  - \* Préparation à la transition d'un CRCM pédiatrique à un CRCM adulte : 13 questions sur la proposition éventuelle de rencontres avec d'autres parents d'adolescents / jeunes adultes, l'évocation éventuelle du programme de préparation à la transition (et, le cas échéant, l'entrée effective dans ce programme et ses effets), l'ETP (thèmes enseignés / utilité / thèmes que l'enfant souhaiterait voir ou revoir / définition de l'ETP par le parent), la rencontre effective de l'enfant avec les équipes du CRCM adulte (modalités, ressenti de l'accueil par l'enfant), souhait éventuel d'un accompagnement différent lors de la transition.Modules communs :
  - \* Situation personnelle du parent : 8 questions, dont l'âge de l'enfant.
  - \* Droits sociaux : 14 questions sur la reconnaissance du handicap (« accès théorique aux droits sociaux », versus « effectivité des droits »), l'accompagnement dans les démarches et la charge mentale induite par ces droits, la perception du parent à propos de ces droits, le reste à charge, la situation financière et l'accès au crédit bancaire.
  - \* Avis sur le questionnaire : 8 questions sur la pertinence / l'utilité / la durée du questionnaire, la clarté des questions et du vocabulaire, la nature des difficultés rencontrées, les aspects manquants et les suggestions plus générales.

Patients ayant suivi une transplantation pulmonaire sur la période 2017-2021 :

- CRCM de la région nantaise, questionnaire composé de 18 modules (durée évaluée à 30 minutes), adressé à des patients ayant la mucoviscidose / emphysème-BPCO / fibrose pulmonaire :
  - \* Situation personnelle et familiale : 6 questions.
  - \* Votre greffe : 13 questions sur la maladie initiale et les autres organes greffés, le suivi pré-greffe (ville / hôpital), les modalités / délais de la greffe et de son suivi (dont la « super urgence »), le délai de diagnostic, le pneumologue en charge du suivi avant le diagnostic (ville / hôpital), les hospitalisations antérieures et leur nature (réanimation).
  - \* Suivi post-greffe : 26 questions sur l'organisation du suivi (centre de greffe / relais, fréquence des consultations, etc.), la distance d'habitation par rapport au centre (greffe / relais), les contacts avec le centre (greffe / relais) et la satisfaction (qualité des contacts, résolution des problèmes, délai), les outils de suivi à domicile (spiromètre, gestion et transmission des données), la réaction en cas de symptômes, l'existence de complications, les examens invasifs/difficiles.
  - \* Relation avec les soignants de ville : 3 questions sur les professionnels consultés, leurs recommandations par le centre, et

le recours effectif à ces professionnels (infirmier·ères, kinésithérapeutes, laboratoire d'analyse, médecin traitant, pharmacie, spécialistes). Ce module filtre l'accès aux 5 modules suivants (le 6ème module, intitulé « Spécialistes », est présenté à l'ensemble des répondants).

- \* Infirmier·ères libéral·es : 2 questions sur les motifs de recours et les suggestions d'amélioration du suivi.
- \* Kinésithérapeutes de ville : 2 questions sur les raisons du recours et les suggestions d'amélioration du suivi.
- \* Laboratoire d'analyse : 4 questions sur les immunosuppresseurs (fréquence des bilans sanguins, réception et interprétation des résultats, adaptation des dosages).
- \* Médecin traitant : 2 questions sur les motifs de consultation et les suggestions d'amélioration du suivi.
- \* Pharmacie : 1 question sur l'aide apportée par la pharmacie dans l'organisation des soins au quotidien.
- \* Spécialistes : 5 questions sur le suivi par des spécialistes (fréquence, réalisation effective, difficultés, suggestions d'amélioration).
- \* Relation avec l'équipe du centre de transplantation : 1 question.
- \* Éducation thérapeutique : 7 questions sur les thèmes abordés, l'utilité perçue de l'ETP, les thèmes attendus pour les futures séances, la réaction en cas de symptômes (dont la communication avec le centre et l'auto-adaptation des traitements).
- \* Retour à domicile - gestion des médicaments : 4 questions sur la remise post-greffe d'un plan de prise des médicaments, son utilité actuelle, la préparation à la sortie d'hospitalisation, les suggestions d'amélioration.
- \* Médicaments et traitements : 12 questions sur la prise et l'adaptation de traitements invasifs (discussion avec le médecin, allègement / arrêt autonome, observance, effets secondaires), l'automédication, les médecines complémentaires.
- \* Charge des traitements à domicile : 4 questions sur le volume de traitements, leur lourdeur, l'organisation quotidienne, le ressenti de maîtrise à domicile.
- \* Ce qui a changé avec la greffe : 7 questions sur le changement physique et psychologique post-greffe, les nouvelles activités possibles, le rapport (post-greffe / traitements) au corps et aux cicatrices, l'évaluation globale du ressenti post-greffe.
- \* Suggestions dans la prise en charge : 2 questions ouvertes (avant / après la sortie d'hôpital).
- \* Avis sur le questionnaire : 9 questions sur la pertinence / l'utilité / la durée du questionnaire, la clarté des questions et du vocabulaire, la nature des difficultés rencontrées, les aspects manquants et les suggestions plus générales, la répartition entre questions fermées et ouvertes.
- VLM (échelle nationale), questionnaire composé de 16 modules (durée évaluée à 20 minutes), adressé à des patients ayant la mucoviscidose :
  - \* Situation personnelle : 7 questions.
  - \* Greffe : 3 questions sur la nature et l'année de la greffe, sur les autres organes greffés.
  - \* Centre(s) de suivi avant et après la greffe : 7 questions sur le type de centre de suivi (CRCM, hôpital), les lieux de suivi avant/après greffe, la distance au centre de suivi actuel.
  - \* Avant la greffe : 16 questions sur la relation avec les professionnels du CRCM, les impacts personnels et sociaux de l'aggravation de l'état de santé, l'accompagnement pour les démarches (réduction d'activité professionnelle / études), l'impact sur les proches.
  - \* Accompagnement psychologique avant la greffe : 13 questions sur les inquiétudes, l'accès à un psychologue (et le statut institutionnel de ce dernier), les modalités du suivi psychologique, la perception de l'utilité de l'accompagnement.
  - \* Entrée dans le parcours de greffe : 16 questions sur l'annonce et la réaction face à la nécessité de la greffe, l'information reçue et sa qualité (parcours, fertilité et prélèvement de sperme, etc.), la rencontre avec des patients greffés, la préparation mentale et l'assistance psychologique, la durée d'attente de la greffe, les projets de vie.
  - \* Relations et rencontres pendant l'attente de greffe : 5 questions sur les liens avec l'équipe soignante et les échanges avec d'autres patients greffés.
  - \* Transition vers la greffe en hospitalisation : 6 questions sur l'attente de la greffe (en cas d'hospitalisation pré-greffe), l'appel à la greffe / le vécu émotionnel / la préparation.
  - \* L'appel à la greffe depuis le domicile : 10 questions sur l'appel à la greffe et l'organisation du transfert à l'hôpital, le vécu émotionnel (y compris à l'arrivée à l'hôpital), la préparation et l'accompagnement, les « faux appels » à la greffe.
  - \* L'intervention de la greffe : 10 questions sur l'information reçue (en post-opératoire) à propos du bon déroulé de l'intervention, le vécu de l'intervention au moment du réveil (douleur, angoisses, etc.), les améliorations possibles pour le patient et les proches, la durée de la réanimation.
  - \* Relation avec l'équipe du centre de suivi : 2 questions.
  - \* Relation avec d'autres patients depuis la greffe : 6 questions sur les échanges avec d'autres greffés, les sollicitations pour témoigner auprès de patients en attente.
  - \* Les proches et la greffe : 14 questions sur l'aide et l'implication des proches, leur vécu, les informations / accompagnements dont ils ont bénéficié, l'impact économique pour eux, les événements familiaux post-greffe et la relation contemporaine aux proches.
  - \* Droits sociaux : 10 questions relatives à la reconnaissance du handicap (« accès théorique aux droits sociaux », versus « effectivité des droits »), l'accompagnement dans les démarches et la charge mentale induite par ces droits, l'effet du manque d'aide, les reste à charge.
  - \* Situation financière : 3 questions sur la solidarité familiale, les perspectives d'amélioration des revenus, les difficultés d'accès au crédit.

\*Avis sur le questionnaire : 8 questions sur la pertinence / l'utilité / la durée du questionnaire, la clarté des questions et du vocabulaire, la nature des difficultés rencontrées, les aspects manquants et les suggestions plus générales.

Patients traités par une trithérapie innovante, CRCM de la région lyonnaise, questionnaire composé de 20 modules (durée évaluée à 30 minutes) :

\* Date de prescription initiale de Kaftrio : 1 question.

\* Situation personnelle : 8 questions.

\* Suivi à distance par le CRCM : 13 questions sur le contact en distanciel avec les CRCM (type d'interlocuteurs contactés au CRCM, modalités / fréquence / motifs des contacts, la résolution des problèmes), l'usage d'objets de mesure (lors du suivi personnel / lors des téléconsultations), les téléconsultations (motifs de recours auprès d'un médecin, expérience vécue, souhait de rencontrer d'autres professionnels que les médecins / kinésithérapeutes / infirmier-es).

\* Consultations physiques au CRCM : 9 questions sur les difficultés d'organisation des consultations (degré / motifs), la réception avant consultation du programme complet des visites, la fréquence respective de rencontres avec 9 types de professionnels, la fréquence respective de réalisation de 9 types d'actes médicaux, les difficultés logistiques rencontrées lors des consultations, les suggestions pour la prise en charge.

\* Relation avec le CRCM : 17 questions sur l'expertise du patient (degré, lacune en termes de thématiques), qualité des contacts avec le CRCM (information reçue, communications / relations / sentiment de reconnaissance, etc.), les tensions (souhait de changer de médecin / mauvaises expériences), la satisfaction des soins, et l'impact du Kaftrio sur la qualité des contacts.

\* Infirmier-es libéral-es : 6 questions sur leur compétence (telle que perçue par le patient), le degré d'adaptation de leur organisation (aux besoins des traitements / à la vie quotidienne du patient), les raisons en cas d'inadéquation.

\* Kinésithérapeute de ville : 9 questions sur les séances (fréquence / lieu), les séances réalisées en autonomie (fréquence / techniques), la kinésithérapie respiratoire (charge dans les soins à domicile / perception par le patient) et l'intérêt de la prise en charge en libéral depuis le Kaftrio.

\* Médecin généraliste : 5 questions sur l'existence d'un médecin traitant et les raisons d'une éventuelle absence de suivi, la consultation (fréquence / motifs), les suggestions d'amélioration.

\* Pharmacie : 2 questions (degré de facilitation de l'organisation quotidienne, types de soutien apporté).

\* Médecins spécialistes (hors CRCM) : 2 questions sur la satisfaction du suivi et les difficultés rencontrées.

\* Partage d'informations : 2 questions sur la qualité des transmissions entre le CRCM et les professionnels hors CRCM (spécialistes non mucoviscidose / médecins traitants et auxiliaires médicaux).

\* Médecines complémentaires : 5 questions sur le recours à ces pratiques, les types de médecines utilisées, la communication avec le CRCM à ce sujet, leurs effets bénéfiques (question ouverte).

\* Perception de l'évolution de l'état de santé : 7 questions sur l'état de santé perçu, les effets du Kaftrio (positifs / négatifs) et leur correspondance avec les espoirs antérieurs, les indicateurs cliniques (spirométrie / anthropométrie), et les suggestions pour l'amélioration de l'état de santé.

\* Traitements et soins au quotidien : 14 questions sur la charge en soins, le temps consacré aux traitements, les échanges avec le médecin du CRCM sur les difficultés, l'adaptation ou l'interruption de traitements (par le médecin / en autonomie, type de traitements, effets de l'interruption), les hospitalisations / recours aux urgences (motifs / ressentis).

\* Accompagnement psychologique : 10 questions sur la possibilité d'évoquer ses inquiétudes, le type de professionnel à l'écoute, la proposition de rencontrer un-e psychologue au CRCM, l'accessibilité au soutien psychologique au CRCM, le suivi psychologique hors CRCM, la capacité du CRCM à répondre aux besoins en cas de grande difficulté.

\* Accompagnement psychologique des proches : 7 questions sur le besoin de soutien de la part des proches, l'expression de ce besoin auprès du service hospitalier, sa prise en compte et avec quels effets.

\* Échanges avec d'autres patients : 3 questions sur l'existence de contacts, les raisons de l'absence de lien, les modalités de rencontre.

\* Droits sociaux : 5 questions sur l'accès aux aides, leur suffisance (ou, en cas d'insuffisance, les raisons), la charge mentale associée aux démarches, les difficultés financières liées au parcours de soins.

\* Situation financière : 2 questions (niveau d'indépendance financière, question ouverte).

\* Avis sur le questionnaire : 8 questions sur la pertinence / l'utilité / la durée du questionnaire, la clarté des questions et du vocabulaire, la nature des difficultés rencontrées, les aspects manquants et les suggestions plus générales.

Patients transférés dans un CRCM adulte (depuis un centre pédiatrique ou autres), VLM (échelle nationale), questionnaire composé de 8 à 9 modules (durée évaluée à 20 minutes) :

\* Situation personnelle : 10 questions.

\* Arrivée au CRCM adulte : 12 questions sur l'ancienneté dans le nouveau CRCM (moins de 2 ans / 2-5 ans / plus de 5 ans), le type de suivi médical antérieur à l'arrivée au CRCM (centre pédiatrique / centre adulte / hors CRCM), les conditions et le vécu de la transition (préparation / aspects administratif et psychologique, etc.), la source de l'information sur l'existence du nouveau CRCM, les autres types de changements de vie.

Module spécifique aux « nouveaux » arrivants (moins de 6 ans) dans un CRCM :

\* Relation avec le nouveau CRCM : 2 questions sur la relation avec l'équipe / le médecin du nouveau CRCM.

- \* Traitement au nouveau CRCM : 2 questions sur les mesures adoptées lors de l'arrivée dans le nouveau CRCM (transfert du dossier complet / bilan clinique / changement de traitements) et sur la progressivité de ces mesures.
- \* Nouvelles habitudes en arrivant dans ce CRCM : 3 questions sur les autres changements d'habitudes (cf. module précédent) et leur évaluation par le patient.
- \* Vos proches dans le nouveau CRCM : 6 questions sur l'implications des proches, leur vécu et celui du patient.
- \* Droits sociaux : 10 questions sur la reconnaissance du handicap (« accès théorique aux droits sociaux », versus « effectivité des droits »), l'accompagnement dans les démarches et la charge mentale induite par ces droits, le reste à charge, la perception du patient à propos de ces droits, le vécu de son statut.
- \* Situation financière : 4 questions.
- \* Avis sur le questionnaire : 9 questions sur la pertinence / l'utilité / la durée du questionnaire, la clarté des questions et du vocabulaire, la nature des difficultés rencontrées, les aspects manquants et les suggestions plus générales, la répartition entre questions fermées et ouvertes.

Ces questionnaires ont été élaborés à partir de la base de question ExPaParM, un ensemble modulaire dédié à la construction de questionnaires thématiques ciblés qui répondent à l'objectif de chaque utilisateur. Les modules couvrent l'intégralité du parcours de soins, pour chaque type de patients/parents, depuis le dépistage néonatal (expérience des parents) et le diagnostic jusqu'au suivi post-transplantation pulmonaire, ainsi que les événements de la vie du patient et des parents d'enfants malades (emploi, logement, revenus, droits sociaux...). La modularité, lors de la construction d'enquête ciblée, est facilitée par une structure de type « banque d'items indexés par domaine », ces items étant récupérables lors du processus de construction.

Ensuite, l'adaptation de la base de question initiale porte sur le vocabulaire, le libellé des réponses proposées et les étapes des parcours de soin. Si un thème (module) ou un item (question) est manquant dans la base, il est alors créé. En dernière étape, les questionnaires ainsi établis sont testés, puis modifiés en conséquence.

L'ensemble du processus s'inscrit dans une recherche-action participative (y compris le test des questionnaires), qui implique notamment des patients/parents et des professionnels de santé. Leur recrutement s'appuie sur des collectifs existants ou sur une procédure qui a été définie précédemment dans une autre recherche (programme PHARE-M). Un séminaire de formation est organisé autour de la base ExPaParM, ainsi que des principes et méthodes de la recherche-action. Puis la base est adaptée et progressivement affinée par des comités d'études, dans les terrains d'étude respectifs. Ce descriptif se limite ici à la mise en place d'une enquête pour un seul terrain, et de plus amples informations sur une enquête impliquant plusieurs terrains se trouvent dans la littérature académique publiée dans le cadre d'ExPaParM-ACTION. L'enquête a ainsi impliqué un groupe national de recherche (ayant notamment coordonné les différents terrains, et des focus groupes pour des retours d'expérience), ainsi qu'un tiers veilleur (association « Tous chercheurs »). Ce dernier a notamment :

- assuré une observation participante au sein du groupe national et des comités d'études constitués pour chacun des terrains,
- soutenu la participation effective des patients / parents dans le groupe national et les comités d'études,
- évalué cette participation (via son observation participante et des entretiens individuels / collectifs),
- valorisé ses réflexions (colloque sur la recherche participative et autres types de valorisation), en partenariat avec les patients / parents.

Au total, la collecte a recueilli 612 questionnaires (calcul effectué à partir des effectifs de questionnaires dont le premier module est complet, soit le module « Situation personnelle ») :

- Parents d'au moins un patient mineur :
    - o CRCM : 51 questionnaires.
    - o VLM : 304 questionnaires (pour 313 enfants atteints, étant donné les fratries d'enfants atteints).
  - Adultes ayant suivi une transplantation pulmonaire :
    - o CRCM : 59 questionnaires (dont emphysème-BPCO / fibrose pulmonaire).
    - o VLM : 33 questionnaires.
  - Adultes traités par un médicament innovant / CRCM : 84 questionnaires.
  - Patients transférés dans un CRCM adulte (depuis un centre pédiatrique ou autres) / VLM : 81 questionnaires.
- Certains questionnaires ont été abandonnés avant la fin. Toutes les questions étaient obligatoires, à l'exception de certaines questions ouvertes et du cas plus spécifique des questions filtrées. Pour les réponses multiples, les modalités qui n'ont pas été sélectionnées apparaissent comme des cellules vides.

## Evaluation des données

### EVALUATION DE LA QUALITÉ DES DONNÉES

L'enquête n'implique pas de contrôle de qualité des données (hormis la question des « doubles comptes », évoquée ci-avant), le risque étant moindre (les enquêtes étant circonscrites à une population de patients / parents bien identifiés). Pour les questions relatives aux dates des événements d'intérêt, il convient toutefois d'anticiper de possibles erreurs de saisie (l'un des patients greffés ayant ainsi renseigné une date erronée de greffe : 2002, au lieu de 2020 ou 2022).

## Conditions d'accès

### FORMULAIRE DE CONFIDENTIALITÉ

Si la demande est acceptée, cela conduit à la signature d'un engagement individuel à destination de l'Ined, et d'un engagement de confidentialité à destination du Comité du Secret Statistique. Ces engagements requièrent : - D'utiliser les données exclusivement dans une finalité de recherche - De ne pas céder ces données, sous quelque forme que ce soit, à une tierce personne, que ce soit à titre gratuit ou onéreux - De traiter ces données conformément aux règles de l'art et du secret statistique - De mentionner la source des données dans mes communications, publications... conformément au modèle de citation pour l'utilisation des données (cf. ci-après) - D'informer le diffuseur de mes communications, publications... et lui en faire parvenir les références - D'informer le diffuseur des constats relatifs à la qualité des données ou à leur difficulté d'utilisation - D'informer le diffuseur de toute réutilisation des données pour une autre recherche que celle spécifiée ci-dessus - De faire inscrire le projet de recherche dans le registre de déclaration de traitement des données de l'établissement de rattachement - De stocker les données sur un serveur sécurisé ou dans un espace crypté pendant le travail de recherche, et jusqu'à la destruction des données - De détruire les fichiers à l'issue du travail de recherche - De respecter la réglementation en matière de protection des données personnelles.

### CONDITIONS

L'utilisateur formule une demande sur le portail de commande de Quetelet-Progedo, acceptée sous condition de statut, présence d'une adresse e-mail institutionnelle et d'un projet de recherche. Si la demande est acceptée, cela conduit à la signature d'un engagement individuel à destination de l'Ined, et d'un engagement de confidentialité à destination du Comité du Secret Statistique. Si les données sont analysées de manière collective, tous les membres du groupe de travail doivent faire une demande d'accès.

### RESTRICTIONS D'ACCÈS

Les fichiers diffusés dans le cadre de Quetelet-Progedo sont accessibles aux chercheurs français et étrangers, doctorants, post-doctorants, et étudiants de master à des fins de recherche, de production scientifique et dans certains cas d'enseignement. Toute utilisation commerciale est exclue.

Les critères d'une finalité de recherche sont la production ou reproduction, dans un but de validation de connaissances nouvelles de portée générale. Les résultats sont publics et libres de diffusion.

### TEXTE À CITER

La publication de résultats doit systématiquement faire mention de la source :

Citation longue (bibliographie) :

Citation courte (tableaux, graphiques) :

### CONTACT

Nom	Affiliation	URL
BARON Julie	Ined	enquetes@ined.fr

### LOCALISATION DES DONNÉES

Datalned

### ARCHIVE D'ORIGINE

Service des Enquêtes et Sondages - Ined

## Responsabilité

### CLAUSE DE NON RESPONSABILITÉ

L'Ined ne peut être tenu responsable des interprétations ou déductions faites à partir de l'utilisation des données.

## Production des métadonnées

### IDENTIFIANT

IE0276

PRODUCTEUR(S)

Nom	Sigle
Service des enquêtes et des sondages, Ined, Institut national d'études démographiques	Ined

DATE DE PRODUCTION DES MÉTADONNÉES

2026-02-09

VERSION

Version 1.0 (2025-12-30)

## Dictionnaire de données

Fichier de données	Cas	Variables
--------------------	-----	-----------