

Evolution et défis de la pédiatrie en Belgique et en Europe

Inborn errors of metabolism : new developments and challenges

Ph. Lepage

Service de Pédiatrie, Hôpital Universitaire des Enfants Reine Fabiola, ULB

RESUME

L'évolution récente de la pédiatrie hospitalière en Europe de l'Ouest est la conséquence des progrès scientifiques en médecine préventive et curative, des changements épidémiologiques liés à l'environnement, des attentes de la population en matière de santé et de l'évolution socioéconomique. Il résulte de ce qui précède une réorganisation de l'activité orientée vers une prise en charge comprenant plus de pathologies chroniques et complexes, nécessitant des approches multidisciplinaires. Dans ce contexte, l'importance du rôle du médecin « hospitaliste », de soins centrés sur la famille, de la coordination des interventions et de la minimisation des complications durant l'hospitalisation doit être souligné.

L'enseignement de la pédiatrie s'est orienté vers des techniques pédagogiques pratiques, interactives, enseignées en petits groupes.

En quelques années, le concept de l'EBM s'est imposé comme une nécessité absolue en pédiatrie.

Dans de nombreux pays, la recherche clinique et épidémiologique demeure insuffisamment développée. Cette recherche doit se développer avec l'aide de financements nationaux, européens et privés. Une collaboration éthique entre l'industrie pharmaceutique et les services de pédiatrie doit s'intensifier. Les départements de pédiatrie européens doivent aussi développer une expertise dans le domaine de la recherche dans les pays en développement.

ABSTRACT

The recent evolution of hospital pediatrics in Western Europe results from the scientific progresses in preventive and curative medicine, from epidemiological changes related to environmental factors, from populations expectations about health and from the socioeconomical evolution. As a consequence, hospital pediatric activities have evolved toward the management of more chronic et complex diseases, requiring multidisciplinary approaches. In this context, the role of the « hospitalist » clinician, of family-oriented care, of coordination of interventions and of minimization of complications during hospitalization need to be emphasized.

The teaching of pediatrics has quickly evolved toward practical and interactive activities, organized in small groups. In a few years, EBM has spread like an epidemic in the scientific community.

Clinical and epidemiological research remains underdeveloped in many European countries. This research needs to be boosted with the help of national European and private sponsors.

European pediatric departments also have to develop their expertise in the field of research in developing countries.

Key words : Pediatrics, child, future, hospitalist, teaching, research

INTRODUCTION

Le texte qui suit concerne essentiellement la pédiatrie hospitalière académique dans les pays occidentaux.

La pédiatrie hospitalière - comme la plupart des autres spécialités médicales - est en rapide et constante mutation. Cette évolution résulte des progrès scientifiques récents, de changements épidémiologiques,

des attentes de la population et de l'évolution socioéconomique de ces pays.

L'application des progrès scientifiques en Europe de l'Ouest a et continuera d'avoir un impact majeur sur l'épidémiologie pédiatrique, tant dans le domaine de la médecine préventive que curative.

En médecine préventive pédiatrique, la fin du XX^{ème} siècle en Europe a permis d'assister au succès

de la vaccination comme arme de santé publique. C'est ainsi que des pathologies infectieuses telles que la rougeole¹ et les infections invasives à *Haemophilus influenzae* de type b² ont été quasiment éliminées de nos pays. Plus récemment, l'introduction de vaccins conjugués contre le méningocoque du groupe C³ et les pneumocoques⁴ dans les schémas de vaccination de routine continue à modifier en profondeur l'épidémiologie des infections bactériennes sévères de l'enfant. L'année 2006 aura vu la publication d'études d'intérêt épidémiologique capital concernant l'efficacité de la vaccination contre le Rotavirus, la première cause de gastroentérite sévère du jeune enfant dans le monde^{5,6}. La mise sur le marché (et leur remboursement annoncé en Belgique) de ces vaccins permet d'envisager, dans un futur très proche, une réduction substantielle du nombre d'enfants hospitalisés pour gastroentérite aiguë⁷.

Le dépistage de l'infection par le VIH des mères enceintes et les traitements antirétroviraux des femmes infectées ont permis de réduire la transmission périnatale du VIH à environ 1%⁸.

Dans le domaine de la nutrition, la promotion de l'allaitement maternel et les progrès dans la production des aliments adaptés aux jeunes nourrissons ont permis de diminuer l'incidence de certaines pathologies digestives fréquentes.

Les traitements préventifs de l'asthme à base de médicaments anti-inflammatoires ont aussi eu pour conséquence de limiter les formes les plus sévères de la maladie et les hospitalisations prolongées.

Les dépistages génétiques et les diagnostics prénataux, par différentes techniques d'imageries médicales, ont permis de réduire de manière substantielle le nombre d'enfants nés vivants atteints de certaines pathologies héréditaires fréquentes (thalassémies majeures, ...) et/ou de malformations gravissimes.

En médecine curative, la prise en charge de maladies fréquemment rencontrées en pédiatrie (déshydratations sur gastroentérites aiguës par la réhydratation orale⁹, asthme, laryngites, ...) a été bien standardisée et rendue plus efficace au cours des deux dernières décennies.

Si l'incidence de certaines maladies de l'enfant est actuellement en régression, d'autres problèmes majeurs de santé publique sont, à la suite à des modifications environnementales, en augmentation (allergies, obésité, diabète de type 2, certains cancers, ...). De plus, les progrès médicaux (imagerie médicale, greffes d'organes et de moelle, meilleure prise en charge multidisciplinaire par exemple des cancers, des cardiopathies congénitales, des mucoviscidoses, ou des maladies métaboliques, progrès techniques en réanimation [utilisation de surfactant chez les prématurés, ECMO], etc) permettent actuellement la survie prolongée, voire la

guérison d'enfants qui auparavant étaient condamnés. Il en résulte une augmentation d'incidence de situations cliniques résultant de ces avancées thérapeutiques (maladies lymphoprolifératives chez les greffés, mycoses sévères chez les cancéreux, infections nosocomiales, lymphomes chez les sujets VIH+, ...).

La conséquence de ce qui précède est que de nombreuses pathologies aiguës, parfois sévères, chez des enfants au préalable sans problèmes sont à présent, soit hospitalisées brièvement, soit prises en charge dans des unités d'hospitalisation provisoire (déshydratations, bronchiolites, ...), soit traitées en consultation. Les pédiatres hospitaliers sont confrontés à une plus grande proportion d'enfants atteints de pathologies chroniques et complexes. De même, plus de pathologies chroniques et sévères sont prises en charge de manière ambulatoire, y compris aux urgences¹⁰.

HOSPITALISATION

Le médecin « hospitaliste »

Les « enfants aux besoins de santé spéciaux » (« children with special health care needs ») ont reçu diverses définitions dans la littérature anglo-saxonne¹¹. Plusieurs études récentes réalisées dans les pays occidentaux démontrent que ces enfants représentent près de 20% du total des enfants, mais qu'ils « coûtent » plus de 80% du budget médical consacré à la population pédiatrique¹¹. Ces enfants sont, par exemple, 3 fois plus à risque d'être admis aux soins intensifs et un tiers de ces admissions peut être prévenu. Un exemple d'admission pouvant être prévenu sont les erreurs médicales¹² qui sont beaucoup plus fréquentes dans la population d'enfants « médicalement complexes ». L'impact de ces enfants sur la pédiatrie hospitalière est substantiel puisqu'il a été estimé qu'ils étaient 4 fois plus souvent hospitalisés que les enfants ne présentant pas ces besoins et qu'une fois hospitalisés ils séjournèrent à l'hôpital 8 fois plus longtemps que les autres¹¹.

Plusieurs auteurs soulignent la nécessité de développer des méthodes prospectives permettant d'identifier ceux qui, parmi les « enfants aux besoins de santé spéciaux », seront définis comme « médicalement complexes »¹¹. Les sujets atteints de lésions neurologiques sévères représentent des situations exemplaires de ces « enfants médicalement complexes ». Ceux-ci présentent le plus souvent une maladie multisystémique (neurologique, mais aussi respiratoire, gastro-intestinale, ...), reçoivent de nombreuses drogues (anticonvulsivants, bronchodilatateurs, prokinétiques, ...), ont des contacts avec de nombreux spécialistes (neurologues, pneumologues, gastroentérologues, infectiologues, ...), sont souvent hospitalisés et nécessitent une coordination optimale entre le milieu hospitalier et ambulatoire.

C'est dans ce contexte que le concept de pédiatre « hospitaliste », décrit pour la première fois

en 1996 par Wachter et Goldman¹³ prend tout son sens. Dans un document récent, le médecin « hospitaliste » est défini comme « un clinicien dont les buts professionnels principaux sont les soins médicaux de patients hospitalisés. Son activité comprend le traitement de ces patients, l'enseignement, la recherche et le leadership dans le domaine de la médecine hospitalière »¹⁴. Depuis environ 10 ans, l'activité de médecin « hospitaliste » s'est développée de manière importante dans toutes les disciplines de la médecine clinique comme l'atteste le nombre croissant d'articles et de congrès consacrés à cette question dans les pays occidentaux.¹⁵ Il a été tout récemment démontré que les pédiatres « hospitalistes » traitaient moins longtemps les enfants en milieu hospitalier, adhéraient plus aux recommandations de médecine basée sur la preuve (« evidence based medicine » [EBM]) et utilisaient moins de traitements et de tests d'intérêt non démontré que les pédiatres ne répondant pas à cette fonction¹⁶.

Les soins centrés sur la famille

Les parents d'enfants « médicalement complexes » ont une vie quotidienne et des responsabilités bien différentes que ceux d'enfants « normaux ». Ils souffrent par exemple de fréquents problèmes psychosociaux (anxiété, dépression, ...). On évalue qu'environ un tiers des hospitalisations récurrentes d'enfants « médicalement complexes » est la conséquence de manque de support social apporté à ces familles et qu'un quart des admissions est en relation avec des problèmes médicaux ou psychologiques affectant d'autres membres de la famille¹¹. Les soins centrés sur la famille permettent aux parents d'être informés, soutenus et impliqués activement dans les prises de décisions concernant les soins de leur enfant. Ce type de soins est associé à une amélioration du bien être des parents, à une meilleure satisfaction concernant l'activité médicale ainsi qu'à une diminution de la charge que constitue la maladie de leur enfant¹¹. Les pédiatres « hospitalistes » ont un rôle essentiel dans la promotion des soins centrés sur famille en associant les parents aux différentes formes de prise en charge.

Coordination des soins

Une fonction importante du pédiatre « hospitaliste » consiste également à coordonner la prise en charge des d'enfants « médicalement complexes ». Il s'agit non seulement de la coordination entre spécialistes au sein de l'hôpital, mais encore de l'organisation des soins afin d'éviter les duplications d'actes ou d'examen inutiles, de l'échange d'informations entre les équipes de soins, de la prévision du plan de prise en charge à domicile, des contacts avec les pédiatres et médecins traitants et de la formation des familles. Le plan de prise en charge à domicile est un élément essentiel à la qualité des soins de ce type de patients. L'organisation du nursing, des soins médicaux et du matériel nécessaire au suivi en-dehors de l'hôpital nécessite une importante

disponibilité de la part des équipes. La rédaction d'un résumé actualisé de l'hospitalisation à destination du généraliste ou du pédiatre est un élément essentiel à la qualité des soins de ces enfants.

Minimisation des complications secondaires

La prise en charge des enfants « médicalement complexes » ne doit pas être seulement axée sur le phénomène aigu nécessitant l'hospitalisation actuelle mais être globale. En effet, la plupart de ces enfants nécessitent l'utilisation simultanée de nombreuses drogues (souvent « off-label ») pouvant entraîner des interactions médicamenteuses parfois sévères¹². Le rôle de différents intervenants dans le domaine de la pharmacologie pédiatrique (cliniciens, pharmaciens, infirmières, ...) demande une organisation très stricte; l'importance de la recherche (souvent sous-investie en pédiatrie) dans ce domaine doit être renforcé.

Besoins nutritionnels

Les enfants « médicalement complexes » sont fréquemment dénutris. L'importance de l'anamnèse nutritionnelle (modes, contenus et horaires) pour s'adapter à l'hôpital aux habitudes alimentaires de l'enfant à domicile (y compris les techniques d'adaptation d'administration de nutriments) doit être soulignée. L'importance de l'alimentation entérale ou d'une hyperalimentation est souvent sous-estimée par une focalisation trop sélective des équipes de soins sur un problème aigu (des convulsions récidivantes chez un sujet épileptique par exemple).

Limitations fonctionnelles

Les services pédiatriques doivent aussi s'adapter aux handicaps fréquents des enfants « médicalement complexes ». Ils doivent fournir un accès au matériel spécialisé (chaises roulantes, etc) permettant que la vie à l'hôpital soit d'un confort comparable au domicile.

Coordination transdisciplinaire

L'hospitalisation est le plus souvent vécue comme une expérience stressante pour les enfants et leurs familles, surtout pour ceux qui sont fréquemment admis pour des périodes prolongées. L'importance du rôle des travailleurs sociaux pour répondre aux besoins émotionnels des enfants et de leurs familles, mais aussi des équipes de soins est actuellement bien reconnue. Des stratégies de retour à l'école ou d'enseignement à l'hôpital doivent être développées.

Soins de santé primaires

Les soins ambulatoires primaires des enfants « médicalement complexes » sont souvent négligés du fait de séjours prolongés à l'hôpital. L'« hospitaliste » doit dès lors fréquemment s'impliquer dans des activités préventives (retards de vaccinations, adaptation de l'alimentation, ...).

Divers

La prise en charge de la douleur¹⁷, la participation et la collaboration active aux programmes d'hygiène hospitalière ainsi qu'aux soins palliatifs et de fin de vie font également partie des tâches quotidiennes des « hospitalistes »¹⁸.

SOINS AMBULATOIRES

L'inflation du nombre de passages dans les services d'urgence pédiatriques est une préoccupation actuelle dans de nombreux pays occidentaux¹⁹. La plupart des consultations ne sont pas urgentes. La majorité des enfants consultent en soirée lorsque les policliniques hospitalières sont fermées. Il en résulte des dépenses inutiles, un stress supplémentaire pour les équipes de soins et un retard dans la prise en charge des cas urgents. Il apparaît donc nécessaire de s'adapter à cette situation nouvelle en améliorant en renforçant le fonctionnement des services d'urgence pédiatriques (triage, personnel, équipement) ainsi qu'en assurant la promotion de solutions alternatives comme une meilleure éducation à la santé des familles et une meilleure organisation de la médecine de première ligne¹⁹.

ENSEIGNEMENT

Outre les stages cliniques qui demeurent les fondements de la formation pratique, l'enseignement (des médecins en spécialisation comme des étudiants) de la clinique s'oriente partout en Europe occidentale vers des techniques pédagogiques pratiques, interactives, enseignées en petits groupes (Apprentissage par Problème, Apprentissage au Raisonnement Clinique, etc)²⁰. Cette approche devrait prendre une place plus importante encore dans un futur très proche.

Le concept de l'EBM (défini par Sackett et ses collègues comme « l'utilisation consciencieuse, explicite et judicieuse des meilleures preuves actuelles dans le processus décisionnel concernant le traitement de patients individuels »)²¹ s'est imposé en quelques années dans le monde des cliniciens comme une nécessité absolue. Si cette approche s'est répandue comme une épidémie dans le monde des cliniciens c'est non seulement par sa rigueur, mais encore en réaction à la croissance exponentielle des données de la littérature médicale. En effet, plus de 2 millions d'articles scientifiques sont publiés annuellement ; rien qu'en pédiatrie, se tenir à jour nécessiterait la lecture d'au moins 5 articles par jour, 365 jours par an ! L'EBM permet de localiser l'information, de lui attribuer un sens pratique et de l'appliquer à nos patients²¹.

RECHERCHE

Dans de nombreux pays d'Europe occidentale, dont la Belgique, la recherche clinique et épidémiologique fait actuellement figure de parents pauvres par rapport à la recherche de type

« fondamentale ». Cette situation est particulièrement criante en comparaison de la situation observée dans plusieurs pays anglo-saxons. Ces projets cliniques et épidémiologiques nécessitent une approche souvent multicentriques, parfois internationale - étant donné la relativement faible population couverte par chacune des institutions médicales. Ce type de démarche scientifique doit continuer à se développer dans nos pays avec l'aide de financements nationaux (de type FNRS par exemple), européens et de fondations privées. Dans ce domaine, comme dans celui de la mise sur pied de « Registres de Maladies Rares », une collaboration internationale est souvent indispensable et de nouveaux réseaux trans-nationaux devront émerger afin de tenter de combler le retard accumulé.

De nouvelles directives européennes publiées en 2006 exigent avant la mise sur le marché d'un nouveau médicament qu'une évaluation pharmacoclinique détaillée de cette drogue soit réalisée chez l'enfant. Dans ce domaine en plein essor, doit s'intensifier une collaboration éthique et concertée entre l'industrie pharmaceutique et les services de pédiatrie académique.

Les services académiques de pédiatrie européens doivent maintenir et développer une expertise dans le domaine de la recherche (mais aussi de l'enseignement, de la formation clinique) dans les pays d'Afrique, d'Asie et d'Amérique latine. Il est essentiel de permettre aux jeunes médecins et aux étudiants de nos facultés de se familiariser avec les pathologies des pays en développement. Il est tout aussi important de continuer à permettre aux cliniciens des pays du sud d'acquérir un niveau adéquat de formation, de se familiariser avec les nouvelles méthodes pédagogiques et d'élaborer des projets de recherche.

BIBLIOGRAPHIE

1. World Health Organization. Progress towards elimination of measles and prevention of congenital rubella infection in the WHO European Region, 1990-2004. *Wkly Epidemiol Rec* 2005 ; 80 : 66-71.
2. Eskola J, Kayhty H, Takala AK, et al. A randomized, prospective field trial of a conjugate vaccine in the protection of infants and young children against invasive *Haemophilus influenzae* type b disease. *N Engl J Med*. 1990; 323:1381-7.
3. Miller E, Salisbury D, Ramsay M. Planning, registration, and implementation of an immunisation campaign against meningococcal serogroup C disease in the UK: a success story. *Vaccine*. 2001; 20 Suppl 1: S58-67.
4. Whitney CG. Impact of conjugate pneumococcal vaccines. *Pediatr Infect Dis J* 2005; 24: 729-30
5. Ruiz-Palacios GM, Pérez-Schael I, Velázquez FR, et al. Safety and efficacy of an attenuated vaccine against severe Rotavirus gastroenteritis. *N Engl J Med*. 2006;354:11-22.
6. Vesikari T, Matson DO, Dennehy P, et al. Safety and efficacy of a pentavalent human-bovine (WC3) reassortant rotavirus vaccine. *N Engl J Med*. 2006;354:23-33.

7. Lepage P. Rotavirus infection in Europe. Time for effective prevention? *Pediatr Infect Dis J* 2006; 25: S5-6.
8. Lepage P. Épidémiologie de l'infection à VIH chez l'enfant dans le monde. *Arch Pédiatr* 2005; 12: 674-6.
9. Spandorfer PR, Alessandrini EA, Joffe MD, Localio R, Shaw KN. Oral versus intravenous rehydration of moderately dehydrated children: a randomized, controlled trial. *Pediatrics*. 2005; 115: 295-301.
10. Massin MM, Montesanti J, Gerard P, Lepage P. Children with chronic conditions in a paediatric emergency department. *Acta Paediatr* 2006; 95: 208-13.
11. Srivastava R, Stone BL, Murphy NA. Hospitalist care of the medically complex child. *Pediatr Clin North Am* 2005 ; 52 : 1165-88.
12. Landrigan CP. The safety of inpatient pediatrics : preventing medical errors and injuries among hospitalized children. *Pediatr Clin North Am* 2005 ; 52 : 979-94.
13. Wachter RM, Goldman L. The emerging role of « hospitalists » in the American health care system. *N Engl J Med* 1996 ; 335 : 514-7.
14. Society of Hospital Medicine. Available at : <http://www.naiponline.org/presentations/apps/indlist/intro.asp?flag=6>.
15. Rauch DA, Percelay JM, Zipes D. Introduction to pediatric hospital medicine. *Pediatr Clin North Am* 2005 ; 52 : 963-78.
16. Conway PH, Edwards S, Stucky ER, Chiang VW, Ottolini MC, Landrigan CP. Variations in management of common inpatient illnesses : hospitalists and community pediatricians. *Pediatrics* 2006 ; 118 : 441-7.
17. Greci C, Berde C. Pain management for hospitalized pediatric patients. *Pediatr Clin North Am* 2005 ; 52 : 995-1028.
18. Kang T, Hoehn S, Licht DJ, et al. Pediatric palliative care, end-of-life, and bereavement care. *Pediatr Clin North Am* 2005 ; 52 : 1029-46.
19. Massin MM, Lepage P. Observations et réflexions sur la gestion des urgences pédiatriques en Belgique. *Rev Méd Liège* 2002 ; 57 : 591-598.
20. Boniver J. Les études de médecine à l'Université de Liège : Le renouveau pédagogique de la faculté de médecine. *Rev Méd Liège* 2004; 59 : 12 : 717-730.
21. Straus SE, Richardson WS, Glasziou P, Haynes RB. Evidence-Based Medicine. How to practice and teach EBM. Elsevier Churchill Livingstone. Edinburgh. 2005.

Correspondance

Ph. LEPAGE
 Hôpital Universitaire des Enfants Reine Fabiola
 Service de Pédiatrie
 Avenue JJ Crocq, 15
 1020 Bruxelles