



HAL
open science

Qualité de vie des enfants en nutrition parentérale à domicile : développement d'un outil d'évaluation pédiatrique

Anaïs Maffre

► To cite this version:

Anaïs Maffre. Qualité de vie des enfants en nutrition parentérale à domicile : développement d'un outil d'évaluation pédiatrique. Sciences du Vivant [q-bio]. 2019. dumas-02438554

HAL Id: dumas-02438554

<https://dumas.ccsd.cnrs.fr/dumas-02438554>

Submitted on 14 Jan 2020

HAL is a multi-disciplinary open access archive for the deposit and dissemination of scientific research documents, whether they are published or not. The documents may come from teaching and research institutions in France or abroad, or from public or private research centers.

L'archive ouverte pluridisciplinaire **HAL**, est destinée au dépôt et à la diffusion de documents scientifiques de niveau recherche, publiés ou non, émanant des établissements d'enseignement et de recherche français ou étrangers, des laboratoires publics ou privés.

Université de Bordeaux
U.F.R DES SCIENCES MEDICALES

Année 2019

Thèse n° 3091

Thèse pour l'obtention du
DIPLOME D'ETAT DE DOCTEUR EN MEDECINE
Spécialité pédiatrie

Présentée et soutenue publiquement
le 25 septembre 2019
par **Anaïs MAFFRE**
née le 3 octobre 1989 à TOURS (37)

**Qualité de vie des enfants en nutrition parentérale
à domicile :
développement d'un outil d'évaluation pédiatrique**

Directeur

Monsieur le Docteur Raphaël ENAUD

Rapporteur

Monsieur le Professeur Noël PERETTI

Membres du jury

Monsieur le Professeur Thierry LAMIREAU	Président
Monsieur le Professeur David LAHARIE	Juge
Monsieur le Professeur Pascal BARAT	Juge
Madame le Docteur Laurence JOLY	Juge
Monsieur le Docteur Frédéric LAVRAND	Juge

Remerciements

Aux membres du jury :

A notre rapporteur, le Professeur Noël Peretti, merci d'avoir pris le temps de lire en détail l'ensemble de ce travail et de l'intérêt que vous y avez porté, merci pour vos remarques pertinentes.

Au président du jury, le Professeur Thierry Lamireau, merci pour votre investissement dans ce projet, merci de m'avoir soutenue et accompagnée dans toutes ses étapes afin qu'il puisse aboutir, et merci pour votre accessibilité et vos conseils toujours avisés.

A nos juges :

Au Professeur David Laharie, merci d'avoir accepté de juger ce travail, il était important pour moi d'avoir la vision de nos confrères adultes, de qui parfois nous nous tenons trop éloignés.

Au Professeur Pascal Barat, merci pour votre intérêt pour ce travail, et au delà de cela, pour votre investissement auprès des internes de pédiatrie et pour votre écoute, ce fut un plaisir de travailler à vos côtés en tant que référente.

Au Docteur Laurence Joly, merci de m'avoir permis d'accéder à ce sujet qui nous tenait tant à cœur. Merci de m'avoir guidée dans l'ensemble de mes projets professionnels, tout en respectant au mieux mes choix et merci de me faire confiance pour la suite, j'ai hâte de rejoindre le service.

Au Docteur Frédéric Lavrand, merci d'avoir accepté de juger ce travail. Merci pour votre investissement auprès de nos petits patients, et pour votre disponibilité.

Enfin, au directeur de cette thèse, le Docteur Raphaël Enaud, merci pour ton grand investissement et ton soutien tout au long de ce travail (malgré les deadlines parfois courtes et les relectures tardives...). Merci pour ta rigueur scientifique, ce fut un réel plaisir de travailler avec toi.

A ma famille :

A mes parents :

Maman, si j'en suis là aujourd'hui c'est en (très) grande partie grâce à toi, merci pour ton amour, ton soutien permanent malgré un parcours que tu ne cautionnes pas toujours, merci pour ta logistique inégalable et ton coaching; j'espère pouvoir réussir à faire la moitié de ce que tu as fait pour nous.

Papa, tu m'as transmis la passion de ce beau métier, merci d'y avoir cru dans les moments où même moi je n'y croyais plus, merci pour tes mots certes rares mais tellement justes dans les moments les plus difficiles.

A ma sœur, Cha, merci d'avoir supporté toutes ces années de médecine, d'avoir tant râlé pour finalement tomber dedans toi aussi. A tous ces moments partagés, de la salle de bain ou la chambre de Pornichet aux soirées médecines, en passant par la danse. Ils me manquent beaucoup et je suis contente que tu te rapproches de Bordeaux pour le semestre prochain.

A mes grands parents :

Mamie, toi qui resteras mon modèle de femme, qui a réussi à combiner ta vie d'épouse, de mère de 4 enfants tout en créant ta pharmacie, toi qui m'a souvent dit que tu aurais aimé faire médecine, je te dédie ce moment.

Papy, je crois que j'ai toujours quelque part avec mes poupées cette boîte d'abaisse-langue à la fraise que tu m'avais donnée alors que je savais à peine marcher, il me semble que c'est à ce moment là que j'ai su que je voulais être pédiatre.

A mes cousins et cousines, à mes oncles et tantes, à nos pièces de théâtre, aux parties de Monopoly interminables, à nos fous rires, aux chapeaux des crackers et à tous ces moments qui nous réunissent.

A mes amis de toujours :

A Aude, depuis notre rencontre à la maternelle il y a 27 ans, il s'en est passé des choses, nos vies ont pris des chemins différents et pourtant rien ne change malgré les années, la distance (plus ou moins grande), et les nouveaux arrivants ☺ ; merci d'être toujours là.

A Françoise et Alain, mes parents de substitution, merci d'avoir pris tant soin de moi.

A Morgan et Eve, c'est toujours un plaisir de se raconter nos aventures, moments si rares mais si importants à mes yeux.

Au trio infernal que nous formons :

Aurore, tant de choses partagées entre la danse et les années facs, tant de bêtises mais aussi de moments plus compliqués, toujours soudées dans l'adversité;

Lolo, toi qui a subi nos années médecines avec tant de compréhension, qui nous a toujours soutenues, qui est toujours présente quoi qu'il arrive;

Merci pour tous ces moments, passés et à venir, on a bien changé depuis nos 18 ans et Barcelone...(quoique...)

Aux louls :

Ziz, toi et tes petites phrases posées là, si bien placées, j'ai été tellement heureuse de témoigner pour vous cet été, j'espère que j'aurai le droit à une représentation de bambino pour l'occaz;

Seb, tu resteras le seul à être venu me chercher en SM au lycée et grâce à toi, je sais que je n'aurai pas pu être cambrioleur, je vais me contenter de les regarder les radios ;

Jiji, malgré les fuseaux horaires qui nous séparent, on pense bien à toi, et toujours prête pour une petite partie de Catane quand tu nous reviens;

Geo, j'espère que tu vas quitter ta terre natale parce qu'en Afrique à priori il n'y a pas de réseau (parce que te charrier reste un de mes loisirs favoris);

Bibi, on ne va pas en parler ici, mais un jour je la gagnerai cette course....

Merci pour ces moments de vie à Chouzé, à Dublin, à Vienne où ailleurs, que nous continuerons à partager je l'espère...

A mes amis de fac :

A ma team, Alice, Julie, Lore, Marion et Maïté : en disco, pompom girls ou en bonbon Krema (pas notre plus belle réussite) ; en Indonésie, en Croatie, à Marrakech, Stockholm ou à 17 000 km sur un îlot perdu au milieu des tricots rayés, notre amitié traverse les années comme les continents. J'espère que cela va continuer encore et encore...

A ma bande de « couilles » : Duki, Hugo, Lucho, Dada, Woloch, Ketur et Benou, ravie de constater que la maturité ne vous gagne pas avec les années, et pas merci de m'avoir victimisée durant toutes ces années. A nos parties de tarot, aux nuits blanches à Clocheville, et à Sylvie de la cafèt. C'est toujours un immense plaisir (bien qu'épuisant) de vous retrouver.

A mes amis d'internat :

A ce premier semestre à Mont de Marsan avec vous tous, qui restera le meilleur, riche en rencontres et en soirées...Mention spéciale à Lulu et Stefano, mes voisins de chambre, Marie la gitane aux sacs plastiques, Aurore, Fannè et Jojo. Même si vous m'abandonnez à Bordeaux, j'espère pouvoir venir vous rendre visite plus souvent.

A Marion, coloc et co-interne pendant 3 semestres, à tous ces moments (pédiatriques ou non) partagés depuis le début de l'internat, je suis si contente que tu restes dans le coin.

A Jojo, à nos discussions interminables autour d'un café, à ce poste de référent que nous avons partagé, ravie que tu t'épanouisses sur cette belle île.

A ceux qui ont été mes co-internes et bien plus, Raph, Ambre, Juju, Clément, Adriane, Claire-Marie, Emilie, Soaz, Camille, Marie-Neige, Eva...

A Aude, Babou et Manu, pour avoir rendu ces stages difficiles plus agréables.

A Sandra et Emilie, j'ai hâte de travailler à vos côtés.

A toutes les équipes, médicales et para-médicales, qui ont permis de rendre ce parcours plus facile, Mont de Marsan, le 4B (vous m'avez conquise dès le deuxième semestre, j'ai hâte de vous retrouver), le 6D, la mat, la réa ped, Bayonne, la cardio ped (même si vous êtes tarés) et le 5A, ainsi que l'équipe des urgences ped (même si j'avais tellement hâte de vous quitter le matin ^).

Enfin à tous ceux rencontrés au fil des années bordelaises, ADP, Toto, Caro, Elo, Alizée, Caza, Laurent...et tous ceux que j'oublie.

A Thibaud :

Merci pour ta présence et ton soutien au quotidien, pour ta patience (que j'use un peu plus chaque jour ^), merci de m'apprendre à gérer une PIC au beau milieu de la nuit en Facetime....Merci de me pousser à dépasser mes limites, merci de me surprendre un peu plus chaque jour...A notre Amour, nos fous rires, nos moments de folie, à ta passion pour l'unité Kangourou et pour les croc tops, et à mes chaussures ☺...La vie est tellement plus facile à tes côtés, j'espère qu'elle sera longue et bien remplie.

Table des matières

Liste des abréviations.....	7
Liste des tableaux	8
I. Introduction	9
A. Contexte	9
1. <i>L'insuffisance intestinale.....</i>	9
2. <i>La nutrition parentérale à domicile</i>	11
3. <i>Concept de qualité de vie.....</i>	15
4. <i>Qualité de vie des enfants en nutrition parentérale à domicile et de leur entourage.....</i>	16
5. <i>Méthodologie du développement d'un questionnaire sur la qualité de vie des patients</i>	21
B. Objectifs de l'étude	22
II. Article original	23
Introduction.....	25
Methods.....	27
Results.....	30
Discussion	35
Conclusion.....	39
References	40
III. Discussion	43
A. Synthèse des principaux résultats	43
B. Interprétation, forces et limites de l'étude	43
C. Perspectives	48
IV. Conclusion	50
Bibliographie	51
Annexes	55

Liste des abréviations

CVC:	Cathéter Veineux Central
CVL:	Central Venous Line
ESPEN:	European Society for Parenteral and Enteral Nutrition
IF:	Intestinal Failure
IQR :	Interquartile Range
MICI :	Maladie Inflammatoire Chronique de l'Intestin
NP:	Nutrition Parentérale
NPAD:	Nutrition Parentérale A Domicile
HPN:	Home Parenteral Nutrition
HRQOL:	Health Related Quality Of Life
OMS:	Organisation Mondiale de la Santé
PN:	Parenteral Nutrition
POIC:	Pseudo Occlusion Intestinale Chronique
QOL:	Quality Of Life
SBS:	Short Bowel Syndrom
SGC:	Syndrome du Grêle Court
SSBO:	Small Bowel Bacterial Overgrowth

Liste des tableaux

Tableau 1. Characteristics of study participants, study about quality of life of children on HPN, France, 2019.....	31
Tableau 2. Grille de cotation du premier tour, étude sur la qualité de vie des enfants en nutrition parentérale à domicile par méthode Delphi, France, 2019.....	57
Tableau 3. Résultats du premier tour Delphi, étude sur la qualité de vie des enfants en NPAD, France, 2019	59
Tableau 4. Comparaison des réponses du premier tour Delphi entre soignants et familles, étude sur la qualité de vie des enfants en NPAD, France, 2019	61
Tableau 5. Grille de cotation du deuxième tour, étude sur la qualité de vie des enfants en nutrition parentérale à domicile, méthode Delphi, France, 2019.	63
Tableau 6. Résultats du deuxième tour Delphi, étude sur la qualité de vie des enfants en NPAD, France, 2019	71
Tableau 7. Comparaison des réponses du deuxième tour Delphi entre soignants et familles, étude sur la qualité de vie des enfants en NPAD, France, 2019	73

Liste des figures

Figure 1. Issues' selection during the study, quality of life of children on HPN, France, 2019.....	32
--	----

I. Introduction

A. Contexte

1. L'insuffisance intestinale

L'insuffisance intestinale a initialement été définie en 1981 par Fleming et Remington comme une réduction de la masse intestinale fonctionnelle en deçà du minimum nécessaire pour une digestion et une absorption des aliments adéquate (1). L'ESPEN (European Society for Parenteral and Enteral Nutrition) l'a redéfinie plus récemment comme étant une réduction des fonctions intestinales en deçà du minimum nécessaire pour l'absorption des macronutriments (glucides, lipides et protéines) et/ou de l'eau et des électrolytes, et qui nécessite une supplémentation intraveineuse pour maintenir l'état de santé et/ou la croissance (2). Cette définition exclue donc les situations où l'état nutritionnel peut-être impacté par un manque d'apport (dysphagie, anorexie mentale, neuropathie ...) avec des capacités d'absorption intestinale conservées, ou par une malabsorption (maladie cœliaque par exemple) qui peut être compensée par une supplémentation orale ou entérale.

L'insuffisance intestinale résulte de maladies acquises ou congénitales, gastro-intestinales ou systémiques, bénignes ou malignes, qui peuvent affecter toutes les catégories d'âge (3). Elle est subdivisée en trois types. L'insuffisance intestinale de type 1 est un état transitoire, tel que l'iléus à la suite d'une chirurgie abdominale, qui peut nécessiter une brève période de soutien nutritionnel, mais qui est simple à gérer et s'inverse complètement sans séquelles (2). L'insuffisance intestinale de type 2 survient dans le contexte d'une maladie lourde, telle qu'une chirurgie majeure, où les complications dues à des septicémies, à des troubles métaboliques et à la malnutrition nécessitent des soins multidisciplinaires complexes et un soutien nutritionnel spécialisé, y compris une nutrition parentérale (NP) (2). L'insuffisance intestinale de type 3 est un état chronique d'insuffisance intestinale, réversible ou non, nécessitant un soutien nutritionnel à long terme, généralement

sous la forme d'une nutrition parentérale à domicile (NPAD) (2). Bien que l'insuffisance intestinale de type 3 suive souvent l'insuffisance intestinale de type 2, elle peut aussi survenir sans chirurgie, comme dans le cas des troubles de la motricité digestive.

Nous parlerons ici essentiellement des insuffisances intestinales de types 3, qui conduisent à la mise en place de NPAD. Chez l'enfant, elles sont souvent causées par des maladies intestinales congénitales ou néonatales qui peuvent être divisées en 3 sous-groupes : les troubles intestinaux avec une surface d'absorption réduite (par exemple, le syndrome du grêle court (SGC)), les troubles avec une surface d'absorption intacte mais inefficace (par exemple, la dysplasie épithéliale, l'atrophie microvillositaire ou les entéropathies auto-immunes), et les troubles avec une surface muqueuse intacte mais une dysmotricité intestinale étendue (par exemple, les pseudo obstructions intestinales chroniques (POIC)) (4). En fonction du type de pathologie, les enfants peuvent être porteurs d'une stomie de décharge ou non.

La première cause pédiatrique d'insuffisance intestinale est le SGC (5–8). Il se définit comme un état de malabsorption consécutif à une ou plusieurs résections de l'intestin grêle. En général, une résection intestinale laissant une longueur de grêle résiduel de moins de 40 cm à partir de l'angle de Treitz laisse prévoir une insuffisance intestinale définitive. Cependant les conséquences fonctionnelles d'une résection sont multifactorielles et dépendent de la longueur de la résection, mais aussi de sa nature (jéjunum ou iléon), de la préservation de la valvule iléo-caecale, de la longueur colon restant ou encore de la motricité et de l'adaptation du grêle résiduel (4). Le SGC peut être secondaire à des anomalies congénitales comme les atrésies intestinales (par exemple, le syndrome « apple peel » dû à une anomalie de développement de l'artère mésentérique supérieure), un laparoschisis, une maladie de Hirschsprung étendue, ou à des événements post-nataux comme une entérocolite ulcéro-nécrosante (essentiellement chez les prématurés) ou un volvulus du grêle (4,9–11).

Jusqu'à il y a une trentaine d'années, le pronostic vital de ces enfants était mauvais. Depuis, il a été amélioré avec la prise en charge, et notamment le développement de la NP à partir du milieu des années 1970 qui reste pour l'instant le traitement de référence de l'insuffisance intestinale (4). En pratique clinique, la sévérité de l'insuffisance intestinale peut donc être indirectement mesurée par la proportion des apports caloriques et hydriques assurés par voie parentérale nécessaire à la croissance de l'enfant (4). La prise en charge des enfants avec une insuffisance intestinale est multidisciplinaire, impliquant une équipe compétente en chirurgie, gastroentérologie et nutrition pédiatriques, comprenant également un diététicien et un psychologue pédiatrique, et un infirmier expérimenté dans les manipulations de cathéter central et des poches de nutrition parentérale (4). La mise en place d'une NPAD est indiquée chez les patients atteints d'insuffisance intestinale chronique (de type 3) nécessitant un soutien nutritionnel à long terme.

2. La nutrition parentérale à domicile

La NPAD doit être envisagée chez tout enfant atteint d'insuffisance intestinale âgé de plus de 4 mois, cliniquement, nutritionnellement et psychologiquement stable, et qui va dépendre d'une NP pour une durée prévisible d'au moins 3 mois (12). Avant de la débiter, l'équipe doit prendre en compte les considérations éthiques, et la famille et l'enfant doivent adhérer à ce projet.

Du fait de la rareté de cette situation, il existe peu de données épidémiologiques concernant les enfants en NPAD. On note cependant une augmentation de la prévalence ces dernières années avec l'augmentation de la survie, du fait d'une amélioration de la prise en charge à la fois chirurgicale et médicale, des soins néonataux, des soins de cathéter et de la composition de la nutrition parentérale (12). En France en 2014, il y avait 262 enfants de moins de 18 ans en NPAD pour 65 millions d'habitants, soit une prévalence de 4 par

millions d'habitants, avec une incidence de 50 nouveaux cas par an (13). En Italie, une étude menée auprès de 19 centres référents en 2016 retrouvait 145 patients de moins de 19 ans en NPAD, soit une prévalence de 14,1 par million d'habitants et une incidence de 1,4 par million d'habitants par an (14). Au Royaume-Uni, une étude menée en février 2010 retrouvait 139 enfants sous nutrition parentérale à domicile (NPAD) soit 4 fois plus qu'en 1993, avec une prévalence moyenne de 13,7 par million d'habitants, et une proportion des SGC qui est passé de 27% à 63% (15). Cette augmentation de prévalence peut être expliquée notamment par le nombre croissant d'entérocolites ulcéro-nécrosantes, responsable d'environ 30% des SGC (12), du fait d'une augmentation du nombre d'enfants prématurés, et notamment des très grands prématurés (16).

En fonction de la pathologie, la NP peut couvrir la totalité ou une partie des besoins du patient. Les enfants peuvent en effet avoir en plus une nutrition orale ou entérale (par sonde naso-gastrique ou gastrostomie), avec parfois des restrictions alimentaires (dans les POIC par exemple). La composition de la NP est adaptée spécifiquement à l'enfant et est réévaluée régulièrement, à chaque consultation ou hospitalisation. Elle comprend des substrats énergétiques (glucides, lipides), des substrats azotés (solutions d'acides aminés), des minéraux (solutions d'électrolytes), des oligo-éléments et des vitamines (17). Pour garder une tolérance correcte, les perfusions sont généralement réalisées durant 10-14 heures pendant la nuit, dans certains cas jusqu'à 18 heures, et dans les cas extrêmes ils doivent être branchés en continu durant 24 heures (12). Le nombre de perfusion quotidienne par semaine varie de 2 à 7, en essayant de les limiter dans la mesure du possible. La NPAD doit être étroitement monitorée, avec des consultations, des bilans biologiques et des examens complémentaires réguliers. Un rythme initial de surveillance tous les 1 à 2 mois est souvent proposé, puis éventuellement espacé en gardant un minimum de 4 bilans annuels dans un centre expert (12). A chaque consultation, l'indication de la NPAD, la composition des poches, les rythmes de perfusion, et les éventuels apports oraux et entéraux doivent être réévalués par l'équipe en discutant avec la famille et l'enfant.

L'arrêté du 18 juin 2014 régleme la prise en charge de la NPAD par les prestataires de santé à domicile, sous le contrôle d'un centre expert pour la NP au long court. En effet, toute NP au long court doit être mise en place et suivie par un médecin rattaché à un centre expert, ayant les connaissances nécessaires sur les dépenses énergétiques, les nutriments et les micronutriments nécessaires en fonction de l'âge, sur les manipulations de cathéter et sur les complications de la NP au long cours (4,12).

La mise en place d'une NPAD nécessite une logistique bien précise :

- Les enfants doivent avoir un cathéter veineux central (CVC) en place et fonctionnel. Il peut s'agit d'un cathéter tunnelisé (type Broviac®) ou, plus rarement, d'une chambre à cathéter implantable. La bonne réalisation des soins et de l'entretien du CVC sont essentiels pour sa pérennité et éviter la survenue de complications (rupture du CVC, thrombose, infections ...) (9,18)

- Avant le retour à domicile, les parents doivent suivre une formation pendant 1 à 2 semaines dans le centre expert pour apprendre à gérer le branchement et débranchement des perfusions, manipuler le cathéter central et connaître la conduite à tenir en cas de survenue de complications (12).

- Le domicile doit être aménagé pour stocker et conserver les poches de NP à 4°C dans un réfrigérateur dédié, pour le branchement de la pompe dans la chambre et les pièces de vie, pour la réalisation des soins de cathéter de façon stérile, avec également un accès facile aux toilettes pour les plus grands enfants (12). Une pompe de préférence portative est utilisée pour les perfusions, assurant un débit constant et programmable (17). Les poches sont livrées au domicile du patient, et peuvent être conservées de 14 à 21 jours (12,17).

Les **complications** de la NPAD peuvent être métaboliques d'une part, avec une atteinte hépatique, notamment une cholestase (en partie liée aux émulsions lipidiques de la NP et aux infections) qui peut évoluer vers l'insuffisance hépatique ; une insuffisance rénale

liée principalement à une déshydratation chronique et des troubles ioniques (7,19), des hyper ou hypoglycémies, une acidose hyperchlorémique et des troubles du métabolisme osseux (ostéoporose, notamment par défaut de synthèse) (4,9,19). D'autre part, il y a les complications liées au CVC, notamment les infections, les thromboses et les ruptures (4,9,19).

Cependant, la morbi-mortalité des enfants en NPAD s'est nettement améliorée ses dernières années. Dans les années 80, la mortalité était de 30% chez les enfants en NP prolongée (20), mais la survie a augmenté de façon exponentielle ces dernières décennies (4,21). Dans une cohorte française mono-centrique de 251 enfants en NPAD entre les années 2000 et 2013, le taux de mortalité était de 13%. Notons que 52% ont été sevrés de la NP (durée moyenne 1,9 an \pm 0,4), 34% recevaient toujours de la NP et 5% ont été adressés à un centre adulte (13). Une autre étude au Royaume-Uni retrouvait quant à elle une mortalité à 1 an de 10,5%, principalement due à la pathologie sous-jacente (22). Par ailleurs, sur le long terme, la majorité des enfants en NPAD ont un développement cognitif normal (23,24) et sont en moyenne plus petits que la population générale (25,26), quant au poids, les études sont discordantes.

Bien qu'indispensable dans la prise en charge de l'insuffisance intestinale, la NPAD reste donc une prise en charge lourde, pouvant induire des complications et avoir des conséquences financières, psychosociales et affectives importantes, avec un retentissement sur la qualité de vie de l'enfant et de son entourage (20).

3. *Concept de qualité de vie*

La **qualité de vie** a été définie par l'Organisation Mondiale de la Santé (OMS) en 1993 comme « la façon dont les individus perçoivent leur existence compte tenu de la culture et du système de valeurs dans lequel ils vivent et en fonction de leurs buts, de leurs attentes de leurs normes et de leurs préoccupations » (27). La qualité de vie d'un individu dépend de sa santé physique, de son état psychologique, de son niveau d'indépendance, de ses rapports sociaux, des facteurs environnementaux et de ses croyances personnelles (28).

Le concept de **qualité de vie relative à la santé** et de ses déterminants sont apparus dans les années 1980 pour inclure les aspects de la qualité de vie globale du patient qui peuvent affecter sa santé (physique et mentale) (29). Il s'agit donc d'un concept multidimensionnel incluant au minimum les domaines physiques, psychiques et sociaux ainsi que les symptômes liés à la maladie et aux traitements.

Les deux termes sont utilisés dans la littérature pour étudier la qualité de vie dans le domaine de la santé.

Du fait de sa composante multidimensionnelle et d'une subjectivité individuelle, ce concept est difficile à évaluer, d'autant plus en pédiatrie, où, lorsque l'enfant est trop jeune pour s'exprimer, les parents se retrouvent comme évaluateurs de la qualité de vie de leur enfant. Des questionnaires qualité de vie généralistes ont donc été développés (30), ainsi que des questionnaires spécifiques d'une maladie, pour évaluer la qualité de vie d'enfants atteints de maladies chroniques, telles que l'asthme (31), le diabète (32), la neurofibromatose de type 1 (33), l'épilepsie (34), l'œsophagite à éosinophile (35), ou encore les maladies inflammatoires chroniques de l'intestin (MICI) (36).

4. *Qualité de vie des enfants en nutrition parentérale à domicile et de leur entourage*

Il est maintenant admis que la mesure de la qualité de vie des patients en NPAD est un résultat aussi important que bon nombre d'indicateurs cliniques traditionnels utilisés, comme la croissance staturo-pondérale, les taux de réadmission à l'hôpital, les taux de complications et la morbidité. Même si les symptômes de la maladie sous-jacente se sont atténués, la NPAD, du fait de sa logistique et de ses complications (thrombose, infections, rupture du CVC ...), peut avoir un impact significatif sur le mode de vie. Plusieurs études se sont déjà intéressées à la qualité de vie des enfants en NPAD, nous allons détailler ici les principaux résultats en fonction des différentes méthodes utilisées.

Etudes qualitatives

En 1997, 12 familles interrogées semblaient s'être habituées à la NPAD et ne décrivaient pas d'impact significatif de cette prise en charge sur les relations intrafamiliales ni sur le travail des parents (37). En 2004, une étude menée auprès de trois enfants en NPAD et de leurs mères *via* des entretiens semi-structurés et une analyse Verbatim a montré que les troubles du sommeil (bruit de la pompe), les contraintes logistiques et la peur de la mort et des complications (hépatique surtout, et également des infections de cathéter) étaient évoquées par tous. Les enfants considéraient vivre comme leurs congénères, participaient aux activités de leur âge et allaient normalement à l'école. Pour les mères, faire accepter socialement cette différence était compliqué. Les situations impliquant la nourriture étaient source d'angoisse (38). En 2005, une autre étude, comprenant des entretiens semi-structurés réalisés auprès de 20 familles, retrouvait également des troubles du sommeil chez tous les participants. Deux familles ont indiqué vivre le passage du prestataire/des infirmières comme une intrusion dans leur vie privée, et les soins étaient vécus comme un fardeau par la majorité. Sont ressortis de plus une fatigue physique et psychologique, la peur du futur, l'impact sur la qualité de vie de la famille, les difficultés logistiques,

l'impression de ne pas être entendus par les équipes (para)-médicales et leur non disponibilité hors horaires ouvrables (39). En 2010, des interviews de 7 enfants de 7 à 17 ans ont été effectués par l'équipe d'Emedo *et al.* (40). Cinq thèmes principaux ont été abordés : vivre avec une maladie chronique, les restrictions, la vie sociale, l'identité et le futur. La peur des complications et notamment des infections de cathéter était récurrente. Le problème des pertes fécales et urinaires a été abordé par quatre enfants, de même que les troubles du sommeil et le fait d'être limité dans les activités sportives. Le fait d'avoir une nuit sans perfusion était apprécié pour pouvoir aller dormir chez des amis, et la limitation dans les possibilités de voyages était une source de frustration. Les relations avec la famille et les autres enfants étaient bonnes dans l'ensemble, les enfants étaient plutôt dans l'acceptation de leur maladie, même s'ils exprimaient le désir d'être comme les autres. Beaucoup d'enfants ont émis l'espoir qu'un traitement pour leur maladie soit trouvé. En 2013, 6 parents (5 mères et 1 père) d'enfants d'âge pré-scolaire ont répondu à des entretiens semi-structurés avec une analyse Verbatim (41). Ils étaient dans l'ensemble résilients, et mettaient en avant l'importance de la relation avec les professionnels de santé.

Etude mixte

En 2000, Wong *et al.* a mené une étude à la fois qualitative, *via* des focus groupes et des entretiens semi-structurés, et quantitative *via* deux questionnaires (le « General Health Questionnaire » et un questionnaire développé pour la British Artificial Nutrition Survey) auprès de 11 parents d'enfants avec une insuffisance intestinale, avec un groupe contrôle de 11 parents d'enfants en bonne santé (42). Il y avait plus de morbidité psychiatrique chez les parents des enfants en NPAD, et ils décrivaient une détérioration de leur vie sociale, de leur vie de famille, de leur vie sexuelle et de leur vie professionnelle après la maladie de leur enfant. Ils étaient plus fatigués et avaient plus de mal à prendre des vacances, faire du shopping, passer du temps avec leur partenaire, et beaucoup d'entre eux se sentaient frustrés, stressés, et avaient des troubles du sommeil.

Etudes quantitatives

Plusieurs études quantitatives se sont également intéressées à la qualité de vie des enfants en NPAD et de leurs familles.

Concernant les enfants, plusieurs études ont retrouvé un score global de qualité de vie plutôt bon, avec une médiane de 8/10 (8), ou qui ne différait pas de celui d'enfants en bonne santé (43). Cependant, lorsque l'on affinait selon les domaines, les enfants pouvaient présenter des scores plus faibles que ceux de la population générale concernant les activités, les interactions sociales et l'école (44). En effet, dans une étude française datant de 1993, 20% avaient un retard scolaire (45). Ceci était également retrouvé dans l'étude de Tran *et al.*, où des difficultés pour l'enfant ont été exprimées pour être attentif en classe (21%) et faire du sport (64%) ou des activités extra scolaires (79%), et dans laquelle 50% des familles reportaient des difficultés pour les tâches du quotidien (8). En revanche, dans cette même étude, la plupart des enfants étaient capables de s'adapter dans la vie quotidienne et d'avoir une vie sociale (83%). D'autres études ont montré que les enfants en NPAD pouvaient également avoir plus de problèmes psychologiques, demander plus d'attention à leurs parents, et être décrits comme anxieux, timides et sensibles (46). Comparés à des enfants en bonne santé, les enfants en NPAD avaient des scores plus faibles pour les items relatifs à l'hôpital, la santé, les médecins, les médicaments, les obligations, la croissance et le sport (43). L'impact sur l'état de santé physique était également retrouvé dans d'autres études (47,48). Concernant les symptômes, 52% des enfants avaient des troubles du sommeil principalement dus à des émissions de selles et d'urines nocturnes (45), et des douleurs abdominales fréquentes étaient corrélées avec des scores plus bas sur l'état de santé physique et la scolarité, et à un niveau d'inquiétude parentale plus important (47).

Dans l'étude de Gottrand *et al.*, les scores de qualité de vie n'étaient pas corrélés avec la durée de la NP, le nombre de perfusion par semaine ni le nombre d'hospitalisations, seule la présence d'une stomie influençait négativement la qualité de vie (43), ce qui n'était pas retrouvé dans l'étude de Tran *et al.* (8). Les scores donnés par les médecins étaient plus faibles que ceux donnés par les parents (43), et ceux des parents plus faibles que ceux de leurs enfants (47).

Concernant la qualité de vie des familles, le constat est identique. Dans une étude hollandaise récente, le score de qualité de vie relatif à la santé ne différait pas entre les parents d'enfants en NPAD et ceux d'enfants en bonne santé (49) et dans une étude anglaise, seules 2 familles sur 23 estimaient avoir une mauvaise qualité de vie (22). Cependant, dans cette même étude, 9 familles sur 23 rapportaient une détérioration de leur vie sociale et familiale après l'instauration de la NPAD (22), tandis que dans l'étude hollandaise, les mères d'enfants en NPAD avaient des scores plus faibles concernant les émotions dépressives, et les pères concernant les activités quotidiennes, comparés aux parents d'enfants en bonne santé (49). Les parents rapportaient une détresse psychologique plus importante et des problèmes au quotidien dans les domaines pratique, émotionnel, cognitif, social et en rapport avec la parentalité : cela concernait les soins de l'enfant, le fait de lui donner les médicaments, l'interaction avec lui, son indépendance, sa concentration, l'isolement, ainsi que le temps de loisir (49). En effet, dans l'étude de Loras Duclaux *et al.*, 83% des familles avaient du restreindre leurs loisirs, et la moitié des mères avaient du arrêter leur activité professionnelle (45). Il peut se poser également des problèmes de garde de l'enfant, ceci concernait 14 des 23 familles dans l'étude de Hoden *et al.* (22). Les parents ne rapportaient pas de problème financier, mais une inquiétude vis à vis du futur, ainsi que des soucis relatifs aux voyages (8). La question des voyages a été étudiée plus en détail dans une étude anglaise, dans laquelle 20 des 30 familles étaient parties en vacances (dont 14 en dehors du Royaume-Uni) en avion, voiture, bus ou train (50). Pour ceux n'étant pas partis, les raisons étaient la difficulté d'organisation, un enfant

non stable cliniquement ou sur liste d'attente pour une transplantation intestinale, l'impossibilité financière, un délai depuis l'instauration de la NPAD trop court. Pour 12 familles étant parties, le voyage était une bonne expérience, pour 5 familles, un effort et pour 3, une source importante de stress. L'obstacle le plus important était la taille des bagages et notamment des glacières pour le transport des poches.

Une seule étude s'est intéressée à la qualité de vie des frères et sœurs des enfants en NPAD, et ne retrouvait pas de différence significative par rapport à ceux des enfants en bonne santé (43).

Les résultats contradictoires de ces différentes études peuvent s'expliquer en partie par les différentes populations étudiées (enfants de 1 à 17 ans dans l'étude de Tran *et al.* (8), 6 mois à 6 ans dans celle de Sanchez *et al.* (48), 7 à 18 ans dans celle de Muntanen *et al.* (47)), mais également par les questionnaires utilisés. En effet, les questionnaires utilisés pour ces études étaient tous différents. Il s'agissait soit de questionnaires faits spécifiquement pour l'étude (50), soit des questionnaires non spécifiques validés pour les adultes et/ou les enfants (43). Dans certaines cas, plusieurs questionnaires étaient utilisés afin d'explorer les différents domaines relatifs à la qualité de vie (44,47,49). Deux études ont utilisé le même questionnaire généraliste PedsQL, validé pour étudier la qualité de vie des enfants en explorant les domaines physique, émotionnel, social et scolaire. Muntanen *et al.* y a ajouté le « gastro intestinal quality of life inventory » afin d'explorer également les domaines relatifs aux symptômes et à la maladie (47) et Sanchez *et al.* le « Family Impact Module » pour explorer le retentissement familial (48). Dans cette dernière étude, les parents ont indiqué les domaines qui leur semblaient manquer dans le PedsQL, à savoir la dépendance au cathéter central, la difficulté d'apprentissage de la propreté, l'impossibilité de manger certaines choses, l'impact des diarrhées sur la qualité de vie, l'absence d'item concernant l'inquiétude vis à vis de la voie centrale, l'impact financier sur la famille, l'impact sur leurs activités quotidiennes, leur vie sociale et leur parentalité (48).

Tout ceci reflète la difficulté d'utiliser des questionnaires généralistes pour évaluer la qualité de vie d'un enfant en NPAD et de leur entourage. Notre constat est que cette évaluation nécessite l'utilisation d'un questionnaire spécifique à ce contexte médical, à cette prise en charge et à l'âge pédiatrique. A l'heure actuelle, une seule étude a adapté à l'enfant un questionnaire adulte sur la qualité de vie des patients en NPAD, mais aucun questionnaire sur la qualité de vie des enfants en NPAD n'a été établi suivant une méthodologie reconnue dans le développement de questionnaires sur la qualité de vie des patients (51).

5. Méthodologie du développement d'un questionnaire sur la qualité de vie des patients

Les principales étapes de développement d'un questionnaire sur la qualité de vie sont (51,52) :

- l'identification des questions pertinentes relatives à la qualité de vie, à partir des données de la littérature, de questionnaires ou d'interviews de patients concernés et/ou de professionnels de santé ayant l'expertise de ce domaine,
- la conversion de ces questions sélectionnées en une liste d'items et la construction d'un questionnaire préliminaire,
- la phase de pré-test du questionnaire auprès d'un nombre réduit de patients, afin d'identifier et résoudre les problèmes d'utilisation du questionnaire (la syntaxe, l'ordre des questions, leur redondance...) et de tester son acceptabilité,
- la phase de test à plus grande échelle du questionnaire pour déterminer sa validité, sa sensibilité et sa reproductibilité et tester ses éventuelles traductions.

B. Objectifs de l'étude

L'objectif principal de cette étude était de sélectionner les items à intégrer dans un questionnaire spécifique visant à évaluer la qualité de vie des enfants en NPAD, grâce à une revue de la littérature et à une méthode de consensus Delphi incluant à la fois des soignants (médecins, infirmiers, diététiciens et psychologues) et des patients et/ou leur famille.

Les objectifs secondaires étaient :

- i.* d'avoir un retour qualitatif sur les facteurs influençant la qualité de vie des enfants en NPAD et de leur entourage *via* les propositions d'ajout d'items par les soignants et les familles,
- ii.* de comparer les réponses entre soignants et les familles.

II. Article original

Quality of life in children receiving home parenteral nutrition: development of an pediatric assessment tool

A.Maffre, MD¹ ; D.Guimber, MD² ; N.Peretti, MD, PhD³ ; B.Dubern, MD, PhD⁴ ;
E.Dugelay, MD⁵ ; G.Foulon, MD⁶ ; S.Gastineau, MD⁶ ; M-E.Coste, MD⁷ ; H.Clouzeau,
MD⁸ ; L.Joly, MD¹ ; T.Lamireau, MD, PhD⁸ ; R.Enaud, MD⁸

¹ CHU Bordeaux, unité de néonatalogie 4eB, Hôpital des enfants (Pellegrin), Bordeaux

² CHU Lille, unité de gastroentérologie, hépatologie et nutrition, Hôpital Jeanne de Flandre, Lille

³ CHU Lyon, service d'hépatogastroentérologie et nutrition, Hôpital Femme mère enfant, Lyon

⁴ APHP, service de nutrition et gastro entérologie pédiatrique, Hôpital Armand Trousseau, Paris

⁵ APHP, service des maladies digestives et respiratoires de l'enfant, Hôpital Robert Debré, Paris

⁶ CHU Rennes, hépatogastroentérologie et nutrition pédiatrique, Rennes

⁷ APHM, Pédiatrie multidisciplinaire Timone, Marseille

⁸ CHU Bordeaux, unité de gastroentérologie et nutrition pédiatrique, Hôpital des enfants (Pellegrin),
Bordeaux

Details of authors' contributions

Study conception: AM, TL, LJ

Study design: AM, TL, RE, DG

Data collection: AM, BD, ED, DG, GF, SG, M-EC, HC, NP

Statistical analysis: AM

Data interpretation: AM, TL, RE

Drafting article: AM, RE

All authors reviewed and approved the final document.

Acknowledgments to F. Saillour (MD, Univ.Bordeaux, Bordeaux, Inserm U1219, CHU Bordeaux, department of Public Health) for approving methodology; and to all of the participants (nurses, psychologists, dieticians, physicians and families).

Conflict of interest: none declared

Funding sources: no external funding for this manuscript

Corresponding author: Anaïs Maffre, CHU Bordeaux, Hôpital des enfants, service de néonatalogie et soins intensifs néonataux 4eB, place Amélie Raba Léon, 33076, Bordeaux cedex; anais.maffre@u-bordeaux.fr

Abbreviations: CVL central venous line, IF intestinal failure, IQR Interquartile range, HPN Home parenteral nutrition, HRQOL Health related quality of life, PN parenteral nutrition, QOL quality of life, SBS short bowel syndrome, SBBO Short Bowel Bacterial Overgrowth.

ABSTRACT

Introduction- The number of children with intestinal failure has increased in recent years. Home parenteral nutrition (HPN) is the reference treatment. The management of HPN children therefore involves significant changes for children and their family, which may affect their quality of life (QOL). At this time, there are no validated pediatric instruments available to assess the QOL of HPN children and their families. The objective of this study is to select relevant questions to be included in an assessment tool for HPN children and their families.

Methods- We used a literature review and then Delphi method to select relevant items. For the Delphi study, the experts were healthcare professionals and families from expert centers in France. A threshold of 80% defined consensus. Experts could propose additional items during the first round.

Results- After a literature review, we identified and submitted to the experts 81 potential elements from 12 domains related to QOL of HPN children and their family. Thirty-six experts from 7 centers participated to the first round of Delphi method, and 23 to the second. Forty-seven items were validated in the first round, 14 were added between the first and second rounds. Finally, 82 items were selected for the questionnaire.

Discussion- This national study identified relevant items to assess the QOL of HPN children and their families. A provisional questionnaire has been developed and will need to be tested and validated in a future study.

Keywords: Home parenteral nutrition, intestinal failure, quality of life, children, short bowel syndrome

Introduction

Chronic intestinal failure (IF) is defined by “a reduction of the functional gut below the minimum necessary for the absorption of macronutrients and/or water and electrolytes, such that intravenous supplementation is required to maintain health or growth” (1). For the time being, reference treatment is home parenteral nutrition (HPN), which requires a multidisciplinary team from an expert center and the participation of parents (2). The management of these patients has improved considerably in recent years, with the enhancement of neonatal, medical and surgical cares, central venous line (CVL) care and parenteral nutrition (PN) composition, resulting in an increase of the survival and the number of HPN children (2–7).

Home management of CVL and HPN involves many changes for children and family life. Perfusions are performed during the night for 10 hours or more with a portative pump (2). Frequency of HPN or CVL complications is high, including CVL relative infections or thrombosis, IF-associated liver disease, renal failure, and bone disease (6,8–10). In addition, symptoms relative to underlying disease could affect daily life, such as presence of a stoma or small bowel bacterial overgrowth (SBBO), which is usually associated with anorexia or digestive symptoms (6,9). All these aspects of the HPN or the underlying disease can affect the quality of life (QOL) of HPN children and their family.

Few studies, with quantitative or qualitative methodology, have focused in QOL of HPN children and their results are inconsistent. On the one hand, global QOL score didn't differ in some studies between healthy and HPN children (11–13). On the other hand, other studies have determined some of the repercussions of HPN. Children on HPN had lower score than healthy children for social interactions, leisure and psychological distress (14–16). Thirty percent of family with HPN children didn't travel abroad (17). In qualitative studies, limitations in sport and to sleep out with friends were a source of frustration (18). Moreover, school troubles and difficulties for daily activities were reported, and physical functioning could be impaired in HPN children (12–15,19). Sleeping disturbance and worries

about future was reported several studies for both children and parents (15,19–23). Qualitative studies showed that families seemed resilient to HPN (24,25). Several studies reported deterioration of social and family life after introduction of HPN (20–23). Fear of complications, burden of care, frustration, physical and psychological distress is frequently reported (21–23). Parents of HPN children had lower QOL scores than healthy children's parents, including impacts in depressive emotions for mothers and daily activities for fathers (11,16). Some studies showed an influence on the parental professional activity (15,21), at contrary of others (24).

Overall, the results of these studies may be inconsistent, particularly due to the different methods employed and, in quantitative studies, the different questionnaires used, most of which are generalist. Our observation, shared by other authors, is that QOL assessment of HPN children and their family requires the use of a disease-specific questionnaire for the pediatric age (13). At present, only one study has adapted an adult questionnaire on the QOL of HPN patients to children, but no questionnaire on the QOL of HPN children has been developed according to a validated methodology in the development of quality of life questionnaires for patients (26). The aim of this study was to validate the potential issues that could affect QOL of HPN children, in order to create a specific questionnaire for the pediatric age.

Methods

Selection of quality of life issues from the literature

We have done a literature review on Pubmed base to select potential issues that could be important to include in a questionnaire to evaluate QOL of HPN children. We included the results of the previous studies focused on the QOL of HPN children (11–25). We also included items from others questionnaires interesting in QOL of children, generalist ones (e.g. TNO AZL Children's Quality of Life Questionnaire (27), or PedsQL (Pediatric Quality of Life Inventory (28)) with different modules like PedsQL Family Impact Module (29) or disease-specific ones, like Gastrointestinal Symptoms Module and others disease-specific questionnaires (30–33). We also took issues from adult questionnaires interesting in HPN people (34).

We identified 12 domains of interest with relevant items: physical symptoms (11 items), physical functioning (4 items), daily life/autonomy (6 items), caregiving (3 items), school functioning (7 items), social functioning (3 items), psychological functioning (7 items), material organization (8 items), medical following (4 items), holidays (2 items), impact on siblings (11 items) and impact on parents (15 items).

Validation of the quality of life issues using the Delphi method

Delphi is a qualitative method to obtain a consensus from an experts group (35–37). A questionnaire was sent to an expert on a topic, and then he/she may adjust him/her initial ratings based on feedback from the group (37).

The final questionnaire sent to the experts contained the 81 items selected with the literature review (Annex 1).

Expert also completed questions about the medical center, category of expert (physician, nurse, psychologist, dietician, parent, children), children's age, children's underlying disease, time of HPN, presence of stoma. All data are anonymous.

The consensus to approve a question was defined by a validation rate greater than 80%. This threshold is higher than the median threshold of 75% chosen in the Delphi studies, but we wanted to select the most relevant items (37). For each item, we asked to the expert if this item is useful, in his/her opinion, to assess QOL of HPN children. Three responses were possible: yes, no, maybe. For each domain, the expert could add items. Items that obtained more than 80% of “yes” at the first round were selected. Items that obtained more than 80% of “no” were excluded. Items that not obtained consensus were presented for the second round. We synthesized the issues proposed by the experts in the first round and proposed them in the second round. In the second round, only two answers were possible: yes or no.

Participants of the Delphi method

The study was conducted between March and July 2019. The selected experts were nutrition team members in each French HPN accredited center (and candidate centers for accreditation), including physicians (one or two by center), nurses (the HPN coordinator of each center), psychologists (one by center), and dieticians (one by center), and also families' members (parents and children in HPN, five by center, if it possible with different ages). Number of people from each category was chosen to assure an equal proportion of nutrition team members and families. We contacted by e-mail ten centers in France: Bordeaux, Lille, Lyon, Marseille, Nantes, Paris Necker, Paris Robert Debré, Paris Trousseau, Rennes, and Toulouse. Documents were transmitted to families via medical team.

Statistical analysis

All analysis have been done with RStudio[®] version 3.5.1 (R project). Quantitative variables were expressed as median with interquartile range (IQR) and qualitative ones by

numbers with percentages. To compare qualitative variables, Chi square tests with Yates' correction were used. A significance threshold of 0.05 was adopted for all analysis. We compared families' responses and medical staff ones at each round.

Results

Participants

Questionnaire has been sent to physicians of the ten centers. For each center, physicians transmitted the questionnaire to the HPN coordination nurse, psychologist and dietician, and to five families. We received 36 answers from seven centers (Bordeaux, Lille, Lyon, Marseille, Paris Robert Debré, Paris Trousseau and Rennes): 8 from physicians (two in the same center), 3 from dieticians, 5 from coordinator nurses, 3 from psychologists, and 18 from families (parents and child, included three from the same family) (Table1).

Concerning families, 4 children and 14 parents completed questionnaires. Median age were 10 years old (interquartile range (IQR): 4.6 – 11, minimum 1.4 and maximum 20 years old). Underlying diseases were short bowel syndrome (SBS) (68%) (including gastroschisis, necrotizing enterocolitis, apple peel syndrome, intestinal atresia and volvulus), untreatable congenital diarrhea (13%), chronic intestinal pseudo obstruction (13%) and Hirschprung disease (6%). Fifty six percent of them had a stoma. Median time from HPN introduction was 8 years (interquartile range 5 – 11 years, minimum 0.7, maximum 20 years).

Table 1. Characteristics of study participants, study about quality of life of children on HPN, France, 2019

	First round	Second round
	(N = 36)	(N= 23)
	n (%) or m (IQR)	n (%) or m (IQR)
Healthcare professionals	18 (50.0)	12 (52.2)
Category		
Physician	8 (44.4)	6 (50.0)
Nurse	5 (27.8)	2 (16.7)
Psychologist	3 (16.7)	2 (16.7)
Dietician	2 (11.1)	2 (16.7)
Center		
Bordeaux	4 (22.2)	2 (16.7)
Lille	3 (16.7)	3 (25.0)
Lyon	1 (5.6)	1 (8.3)
Marseille	2 (11.1)	1 (8.3)
Paris Trousseau	3 (16.7)	2 (16.7)
Paris RD	3 (16.7)	2 (16.7)
Rennes	2 (11.1)	1 (8.3)
Families	18 (50.0)	11 (47.8)
Category		
Parent	14 (77.8)	8 (72.7)
Child	4 (22.2)	3 (27.3)
Etiology		
SBS	11 (68.8)	6 (66.6)
CIPO	2 (12.5)	2 (22.2)
Hirschprung	1 (6.2)	1 (11.1)
Diarrhea	2 (12.5)	0
Child's age (years)	10.0 (4.6 – 11)	10.0 (4.5-10)
HPN time (years)	8.0 (5 – 11)	7.0 (4.25 – 9)
Stoma (yes)	10 (55.6)	8 (72.7)
Center		
Bordeaux	2 (11.1)	2 (18.2)
Lille	6 (33.3)	5 (45.5)
Lyon	0	0
Marseille	0	0
Paris Trousseau	5 (27.8)	3 (27.3)
Paris RD	5 (27.8)	1 (9.1)
Rennes	0	0

N: number, % percentage; m: median, IQR: interquartile range

Issues' selection

Issues' selection during the different steps of the study is presented in Figure 1.

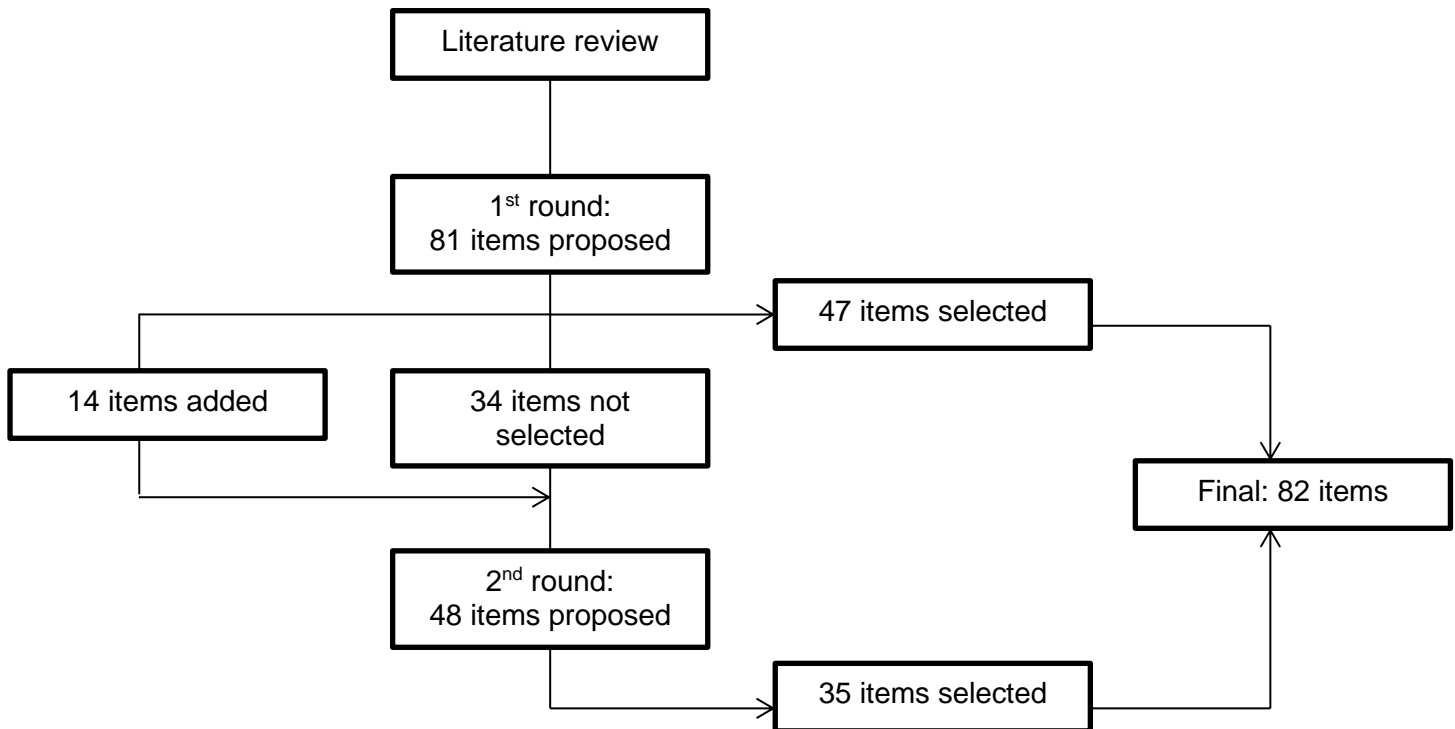


Figure 1. Issues' selection during the study, quality of life of children on HPN, France, 2019

First round

After the first round, 47 items were selected (more than 80% of “yes”): 7 belonging to the domain “symptoms”, 2 to the domain “physical functioning”, 1 to “daily life”, 2 to “caregiving”, 4 to “school functioning”, 2 to “social life”, 3 to “psychological functioning”, 7 to “material organization”, 3 to “medical following”, 2 to “holidays”, 3 to the domain “impact on siblings” and 11 to “impact on parents”. No items were excluded. Details of results are presented in Annex 2.

Concerning the “qualitative” return, we had many propositions of others issues from 7 families, 4 nurses, 2 psychologists and 2 physicians. The synthesis of propositions highlighted several new items: one in the domain “symptoms” concerning pains, one in “physical functioning” concerning alteration of body image by stoma, one in “daily life” concerning stoma equipment, one in “school functioning”, concerning a fast access to toilets,

two in “social life”, relative to sports activities and nights out of home, one on “psychological functioning” concerning feeling different from others children, three in “material organization” relative to cares’ time, number of perfusions by week, and PN bags logistic. We also added one item in “medical following”, concerning capacity of medical staff to answer quickly in case of emergency, one in “impact on siblings” concerning parents’ availability, two in “impact on parents”, concerning feeling guilty and financial resources of family. Finally, we included 14 added items for second round (Annex 3).

Second round

For second round, participation’s rate was 64%, with 12 medical team members and 11 families’ members.

At the end of the second round, 35 items on 48 were selected: two in the domain “symptoms”, one in the domain “physical functioning”, three in “social life”, one in “caregiving”, three in “school functioning”, three in “social life”, five in “psychological functioning”, three in “material organization”, one in “medical following”, seven in “impact on siblings”, six in “impact on parents”. Concerning added items in the first round, all were selected, except “stoma equipment”. Details of results were presented in Annex 4.

Comparison of responses between caregivers and families.

In the first round, we compared answers between medical staff and families; there was a statistical difference for 40 items. Among them, eight were selected in the first round, including vomiting and nausea (100% of “yes” from medical staff versus 72.2% from families, $p= 0.05$), alteration of body image by CVL (100% of “yes” from medical staff versus 61.1% from families, $p= 0.01$, and only 50% from children), two concerned the possibility for parents to leave the child in a nursery or to others families ‘members (100% of “yes” from medical staff versus 72.2% from families for each item, $p = 0.05$) and one concerned sports at school (100% of “yes” from medical staff versus 66.7% from families’ members, $p = 0.03$). There was also an item focused on the extra school activities (100% of “yes” from medical staff

versus 72.2% from families' members), another one concerning child's frustration (100% of "yes" from medical staff versus 61.1% from families' members, $p=0.01$) and the last one was about autonomy for connected PN perfusions (100% from medical staff versus 66.7% from families' members, $p = 0.03$) The others were presented for second round (Annex 3).

If we had taken into account only the answers of healthcare professionals, 71 items would have been selected in the first round, compared to 13 in the group of families' members.

In the second round, there was a statistical difference between medical staff and families' answers for only six items, that were not selected (results presented in Annex 4). First one concerned autonomy for eating (100% of "yes" from medical staff versus 45.5 from families' members, $p= 0.01$), second one difficulties with stoma equipment (100% of "yes" from medical staff versus 45.5% from families' answers ($p= 0.01$), third one concerned pump's noise (100% of "yes" from medical staff 54.5% from families' members, $p = 0.03$), another one focused on difficulties with treatment (100% of "yes" from medical staff versus 50% from families' members, $p= 0.02$), and the two last ones concerned impact on siblings: depressive emotions/sadness (100% from medical staff versus 50% from families' members, $p = 0.02$) and anger (100% of "yes" from the medical staff versus 30% from families' members, $p= 0.002$).

If we had taken into account only the responses of healthcare professionals, all, except three, of the questions would have been selected after the second round, while only half of the questions would have been selected by family members.

Discussion

Patients' quality of life is increasingly recognized as important endpoint in the management. However, no specific tools have been developed to assess the quality of life of HPN children. In this study, we have selected 82 items belonging to 12 domains concerning QOL of children on HPN that 36 experts from seven centers considered important to include in a specific questionnaire.

Classical and validated methodology to elaborate questionnaires is qualitative, with focus groups (38) or semi-structured interviews (34) after a literature review to identify the relevant issues. In this study, we chose Delphi method, which allowed us in a short period of time to gather opinion from a large group of experts from seven centers in France, who could be difficult to bring together for a focus group because of time and geographical constraints. According to Kawakami *et al.* study, semi structured interviews are time consuming with a devoted time ranging from 21 to 109 minutes (25). Furthermore, we used results from several studies with semi-structured interviews of parents and children on HPN to develop our first questionnaire. Moreover, in the first round, through an open-ended question at the end of each domain, the experts could suggest new issues, as they could do in a qualitative study.

In our Delphi methodology, we chose an 80% threshold to define a consensus. It was higher than the median one of 75% in Delphi studies (37). We know that healthcare professionals are more pessimistic about patient's QOL than families (11) and we hypothesized that they would select more items than the families. This hypothesis was verified in our study, with statistical differences observed between the two groups of experts concerning the answers of 40 items in the first round and 6 in the second. In each round, the number of participants in the both groups was comparable, which meant that the opinion of one of them was not favored. In addition, the choice of a high consensus threshold limited the validation of items that divided the two groups.

In the time available, we were able to complete two rounds, but it corresponds to the number of rounds performed in most of Delphi studies (37). In the second round, 13 items did not obtain consensus, while participation rate was 64% with an equal proportion of caregivers and families. The number of participants in the second round was 23, whereas the majority of Delphi studies include between 11 and 25 experts in their final round (37). The results of the second round could therefore be considered interpretable, provided that the families participating in the second round are not the most affected by HPN. To respect a real definition of consensus in Delphi studies, it could be interesting to do more rounds until all items are validated or excluded, but participation's rate could be lower than in second round and be insufficient (37).

A majority of items selected at the first round were the most present in literature, including items focused on symptoms and to physical functioning (11,13,16,19,39), material organization (22,23) or holidays (17,19). In daily life domain, only 1 of the six items was selected. Concerning impact on family, for siblings, only three of the 11 items were selected, according the limited impact on siblings described in the literature (11); whereas a majority of items were selected concerning impact on parents in line with the previous studies (11,15,16,21–23).

Moreover, all items added by experts for the first round were selected at the second (except difficulties with stoma equipment, but only some of children had a stoma), highlighting the importance of allowing experts to suggest additional items. The 13 items not selected at the end of the second round were not the most relevant in the literature and in clinical practice (except sleeping troubles for children but an equivalent item was selected in the parents' domain in the first round.).

As they were confronted with HPN in their daily lives, the participation of patients and their parents was essential. We were able to have a wide panel of etiologies of intestinal failure (SBC, motility disorders, enterocyte congenital diseases). Fifty-six percent of patients included had stoma, a rate close to 59% found in the study of Tran *et al.* (19). Median time since the HPN instauration was 8 (IQR 5-11) years in our study, while it is generally lower in

other studies: 32 (IQR 8-182) months in study of Tran *et al.* or 3.1 (IQR 1-10) years in study of Van Oers *et al.* (16). The length of time since the introduction of HPN in our study may have influenced the responses of patients and their parents, knowing that the QOL improves over time. The age range of the children was broad (pre scholar, scholar, adolescent and young adult ones), but none were under 1 year old, which may impact conclusions of our study by forgotten some specific issues for this age. Furthermore, median age (10 years old with IQR 4.6-11) was higher than in other's studies (5.1 IQR 3-17.4 for Van Oers *and al.* (16) and 4 (1-17) for Tran *et al.* (19)).

We also included as experts from the nutrition team of French centers all people that we considered as proxy of HPN children: coordinator nurse, physician, psychologist and dietician, according to the EORCT guidelines (26); some authors have also include surgeon, biochemist and pharmacist (34). It seemed important not to limit the experts to children and their parents, but to include different professionals involved in the care of HPN children for their global vision of the management, according previous qualitative studies (34,38,40).

We highlighted a lot of difference between the group of health care professionals and families' members. Despite a threshold at 80%, 8 items with significantly different answers between the both groups were selected, but the "yes" rate in both groups was above 60%, reflecting a common trend. In second round, no item with a statistical difference between groups was selected. We have to take care because families can sometimes respond based solely on their own experience (for example, 5 on the 18 families didn't answer for items concerning siblings because they have just one child) and didn't consider the global QOL.

We constructed a provisional questionnaire (Annex 5) to evaluate QOL of children in HPN and their families, including all items we have selected in our study. We chose an analysis over the last 4 months, which corresponds to the interval between two visits to the expert center (2), which can be used to assess the impact of any changes in management or complications over this period (34).

The third step of development of this questionnaire will be the pre testing phase (34,41) according to guidelines for development of quality of life questionnaires (26). The provisional questionnaire will be sent to few physicians to test it in a sample of patients and their families who did not participate of this present study. Using a complementary questionnaire, we will collect their impressions to find out if there are any questions they found difficult to answer, boring, confusing, confusing or irrelevant. Finally, it will be important to calculate the reliability and reproducibility of the questionnaire, with two evaluation points in a short period with stable subjects (34,41).

Conclusion

HPN is used to compensate intestinal failure of children, but its impact on QOL of the child and his/her family should be considered. Specific questionnaires to evaluate QOL are important to improve management of these children. We have selected 82 items on 12 relevant domains important to evaluate QOL of children on HPN, according to experts as healthcare professionals and children and families from different centers in France.

A provisional questionnaire has been developed and is expected to undergo its pre-test phase in the near future.

References

1. Pironi L, Arends J, Baxter J, Bozzetti F, Peláez RB, Cuerda C, et al. ESPEN endorsed recommendations. Definition and classification of intestinal failure in adults. *Clin Nutr*. 2015 Apr 1;34(2):171–80.
2. Hill S, Ksiazek J, Prell C, Tabbers M, ESPGHAN/ESPEN/ESPR/CSPEN working group on pediatric parenteral nutrition. ESPGHAN/ESPEN/ESPR/CSPEN guidelines on pediatric parenteral nutrition: Home parenteral nutrition. *Clin Nutr*. déc 2018;37(6 Pt B):2401-8.3. Abi Nader E, Lambe C, Talbotec C, Pigneur B, Lacaille F, Garnier-Lengliné H, et al. Outcome of home parenteral nutrition in 251 children over a 14-y period: report of a single center. *Am J Clin Nutr*. 2016;103(5):1327–36.
4. Diamanti A, Capriati T, Gandullia P, Di Leo G, Lezo A, Lacitignola L, et al. Pediatric Chronic Intestinal Failure in Italy: Report from the 2016 Survey on Behalf of Italian Society for Gastroenterology, Hepatology and Nutrition (SIGENP). *Nutrients*. 5 nov 2017;9(11).
5. Beath SV, Gowen H, Puntis JW. Trends in paediatric home parenteral nutrition and implications for service development. *Clin Nutr*. 2011 Aug 1;30(4):499–502.
6. D'Antiga L, Goulet O. Intestinal failure in children: the European view. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2013 Feb;56(2):118–26.
7. Colomb V, Dabbas-Tyan M, Taupin P, Talbotec C, Révillon Y, Jan D, et al. Long-term outcome of children receiving home parenteral nutrition: a 20-year single-center experience in 302 patients. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2007 Mar;44(3):347–53.
8. Kaufman SS, Matsumoto CS. Management of pediatric intestinal failure. *Minerva Pediatr*. 2015 Aug;67(4):321–40.
9. Goulet O, Ruemmele F. Causes and management of intestinal failure in children. *Gastroenterology*. 2006 Feb;130(2 Suppl 1):S16-28.
10. Mutanen A, Wales PW. Etiology and prognosis of pediatric short bowel syndrome. *Semin Pediatr Surg*. 2018 Aug;27(4):209–17.
11. Gottrand F, Staszewski P, Colomb V, Loras-Duclaux I, Guimber D, Marinier E, et al. Satisfaction in different life domains in children receiving home parenteral nutrition and their families. *J Pediatr*. 2005 Jun;146(6):793–7.
12. Mutanen A, Kosola S, Merras-Salmio L, Kolho K-L, Pakarinen MP. Long-term health-related quality of life of patients with pediatric onset intestinal failure. *J Pediatr Surg*. 2015 Nov;50(11):1854–8.
13. Sanchez SE, McAteer JP, Goldin AB, Horslen S, Huebner CE, Javid PJ. Health-related quality of life in children with intestinal failure. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2013 Sep;57(3):330–4.
14. Engström I, Björnestam B, Finkel Y. Psychological distress associated with home parenteral nutrition in Swedish children, adolescents, and their parents: preliminary results. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2003 Sep;37(3):246–50.

15. Loras Duclaux I, De Potter S, Pharaon I, Olives JP, Hermier M. [Quality of life of children with home parenteral nutrition and of their parents]. *Pediatric*. 1993;48(7–8):555–60.
16. van Oers HA, Haverman L, Olieman JF, Neelis EG, Jonkers-Schuitema CF, Grootenhuis MA, et al. Health-related quality of life, anxiety, depression and distress of mothers and fathers of children on Home parenteral nutrition. *Clin Nutr Edinb Scotl*. 2018 Jul 2;
17. Mantegazza C, La Vela V, Hill S, Köglmeier J. Travelling With Children on Home Parenteral Nutrition. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2016 Jan;62(1):145–9.
18. Emedo M-J, Godfrey EI, Hill SM. A qualitative study of the quality of life of children receiving intravenous nutrition at home. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2010 Apr;50(4):431–40.
19. Tran LC, Lazonby G, Morello R, Pham D, Ellis D, Goldthorpe J, et al. How good is quality-of-life for children receiving home parenteral nutrition? - A pilot study. *Clin Nutr ESPEN*. 2019 Feb;29:119–24.
20. Holden CE. Review of home paediatric parenteral nutrition in the UK. *Br J Nurs*. 2001 Jun 28;10(12):782–8.
21. Wong C, Akobeng AK, Miller V, Thomas AG. Quality of life of parents of children on home parenteral nutrition. *Gut*. 2000 Feb;46(2):294–5.
22. Silver HJ. The Lived Experience of Home Total Parenteral Nutrition: An Online Qualitative Inquiry With Adults, Children, and Mothers. *Nutr Clin Pract*. 2004 Jun 1;19(3):297–304.
23. Sexton E, Coad J, Holden C. Review of homecare packages for paediatric HPN patients. *Br J Nurs Mark Allen Publ*. 2005 Nov;14(20):1080–5.
24. Carlsson G, Håkansson A, Rubensson A, Finkel Y. Home parenteral nutrition (HPN) in children in Sweden. *Pediatr Nurs*. 1997 Jun;23(3):272–4.
25. Kawakami C, Fujiwara C. Experiences of parents' with children receiving long-term home parenteral nutrition. *Pediatr Int*. 2013 Oct 1;55(5):612–8.
26. Blazeby J, Sprangers M, Cull A, Groenvold M, Bottomley A. EORTC Quality of Life Group. Guidelines for developing Questionnaire Modules. 4th ed. Brussels: EORTC; 2011.
27. Verrips Egh, Vogels Tgc, Koopman Hm, Theunissen Ncm, Kamphuis Rp, Fekkes M, Et Al. Measuring Health-Related Quality Of Life In A Child Population. *European Journal Of Public Health*. 1 Sept 1999;9(3):188-93.
28. Varni JW, Seid M, Rode CA. The PedsQL: measurement model for the pediatric quality of life inventory. *Med Care*. 1999 Feb;37(2):126–39.
29. Varni JW, Sherman SA, Burwinkle TM, Dickinson PE, Dixon P. The PedsQL™ Family Impact Module: Preliminary reliability and validity. *Health Qual Life Outcomes*. 2004 Sep 27;2:55.

30. Nutakki K, Varni JW, Steinbrenner S, Draucker CB, Swigonski NL. Development of the pediatric quality of life inventory neurofibromatosis type 1 module items for children, adolescents and young adults: qualitative methods. *J Neurooncol.* 2017;132(1):135–43.
31. P Franciosi J, Hommel K, B Greenberg A, DeBrosse C, Greenler A, Abonia J, et al. Development of the Pediatric Quality of Life Inventory (TM) Eosinophilic Esophagitis Module items: qualitative methods. *BMC Gastroenterol.* 2012 Sep 25;12:135.
32. Follansbee-Junger KW, Mann KA, Guilfoyle SM, Morita DA, Varni JW, Modi AC. Development of the PedsQL™ Epilepsy Module: Focus group and cognitive interviews. *Epilepsy Behav EB.* 2016;62:115–20.
33. Griffiths AM, Nicholas D, Smith C, Munk M, Stephens D, Durno C, et al. Development of a quality-of-life index for pediatric inflammatory bowel disease: dealing with differences related to age and IBD type. *J Pediatr Gastroenterol Nutr.* 1999 Apr;28(4):S46-52.
34. Baxter JP, Fayers PM, McKinlay AW. The development and translation of a treatment-specific quality of life questionnaire for adult patients on home parenteral nutrition. *European e-Journal of Clinical Nutrition and Metabolism.* 1 févr 2008;3(1):e22-8.
35. Bourrée F, Michel P, Salmi LR. Méthodes de consensus : revue des méthodes originales et de leurs grandes variantes utilisées en santé publique. *Rev D'Épidémiologie Santé Publique.* 2008 Dec 1;56(6):415–23.
36. Humphrey-Murto S, Varpio L, Wood TJ, Gonsalves C, Ufholz L-A, Mascioli K, et al. The Use of the Delphi and Other Consensus Group Methods in Medical Education Research: A Review. *Acad Med J Assoc Am Med Coll.* 2017;92(10):1491–8.
37. Diamond IR, Grant RC, Feldman BM, Pencharz PB, Ling SC, Moore AM, et al. Defining consensus: a systematic review recommends methodologic criteria for reporting of Delphi studies. *J Clin Epidemiol.* 2014 Apr;67(4):401–9.
38. Varni JW, Kay MT, Limbers CA, Franciosi JP, Pohl JF. PedsQL gastrointestinal symptoms module item development: qualitative methods. *J Pediatr Gastroenterol Nutr.* 2012 May;54(5):664–71.
39. Mutanen A, Kosola S, Merras-Salmio L, Kolho K-L, Pakarinen MP. Long-term health-related quality of life of patients with pediatric onset intestinal failure. *J Pediatr Surg.* 2015 Nov;50(11):1854–8.
40. Goodwin, D. A. J., Boggs, **S. R.**, & **Graham-Pole, J.** Development and validation of the Pediatric Oncology Quality of Life Scale. *Psychological Assessment.* 1994;6(4):321-8.
41. Berghöfer P, Fragkos KC, Baxter JP, Forbes A, Joly F, Heinze H, et al. Development and validation of the disease-specific Short Bowel Syndrome-Quality of Life (SBS-QoL™) scale. *Clin Nutr Edinb Scotl.* 2013 Oct;32(5):789–96.

III. Discussion

A. Synthèse des principaux résultats

La qualité de vie des patients est de plus en plus considérée dans la prise en charge globale des patients. Il est donc important de pouvoir l'évaluer correctement, or, à notre connaissance, aucune échelle pédiatrique spécifique n'a encore été élaborée selon une méthodologie validée afin d'évaluer la qualité de vie des enfants en NPAD (51,52). Dans cette étude, grâce à une revue de la littérature puis à l'avis de 36 experts provenant de 7 centres français, nous avons pu sélectionner 82 items couvrant 12 domaines de la vie des enfants et de leur famille, qu'il paraît important d'inclure dans un questionnaire évaluant la qualité de vie des enfants en NPAD.

B. Interprétation, forces et limites de l'étude

La méthodologie classique et validée pour la création de questionnaires sur la qualité de vie est une approche qualitative. La première étape a pour objectif de sélectionner les domaines pertinents concernant la qualité de vie, à partir d'une revue de la littérature puis d'entretiens auprès des patients et des professionnels de santé (51). Les entretiens avec les patients peuvent être conduits en « focus group » (53) et/ou de façon semi-structurée (52), puis les patients sont amenés à classer les idées évoquées selon leur pertinence. De la même façon, l'avis des professionnels de santé est demandé, puis une synthèse est effectuée et la liste d'items est construite (51). Dans notre étude, après avoir effectué une revue de la littérature afin de sélectionner les domaines et items d'intérêt, nous avons choisi d'utiliser une méthode Delphi pour interroger les familles et les soignants, et sélectionner les items selon leur pertinence. Cette méthodologie nous a permis d'obtenir, dans un temps relativement court, l'avis d'un large groupe d'experts provenant de sept centres différents en France, qu'il aurait été difficile de réunir, notamment à cause des contraintes géographiques

et de temps. En effet, les entretiens semi-structurés nécessitent un temps dédié conséquent (21 à 209 minutes par entretien dans l'étude de Kawakami *et al.* (41)), pour le patient et pour celui qui l'interroge. Par ailleurs, nous avons également pu utiliser les résultats des précédentes études qualitatives ayant effectué des entretiens avec les enfants en NPAD et leurs familles, afin de construire la liste d'items présentée au premier tour. De plus, pour chaque domaine, les experts pouvaient suggérer des items qui leur semblaient pertinents, ce qui nous a permis d'avoir également un retour « qualitatif » et la 14 proposition d'ajout de 14 items.

Dans cette méthode Delphi, nous avons choisi un seuil de 80% pour définir l'obtention du consensus. Ce seuil est légèrement supérieur au seuil médian des autres études réalisées selon cette méthodologie, qui est de 75% (54). En effet, nous savons que les soignants sont généralement plus pessimistes que les familles pour évaluer la qualité de vie (43). Nous avons donc fait l'hypothèse qu'ils voudraient sélectionner plus d'items que les familles. Cette hypothèse a par ailleurs été vérifiée dans notre étude puisqu'au premier tour, il y avait une différence significative dans les réponses entre les groupes pour 40 des 81 items (soit quasiment la moitié), et au deuxième tour pour 6 des 48 items proposés. Nous avons au premier comme une deuxième tour, le même nombre de soignants que de familles, ce qui nous a permis de ne pas favoriser l'opinion d'un groupe par rapport à l'autre. De plus, le choix d'un seuil élevé de consensus a permis de limiter la sélection des items pour lesquelles il y avait une trop grande différence d'opinion entre les soignants et les familles.

Dans le temps imparti, nous avons effectué deux tours, ce qui correspond au nombre de tours réalisés dans la plupart des études Delphi (54). A la fin du deuxième tour, 13 items n'avaient pas obtenu de consensus et le taux de participation était de 64%, soit 23 experts, avec une proportion égale de soignants et de familles entre le premier et le deuxième tour. Le nombre d'experts lors de notre deuxième tour était cohérent avec le nombre de

participants au tour final de la majorité des études Delphi, à savoir entre 11 et 25 (54). Les résultats du deuxième tour pouvaient donc être considérés comme étant interprétables, sous réserve que les familles ayant répondu au deuxième tour ne soient pas celles pour lesquelles la NPAD a le plus de retentissement, ce qui pourrait impacter nos résultats. Pour respecter la définition stricte du consensus de la méthode Delphi, il aurait été intéressant de refaire des tours jusqu'à ce que tous les items aient obtenu un consensus, c'est à dire aient été exclus ou validés, mais le taux de participation aurait pu encore diminuer, et le nombre d'experts devenir insuffisant (54).

La majorité des items sélectionnés lors du premier tour étaient ceux le plus fréquemment retrouvés dans la littérature, notamment ceux relatifs aux symptômes ou à l'état de santé physique (8,43,47–49), en rapport avec l'organisation logistique (39,55) ou avec le fait de pouvoir partir en vacances (8,50). Pour les items qui concernaient la vie quotidienne, seulement un des six items a été sélectionné, ce qui correspond aux conclusions de l'étude de Tran *et al.*, à savoir que les enfants étaient capables de s'adapter dans la vie quotidienne (8). De plus, dans notre étude, les enfants étaient pour la plupart jeunes, et donc avec une autonomie « relative ». Quand les parents n'avaient qu'un seul enfant, il pouvait être difficile pour eux d'évaluer si l'autonomie « normale » d'un enfant de cet âge aurait pu être différente. Concernant le retentissement sur la famille, pour le domaine relatif aux frères et sœurs, seuls trois des 11 items proposés ont été sélectionnés lors du premier tour, ce qui reflète bien les résultats de l'étude de Gottrand *et al.*, dans laquelle les scores de qualités de vie ne différaient pas entre les frères et sœurs des enfants en NPAD par rapport à ceux d'enfants en bonne santé (43). En revanche, la majorité des items relatifs à la qualité de vie des parents ont été sectionnés, ce qui reflète l'impact important de la NPAD sur la vie des parents, confirmant les résultats des études précédentes (38,39,42,43,45,49).

On remarque également que tous les items qui ont été ajoutés entre le premier et le deuxième tour, suite aux propositions des experts, ont été sélectionnés (excepté celui concernant les difficultés d'équipement de stomie, mais tous les enfants n'avaient pas de stomie). Ceci montre l'importance d'avoir permis aux experts d'ajouter des items qui leurs paraissaient manquer dans notre première liste.

Les 13 items finalement non sélectionnés à l'issue du deuxième tour n'étaient pas ceux fréquemment évoqués dans la littérature, et leur impact en clinique quotidienne était limité (excepté peut-être pour les troubles du sommeil chez les enfants, mais un item similaire a été sélectionné dans le domaine relatif aux parents ; et la polyurie nocturne et les troubles du transit, qui étaient les principaux facteurs impactant le sommeil dans l'étude de Loras Duclaux *et al.* (45), ont également été sélectionnés).

Avoir un nombre conséquent d'experts « familles » était important, puisque ce sont ceux qui sont confrontés au quotidien à la NPAD. Nous avons pu obtenir la réponse de parents mais également de 4 enfants ou jeunes adultes d'âges différents. Les étiologies d'insuffisance intestinale aiguë étaient diversifiées et représentatives des principales catégories (syndrome du grêle court, troubles de la motricité intestinale et anomalies entérocytaires). La proportion d'enfants ayant une stomie était de 56%, ce qui était proche du taux de 49% retrouvé dans l'étude de Tran *et al.* (8). Le temps médian depuis l'instauration de la NPAD était de 8 ans (intervalle interquartile (IQR) : 5-11 ans) dans notre étude, ce qui est plus élevé que dans la plupart des autres études : 32 (IQR 8-182) mois dans l'étude de Tran *et al.* (8) ou 3,1 (IQR 1-10) ans dans celle de Van Oers *et al.* (49). Le temps depuis l'instauration de la NPAD a pu influencer les réponses de nos experts, puisque la qualité de vie change au fur et à mesure de la prise en charge. Par exemple dans l'étude de Mantegazza *et al.*, plus les enfants étaient en NPAD depuis longtemps, plus les familles partaient en vacances ($p= 0,022$) (50). Nous avons des enfants de tous âges comme escompté, pré-scolaires, scolaires, adolescents et même jeunes adultes (en NPAD

depuis la naissance). En revanche, nous n'avions pas dans notre échantillon d'enfant de moins de 1 an, ce qui a pu contribuer à omettre certains items spécifiques à cette catégorie d'âge. De plus, l'âge médian des enfants de notre étude (10 ans (IQR 4,6-11)) était supérieur à celui retrouvé dans d'autres (5 ans (IQR 3-17,4) pour Van Oers *et al.* (49), 4 (IQR 1-17) pour Tran *et al.* (8)), ce qui a pu influencer certaines réponses.

Nous avons également pris comme experts les membres des équipes de gastro-entérologie et nutrition pédiatriques qui suivent les enfants en NPAD, à savoir les médecins, les infirmières coordinatrices de la NPAD, les psychologues et les diététiciens, selon les recommandations de l'EORCT (51). Certains auteurs ont également inclus des chirurgiens, les biochimistes et les pharmaciens (52). Il nous semblait important de ne pas limiter les experts aux enfants et leurs parents, et d'inclure également différents professionnels de santé impliqués dans la prise en charge de ces enfants, comme dans les études qualitatives d'élaboration de questionnaires qualité de vie (52,53,56). En effet, la prise en charge de différents enfants en NPAD leur permet d'avoir une vision plus globale.

Nous avons mis en évidence, comme nous nous y attendions, des différences de point de vue entre les experts « soignants » et « familles ». Malgré un seuil de consensus relativement élevé, lors du premier tour, 8 items pour lesquels il y avait une différence significative entre ces deux groupes ont été sélectionnés. Selon les recommandations de l'EORCT, lorsqu'il y a de réelles discordances entre les avis des patients et ceux des professionnels de santé sans parvenir à s'accorder, l'avis des patients doit primer (51). La sélection de ces 8 items pourrait alors être discutable, cependant, les taux de réponses dépassaient les 60% de « oui » dans les 2 groupes pour l'ensemble des items, leur sélection reflète donc une tendance globale. En revanche au second tour, aucun item pour lequel il y avait une différence significative entre les réponses des 2 groupes n'a été sélectionné. Il faut prendre en compte le fait que pour certains items, les familles aient pu considérer uniquement leur propre expérience sans réfléchir sur la qualité de vie de l'ensemble des

enfants (par exemple 5 familles n'ont pas répondu aux items concernant les frères et sœurs car ils n'avaient qu'un seul enfant), ce qui a pu entraîner, en fonction des expériences de chacun, une grande diversité de réponses au sein du même groupe.

C. Perspectives

Nous avons, avec l'ensemble des items sélectionnés à l'issue des deux tours, construit un questionnaire provisoire (en Annexe 5 se trouve la version pour les enfants de plus de 8 ans et leurs parents, il existe des versions adaptées pour les différentes tranches d'âge (parents et enfants de 5-8 ans, parents des enfants de moins de 5 ans)) pour permettre d'évaluer la qualité de vie des enfants en NPAD. Nous avons choisi pour la durée sur laquelle la qualité de vie est évaluée une période de 4 mois, qui correspond à l'intervalle le plus fréquent entre deux visites dans le centre expert (12), ce qui pourra permettre aux cliniciens d'évaluer les changements effectués depuis la dernière visite et leur retentissement sur la qualité de vie de l'enfant et son entourage (52).

La prochaine étape du développement de ce questionnaire sera la phase de pré-test (52,57), selon les recommandations de développement des questionnaires qualité de vie (51). Le questionnaire provisoire sera envoyé aux médecins de différents centres, afin de le tester auprès d'un petit échantillon de patients n'ayant pas participé à notre étude. Ils devront remplir un document annexe concernant leurs impressions sur les questions ; en notifiant si certaines leurs semblent ennuyantes, difficiles à comprendre, redondantes ou non adaptées, ainsi que leurs suggestions d'amélioration.

La phase suivante consistera en une phase de test de plus grande ampleur afin de tester l'acceptabilité du questionnaire, sa reproductivité et sa fiabilité en faisant deux

évaluations sur une courte période avec des sujets stables, et pour finir, sa validité externe, en le comparant avec un autres questionnaire, dont le choix sera à définir (51,52,57).

IV. Conclusion

La NPAD est le traitement de référence de l'insuffisance intestinale aiguë, mais ses contraintes logistiques et ses complications peuvent avoir un impact sur la qualité de vie des patients et de leur entourage. Lors de la prise en charge d'enfant en NPAD, une évaluation de leur qualité de vie doit pouvoir être effectuée le plus précisément possible, afin d'optimiser la prise en charge. Dans l'objectif d'élaborer le premier questionnaire pédiatrique spécifique de l'évaluation de la qualité de vie d'un enfant en NPAD, nous avons sélectionné 82 items répartis selon 12 domaines de la vie des enfants et de leur famille qui semblent importants à inclure. Un questionnaire provisoire a été élaboré et devrait subir sa phase de pré test prochainement.

Bibliographie

1. Fleming CR, Remington M (1981). Intestinal failure. Hill GI, ed. Nutrition and the surgical patient: Clinical Surgery International. Edinburgh, Churchill Livingstone p 219–35. In.
2. Pironi L, Arends J, Baxter J, Bozzetti F, Peláez RB, Cuerda C, et al. ESPEN endorsed recommendations. Definition and classification of intestinal failure in adults. Clin Nutr. 2015 Apr 1;34(2):171–80.
3. Bielawska B, Allard JP. Parenteral Nutrition and Intestinal Failure. Nutrients. 6 mai 2017;9(5).
4. D'Antiga L, Goulet O. Intestinal failure in children: the European view. J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2013 Feb;56(2):118–26.
5. Mangalat N, Teckman J. Pediatric Intestinal Failure Review. Children (Basel). 2018 Jul 20;5(7):100. 6. Goulet O, Ruemmele F, Lacaille F, Colomb V. Irreversible intestinal failure. J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2004 Mar;38(3):250–69.
7. Kaufman SS, Matsumoto CS. Management of pediatric intestinal failure. Minerva Pediatr. 2015 Aug;67(4):321–40.
8. Tran LC, Lazonby G, Morello R, Pham D, Ellis D, Goldthorpe J, et al. How good is quality-of-life for children receiving home parenteral nutrition? - A pilot study. Clin Nutr ESPEN. 2019 Feb;29:119–24.
9. Goulet O, Ruemmele F. Causes and management of intestinal failure in children. Gastroenterology. 2006 Feb;130(2 Suppl 1):S16-28.
10. Jo S-YC, McCallum Z, Shalley H, Peterkin M, Rogers E, Paxton G, et al. Outcomes of Children with Chronic Intestinal Failure: Experience Over Two Decades at a Tertiary Paediatric Hospital. J Pediatr Gastroenterol Nutr. 2019 May 6;
11. Quilliot D, Michot N, Malgras A. Définition et épidémiologie du grêle court et de l'insuffisance intestinale. Côlon Rectum. 2016 Nov 1;10(4):219–25.
12. Hill S, Ksiazek J, Prell C, Tabbers M, ESPGHAN/ESPEN/ESPR/CSPEN working group on pediatric parenteral nutrition. ESPGHAN/ESPEN/ESPR/CSPEN guidelines on pediatric parenteral nutrition: Home parenteral nutrition. Clin Nutr. déc 2018;37(6 Pt B):2401-8. 13. Abi Nader E, Lambe C, Talbotec C, Pigneur B, Lacaille F, Garnier-Lengliné H, et al. Outcome of home parenteral nutrition in 251 children over a 14-y period: report of a single center. Am J Clin Nutr. 2016;103(5):1327–36.
14. Diamanti A, Capriati T, Gandullia P, Di Leo G, Lezo A, Lacitignola L, et al. Pediatric Chronic Intestinal Failure in Italy: Report from the 2016 Survey on Behalf of Italian Society for Gastroenterology, Hepatology and Nutrition (SIGENP). Nutrients. 5 nov 2017;9(11).
15. Beath SV, Gowen H, Puntis JWL. Trends in paediatric home parenteral nutrition and implications for service development. Clin Nutr. 2011 Aug 1;30(4):499–502.
16. Blondel B, Gonzalez L, Raynaud P. Enquête nationale périnatale Rapport 2016, Available from: http://www.xn--epop-inserm-ebb.fr/wp-content/uploads/2017/10/ENP2016_rapport_complet.pdf

17. Josseran A, Semenzato P, Nutrition parentérale à domicile : état des lieux et modalités de prise en charge - Rapport HAS 2008, Available from: https://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2008-07/rapport_nutrition_parenterale_a_domicile_2008-07-31_14-29-41_874.pdf
18. Gonzalez-Hernandez J, Daoud Y, Styers J, Journeycake JM, Channabasappa N, Piper HG. Central venous thrombosis in children with intestinal failure on long-term parenteral nutrition. *J Pediatr Surg*. 2016 May;51(5):790–3.
19. Mutanen A, Wales PW. Etiology and prognosis of pediatric short bowel syndrome. *Semin Pediatr Surg*. 2018 Aug;27(4):209–17.
20. Gottrand F, Sfeir R, Guimber D, Michaud L, Bonnevalle M, Turck D. Prise en charge à long terme du grêle court : spécificités de l'enfant. *Nutr Clin Métabolisme*. 2000 Dec 1;14(4):320–5.
21. Colomb V, Dabbas-Tyan M, Taupin P, Talbotec C, Révillon Y, Jan D, et al. Long-term outcome of children receiving home parenteral nutrition: a 20-year single-center experience in 302 patients. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2007 Mar;44(3):347–53.
22. Holden CE. Review of home paediatric parenteral nutrition in the UK. *Br J Nurs*. 2001 Jun 28;10(12):782–8.
23. Chesley PM, Sanchez SE, Melzer L, Oron AP, Horslen SP, Bennett FC, et al. Neurodevelopmental and Cognitive Outcomes in Children With Intestinal Failure. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2016;63(1):41–5.
24. Leonberg BL, Chuang E, Eicher P, Tershakovec AM, Leonard L, Stallings VA. Long-term growth and development in children after home parenteral nutrition. *J Pediatr*. 1998 Mar 1;132(3):461–6.
25. Norsa L, Artru S, Lambe C, Talbotec C, Pigneur B, Ruummele F, et al. Long term outcomes of intestinal rehabilitation in children with neonatal very short bowel syndrome: Parenteral nutrition or intestinal transplantation. *Clin Nutr Edinb Scotl*. 2019 Apr;38(2):926–33.
26. Pichler J, Chomtho S, Fewtrell M, Macdonald S, Hill SM. Growth and bone health in pediatric intestinal failure patients receiving long-term parenteral nutrition. *Am J Clin Nutr*. 2013 Jun;97(6):1260–9.
27. The WHOQOL Group. The World Health Organization Quality of Life assessment (WHOQOL) : positino paper from the World Health Organization. *Social science and medecine*, 1995;41:1403-9.
28. The World Health Organization quality of life assessment (WHOQOL): Position paper from the World Health Organization. *Soc Sci Med*. 1995 Nov 1;41(10):1403–9.
29. Karimi M, Brazier J. Health, Health-Related Quality of Life, and Quality of Life: What is the Difference? *Pharmacoeconomics*. 2016;34(7):645-9.
30. Varni JW, Seid M, Rode CA. The PedsQL: measurement model for the pediatric quality of life inventory. *Med Care*. 1999 Feb;37(2):126–39.

31. Poachanukoon O, Visitsunthorn N, Leurmarnkul W, Vichyanond P. Pediatric Asthma Quality of Life Questionnaire (PAQLQ): validation among asthmatic children in Thailand. *Pediatr Allergy Immunol*. mai 2006;17(3):207-12.
32. Besbes H, Hammami S, Dhahri D, Ben Salah A, Ghdira L, Ben Meriem C, et al. SFP P-024 - Etude de la qualité de vie des enfants atteints de diabète de type 1. *Arch Pédiatrie*. 2014 May 1;21(5, Supplement 1):734.
33. Nutakki K, Varni JW, Steinbrenner S, Draucker CB, Swigonski NL. Development of the pediatric quality of life inventory neurofibromatosis type 1 module items for children, adolescents and young adults: qualitative methods. *J Neurooncol*. 2017;132(1):135–43.
34. Follansbee-Junger KW, Mann KA, Guilfoyle SM, Morita DA, Varni JW, Modi AC. Development of the PedsQL™ Epilepsy Module: Focus group and cognitive interviews. *Epilepsy Behav EB*. 2016;62:115–20.
35. P Franciosi J, Hommel K, B Greenberg A, DeBrosse C, Greenler A, Abonia J, et al. Development of the Pediatric Quality of Life Inventory (TM) Eosinophilic Esophagitis Module items: qualitative methods. *BMC Gastroenterol*. 2012 Sep 25;12:135.
36. Griffiths AM, Nicholas D, Smith C, Munk M, Stephens D, Durno C, et al. Development of a quality-of-life index for pediatric inflammatory bowel disease: dealing with differences related to age and IBD type. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 1999 Apr;28(4):S46-52.
37. Carlsson G, Håkansson A, Rubensson A, Finkel Y. Home parenteral nutrition (HPN) in children in Sweden. *Pediatr Nurs*. 1997 Jun;23(3):272–4.
38. Silver HJ. The Lived Experience of Home Total Parenteral Nutrition: An Online Qualitative Inquiry With Adults, Children, and Mothers. *Nutr Clin Pract*. 2004 Jun 1;19(3):297–304.
39. Sexton E, Coad J, Holden C. Review of homecare packages for paediatric HPN patients. *Br J Nurs Mark Allen Publ*. 2005 Nov;14(20):1080–5.
40. Emedo M-J, Godfrey EI, Hill SM. A qualitative study of the quality of life of children receiving intravenous nutrition at home. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2010 Apr;50(4):431–40.
41. Kawakami C, Fujiwara C. Experiences of parents' with children receiving long-term home parenteral nutrition. *Pediatr Int*. 2013 Oct 1;55(5):612–8.
42. Wong C, Akobeng AK, Miller V, Thomas AG. Quality of life of parents of children on home parenteral nutrition. *Gut*. 2000 Feb;46(2):294–5.
43. Gottrand F, Staszewski P, Colomb V, Loras-Duclaux I, Guimber D, Marinier E, et al. Satisfaction in different life domains in children receiving home parenteral nutrition and their families. *J Pediatr*. 2005 Jun;146(6):793–7.
44. Engström I, Björneström B, Finkel Y. Psychological distress associated with home parenteral nutrition in Swedish children, adolescents, and their parents: preliminary results. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2003 Sep;37(3):246–50.

45. Loras Duclaux I, De Potter S, Pharaon I, Olives JP, Hermier M. [Quality of life of children with home parenteral nutrition and of their parents]. *Pediatric*. 1993;48(7–8):555–60.
46. Engström I, Björnestam B, Finkel Y. Psychological distress associated with home parenteral nutrition in Swedish children, adolescents, and their parents: preliminary results. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2003 Sep;37(3):246–50.
47. Mutanen A, Kosola S, Merras-Salmio L, Kolho K-L, Pakarinen MP. Long-term health-related quality of life of patients with pediatric onset intestinal failure. *J Pediatr Surg*. 2015 Nov;50(11):1854–8.
48. Sanchez SE, McAteer JP, Goldin AB, Horslen S, Huebner CE, Javid PJ. Health-related quality of life in children with intestinal failure. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2013 Sep;57(3):330–4.
49. van Oers HA, Haverman L, Olieman JF, Neelis EG, Jonkers-Schuitema CF, Grootenhuis MA, et al. Health-related quality of life, anxiety, depression and distress of mothers and fathers of children on Home parenteral nutrition. *Clin Nutr Edinb Scotl*. 2018 Jul 2;
50. Mantegazza C, La Vela V, Hill S, Köglmeier J. Travelling With Children on Home Parenteral Nutrition. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2016 Jan;62(1):145–9.
51. Blazeby J, Sprangers M, Cull A, Groenvold M, Bottomley A. EORTC Quality of Life Group. Guidelines for developing Questionnaire Modules. 4th ed. Brussels: EORTC; 2011.
52. Baxter JP, Fayers PM, McKinlay AW. The development and translation of a treatment-specific quality of life questionnaire for adult patients on home parenteral nutrition. *e-SPEN, the European e-Journal of Clinical Nutrition and Metabolism*. 1 févr 2008;3(1):e22-8. 53. Varni JW, Kay MT, Limbers CA, Franciosi JP, Pohl JF. PedsQL gastrointestinal symptoms module item development: qualitative methods. *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2012 May;54(5):664–71.
54. Diamond IR, Grant RC, Feldman BM, Pencharz PB, Ling SC, Moore AM, et al. Defining consensus: a systematic review recommends methodologic criteria for reporting of Delphi studies. *J Clin Epidemiol*. 2014 Apr;67(4):401–9.
55. Silver HJ. The lived experience of home total parenteral nutrition: an online qualitative inquiry with adults, children, and mothers. *Nutr Clin Pract Off Publ Am Soc Parenter Enter Nutr*. 2004 Jun;19(3):297–304.
56. Goodwin, D. A. J., Boggs, S. R., & Graham-Pole, J. Development and validation of the Pediatric Oncology Quality of Life Scale. *Psychological Assessment*. 1994;6(4):321-8.
57. Berghöfer P, Fragkos KC, Baxter JP, Forbes A, Joly F, Heinze H, et al. Development and validation of the disease-specific Short Bowel Syndrome-Quality of Life (SBS-QoL™) scale. *Clin Nutr Edinb Scotl*. 2013 Oct;32(5):789–96.

Annexes

Liste des annexes

Annexe 1 : Grille de cotation du premier tour

Annexe 2 : Résultats du premier tour

Annexe 3 : Grille de cotation du deuxième tour

Annexe 4 : Résultats du deuxième tour

Annexe 5 : Questionnaire préliminaire

ANNEXE 1. Grille de cotation 1^{er} tour Delphi

Elle peut être remplie par un soignant, un ou les 2 parent(s) et/ou un enfant de plus de 8 ans (aidé par ses parents pour les plus jeunes).

Il s'agit d'établir un questionnaire évaluant le mieux possible **l'impact de la nutrition parentérale** sur la **qualité de vie** de l'enfant et de sa famille.

Nous vous demandons quels sont pour vous **les items les plus utiles** pour **évaluer cette qualité de vie** (cocher « oui », « non » ou « peut être ») le but étant de **sélectionner** les items les plus pertinents à inclure dans le questionnaire final.

Vous pouvez également ajouter des propositions d'items qui vous semblent pertinents.

Merci de remplir au préalable ces quelques questions qui nous aideront pour les analyses :

- Centre :

- Vous êtes: soignant / parent / enfant de plus de 8 ans

- Si vous êtes soignant, vous êtes :
 - Médecin
 - Infirmier(e)/Puéricultrice
 - Psychologue
 - Diététicien(ne)

- Si vous êtes parent ou enfant :
 - Age (de l'enfant) :
 - Pathologie initiale :
 - Temps depuis l'instauration de la nutrition parentérale (mois ou années) :
 - Présence d'une stomie : oui / non

Tableau 2. Grille de cotation du premier tour, étude sur la qualité de vie des enfants en nutrition parentérale à domicile par méthode Delphi, France, 2019

Domaine	Item	Utile pour évaluer la qualité de vie		
		OUI	NON	Peut-être
Symptômes	<ul style="list-style-type: none"> - soif - manque d'appétit ou sensation de faim - restrictions alimentaires - difficultés à manger ou boire - troubles du transit (diarrhée/constipation) - polyurie nocturne (se lever pour aller uriner la nuit) - nausées/vomissements - douleurs abdominales - troubles du sommeil - céphalées (maux de tête) - asthénie (fatigue) 			
<i>Propositions d'ajout :</i>				
Physique	<ul style="list-style-type: none"> - état de santé général - altération de l'image corporelle par le cathéter - inquiétude par rapport au poids de l'enfant - inquiétude par rapport à la croissance de l'enfant (taille) 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Vie quotidienne	<ul style="list-style-type: none"> - capacité à faire des efforts simples (marcher, jouer) pour l'âge - autonomie pour s'habiller (pour l'âge) - autonomie pour se laver (pour l'âge) - autonomie pour aller aux toilettes (pour l'âge) - autonomie pour manger (pour l'âge) - se sentir indépendant 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Mode de garde	<ul style="list-style-type: none"> - possibilité de faire garder l'enfant dans une structure (crèche, assistante maternelle...) - possibilité de faire garder l'enfant par d'autres personnes de la famille (grand parents...) - possibilité d'obtenir un congé parental pour s'occuper de l'enfant 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Scolarité	<ul style="list-style-type: none"> - pouvoir être scolarisé normalement - capacité à être attentif en classe - pouvoir faire ses devoirs - pouvoir participer aux activités sportives - pouvoir participer aux sorties avec la classe - possibilité d'avoir une AVS (Auxiliaire de Vie Scolaire) - possibilité pour les parents de se rendre rapidement disponible en cas de problème (fièvre, fuite de stomie...) 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Vie sociale	<ul style="list-style-type: none"> - capacité relationnelle avec les amis/autres enfants - capacité à expliquer aux autres la situation - capacité à pratiquer des activités extra scolaires 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Etat psychologique de l'enfant	<ul style="list-style-type: none"> - inquiétude par rapport à son état de santé - inquiétude par rapport au futur - colère par rapport à la nutrition parentérale - anxiété - frustration - sentiment dépressif, tristesse - difficulté à exprimer son ressenti 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				

Organisation pratique	<ul style="list-style-type: none"> - autonomie pour le branchement - horaires de branchement - organisation/communication avec le prestataire - facilité d'utilisation de la pompe portable - nuisances sonores de la pompe - plusieurs membres de la famille formés - autonomie pour les soins de stomie - autonomie pour les soins de cathéter 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Suivi médical	<ul style="list-style-type: none"> - fréquence des hospitalisations pour complication - fréquence des consultations de suivi/HDJ - difficultés à prendre les traitements - relations avec l'équipe soignante 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Vacances	<ul style="list-style-type: none"> - Possibilité de partir en vacances - Possibilité de voyager à l'étranger 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Impact sur les frères et sœurs	<ul style="list-style-type: none"> - tristesse, dépression - colère - sentiment d'impuissance - anxiété/stress par rapport à l'enfant malade - inquiétude par rapport à l'avenir - impact sur la vie sociale - impact sur les activités extra scolaires - difficulté à parler aux autres de la situation - impact sur la vie quotidienne - impact sur les relations frères/sœurs - impact sur la scolarité 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				
Impact sur les parents	<ul style="list-style-type: none"> - tristesse, dépression - colère - sentiment d'impuissance - anxiété/stress par rapport à l'enfant - inquiétude par rapport à l'avenir - maintien d'une vie sociale - maintien d'activités personnelles - difficulté à parler aux autres de la situation - impact sur la vie quotidienne - impact sur la relation de couple - impact sur les relations intra familiales - impact sur la possibilité de remplir son rôle de parent (interactions avec l'enfant) - impact sur le travail - fatigue physique - troubles du sommeil 			
<i>Propositions d'ajout:</i>				

ANNEXE 2. Résultats du premier tour

Tableau 3. Résultats du premier tour Delphi, étude sur la qualité de vie des enfants en NPAD, France, 2019

* items sélectionnés à l'issue du premier tour Delphi
N : effectifs (% : pourcentages)
DM : données manquantes

Item	Oui	Non	Peut-être	DM	
	N (%)	N (%)	N (%)		
<i>Symptômes</i>					
1	Soif	25 (69,4)	5 (13,9)	6 (16,7)	
2*	manque d'appétit ou sensation de faim	30 (83,3)	3 (8,3)	3 (8,3)	
3	restrictions alimentaires	26 (72,2)	7 (19,4)	3 (8,3)	
4*	difficultés à manger ou boire	29 (80,6)	4 (11,1)	3 (8,3)	
5*	troubles du transit (diarrhée/constipation)	36 (100)	0	0	
6*	polyurie nocturne	34 (94,4)	0	2 (5,6)	
7*	nausées/vomissements	31 (86,1)	4 (11,1)	1 (2,8)	
8*	douleurs abdominales	29 (80,6)	5 (13,9)	2 (5,6)	
9	troubles du sommeil	25 (69,4)	9 (25,0)	2 (5,6)	
10	céphalées	19 (52,8)	7 (19,4)	10 (27,8)	
11*	asthénie	32 (91,4)	1 (2,9)	2 (5,7)	1
<i>Physique</i>					
12*	état de santé général	29 (80,6)	4 (11,1)	3 (8,3)	
13*	altération de l'image corporelle par le cathéter	29 (80,6)	4 (11,1)	3 (8,3)	
14	inquiétude par rapport au poids de l'enfant	27 (75,0)	4 (11,1)	5 (13,9)	
15	inquiétude par rapport à la croissance de l'enfant (taille)	24 (75,0)	4 (12,5)	4 (12,5)	4
<i>Vie quotidienne</i>					
16	capacité à faire des efforts simples (marcher, jouer) pour l'âge	25 (71,4)	6 (17,1)	4 (11,4)	1
17	autonomie pour s'habiller (pour l'âge)	20 (55,6)	10 (27,8)	6 (16,7)	
18	autonomie pour se laver (pour l'âge)	23 (63,9)	7 (19,4)	6 (16,7)	
19	autonomie pour aller aux toilettes (pour l'âge)	24 (66,7)	8 (22,2)	4 (11,1)	
20	autonomie pour manger (pour l'âge)	24 (66,7)	8 (22,2)	4 (11,1)	
21*	se sentir indépendant	31 (86,1)	4 (11,1)	1 (2,8)	
<i>Mode de garde</i>					
22*	possibilité de faire garder l'enfant dans une structure (crèche, assistante maternelle...)	31 (86,1)	4 (11,1)	1 (2,8)	
23*	possibilité de faire garder l'enfant par d'autres personnes de la famille (grand parents...)	31 (86,1)	4 (11,1)	1 (2,8)	
24	possibilité d'obtenir un congé parental pour s'occuper de l'enfant	27 (79,4)	4 (11,8)	3 (8,8)	2
<i>Scolarité</i>					
25*	pouvoir être scolarisé normalement	34 (97,1)	1 (2,9)	0	1
26	capacité à être attentif en classe	19 (52,8)	5 (13,9)	12 (33,3)	
27	pouvoir faire ses devoirs	18 (50,0)	7 (19,4)	11 (30,6)	
28*	pouvoir participer aux activités sportives	30 (83,3)	4 (11,1)	2 (5,6)	
29*	pouvoir participer aux sorties avec la classe	32 (91,4)	0	3 (8,6)	1
30	possibilité d'avoir une AVS (Auxiliaire de Vie Scolaire)	25 (78,1)	0	7 (21,9)	4
31*	possibilité pour les parents de se rendre rapidement disponible en cas de problème (fièvre, fuite de stomie...)	30 (88,2)	0	4 (11,8)	2
<i>Vie sociale</i>					
32*	capacité relationnelle avec les amis/autres enfants	33 (91,7)	3 (8,3)	0	
33	capacité à expliquer aux autres la situation	27 (75,0)	4 (11,1)	5 (13,9)	
34*	capacité à pratiquer des activités extra scolaires	31 (86,1)	4 (11,1)	1 (2,8)	

<i>Etat psychologique de l'enfant</i>					
35*	inquiétude par rapport à son état de santé	28 (80,0)	2 (5,7)	5 (14,3)	1
36*	inquiétude par rapport au futur	29 (80,6)	3 (8,3)	4 (11,1)	
37	colère par rapport à la nutrition parentérale	23 (63,9)	9 (25,0)	4 (11,1)	
38	Anxiété	26 (72,2)	5 (13,9)	5 (13,9)	
39*	Frustration	29 (80,6)	5 (13,9)	2 (5,6)	
40	sentiment dépressif, tristesse	24 (66,7)	8 (22,2)	4 (11,1)	
41	difficulté à exprimer son ressenti	24 (66,7)	5 (13,9)	7 (19,4)	
<i>Organisation pratique</i>					
42*	autonomie pour le branchement	30 (83,3)	5 (13,9)	1 (2,8)	
43*	horaires de branchement	32 (88,9)	3 (8,3)	1 (2,8)	
44*	organisation/communication avec le prestataire	31 (88,6)	1 (2,9)	3 (8,6)	1
45*	facilité d'utilisation de la pompe portable	33 (91,7)	2 (5,6)	1 (2,8)	
46	nuisances sonores de la pompe	26 (74,3)	5 (14,3)	4 (11,4)	1
47*	plusieurs membres de la famille formés	30 (83,3)	2 (5,6)	4 (11,1)	
48*	autonomie pour les soins de stomie	30 (85,7)	3 (8,6)	2 (5,7)	1
49*	autonomie pour les soins de cathéter	30 (83,3)	4 (11,1)	2 (5,6)	
<i>Suivi médical</i>					
50*	fréquence des hospitalisations pour complication	32 (88,9)	2 (5,6)	2 (5,6)	
51*	fréquence des consultations de suivi/HDJ	29 (80,6)	4 (11,1)	3 (8,3)	
52	difficultés à prendre les traitements	26 (72,2)	6 (16,7)	4 (11,1)	
53*	relations avec l'équipe soignante	29 (80,6)	3 (8,3)	4 (11,1)	
<i>Vacances</i>					
54*	Possibilité de partir en vacances	34 (97,1)	1 (2,9)	0	1
55*	Possibilité de voyager à l'étranger	29 (82,9)	5 (14,3)	1 (2,9)	1
<i>Impact sur les frères et sœurs</i>					
56	tristesse, dépression	21 (67,7)	6 (19,4)	4 (12,9)	5
57	Colère	20 (64,5)	8 (25,8)	3 (9,7)	5
58	sentiment d'impuissance	21 (67,7)	4 (12,9)	6 (19,4)	5
59*	anxiété/stress par rapport à l'enfant malade	28 (90,3)	2 (6,5)	1 (3,2)	5
60	inquiétude par rapport à l'avenir	17 (54,8)	6 (19,4)	8 (25,8)	5
61	impact sur la vie sociale	23 (74,2)	4 (12,9)	4 (12,9)	5
62	impact sur les activités extra scolaires	16 (51,6)	11 (35,5)	4 (12,9)	5
63	difficulté à parler aux autres de la situation	20 (64,5)	5 (16,1)	6 (19,4)	5
64*	impact sur la vie quotidienne	28 (90,3)	1 (3,2)	2 (6,5)	5
65*	impact sur les relations frères/sœurs	25 (80,6)	3 (9,7)	3 (9,7)	5
66	impact sur la scolarité	17 (56,7)	7 (23,3)	6 (20,0)	6
<i>Impact sur les parents</i>					
67*	tristesse, dépression	29 (80,6)	5 (13,9)	2 (5,6)	
68	Colère	23 (63,9)	9 (25,0)	4 (11,1)	
69*	sentiment d'impuissance	31 (86,1)	2 (5,6)	3 (8,3)	
70*	anxiété/stress par rapport à l'enfant	31 (86,1)	2 (5,6)	3 (8,3)	
71*	inquiétude par rapport à l'avenir	34 (94,4)	1 (2,8)	1 (2,8)	
72*	maintien d'une vie sociale	31 (86,1)	3 (8,3)	2 (5,6)	
73*	maintien d'activités personnelles	29 (80,6)	5 (13,9)	2 (5,6)	
74	difficulté à parler aux autres de la situation	28 (77,8)	4 (11,1)	4 (11,1)	
75*	impact sur la vie quotidienne	34 (94,4)	1 (2,8)	1 (2,8)	
76*	impact sur la relation de couple	29 (82,9)	4 (11,4)	2 (5,7)	1
77	impact sur les relations intra familiales	27 (77,1)	5 (14,3)	3 (8,6)	1
78	impact sur la possibilité de remplir son rôle de parent (interactions avec l'enfant)	27 (77,1)	7 (20,0)	1 (2,9)	1
79*	impact sur le travail	33 (94,3)	1 (2,9)	1 (2,9)	1
80*	fatigue physique	33 (91,7)	0	3 (8,3)	
81*	troubles du sommeil	28 (80,0)	1 (2,9)	6 (17,1)	1

Tableau 4. Comparaison des réponses du premier tour Delphi entre soignants et familles, étude sur la qualité de vie des enfants en NPAD, France, 2019

Item	Soignants (N=18)			Familles (N= 18)			DM	p-valeur
	Oui N (%)	Non N (%)	Peut-être N (%)	Oui N (%)	Non N (%)	Peut-être N (%)		
1	13 (72,2)	1 (5,6)	4 (22,2)	12 (66,7)	4 (22,2)	2 (11,1)		0,28
2	16 (88,9)	0	2 (11,1)	14 (77,8)	3 (16,7)	1 (5,6)		0,18
3	16 (88,9)	1 (5,6)	1 (5,6)	10 (55,6)	6 (33,3)	2 (11,1)		0,07
4	16 (88,9)	1 (5,6)	1 (5,6)	13 (72,2)	3 (16,7)	2 (11,1)		0,44
5	18 (100)	0	0	18 (100)	0	0		NA
6	18 (100)	0	0	16 (88,9)	0	2 (11,1)		0,47
7	18 (100)	0	0	13 (72,2)	4 (22,2)	1 (5,6)		0,05*
8	16 (88,9)	2(11,1)	0	13 (72,2)	3 (16,7)	2 (11,1)		0,28
9	17 (94,4)	1(5,6)	0	8 (44,4)	8 (44,4)	2 (11,1)		0,004*
10	9 (50,0)	3(16,7)	6 (33,3)	10 (55,6)	4 (22,2)	4 (22,2)		0,74
11	17 (100)	0	0	15 (83,3)	1 (5,6)	2 (11,1)	1	0,21
12	15 (83,3)	1 (5,6)	2 (11,1)	14 (77,8)	3 (16,7)	1 (5,6)		0,50
13	18 (100)	0	0	11 (61,1)	4 (22,2)	3 (16,7)		0,01*
14	14 (77,8)	1 (5,6)	3 (16,7)	13 (72,2)	3 (16,7)	2 (11,1)		0,54
15	12 (80,0)	0	2 (20,0)	12 (66,7)	4 (22,2)	1 (5,6)	4	0,09
16	15 (88,2)	0	2 (11,8)	10 (55,6)	6 (33,3)	2 (11,1)	1	0,03*
17	13 (72,2)	2(11,1)	3 (16,7)	7 (38,9)	8 (44,4)	3 (16,7)		0,07
18	15 (83,3)	0	3 (16,7)	8 (44,4)	7 (38,9)	3 (16,7)		0,01*
19	15 (83,3)	1 (5,6)	2 (11,1)	9 (50,0)	7 (38,9)	2 (11,1)		0,05*
20	16 (88,9)	1 (5,6)	1 (5,6)	8 (44,4)	7 (38,9)	3 (16,7)		0,02*
21	17 (94,4)	0	1 (5,6)	14 (77,8)	4 (22,2)	0		0,07
22	18 (100)	0	0	13 (72,2)	4 (22,2)	1 (5,6)		0,05*
23	18 (100)	0	0	13 (72,2)	4 (22,2)	1 (5,6)		0,05*
24	15 (88,2)	0	2 (11,8)	12 (70,6)	4 (23,5)	1 (5,9)	2	0,10
25	18 (100)	0	0	16 (94,1)	1 (5,9)	0	1	0,98
26	11 (61,1)	2(11,1)	5 (27,8)	8 (44,4)	7 (38,9)	3 (16,7)		0,60
27	11 (61,1)	4(22,2)	3 (16,7)	7 (38,9)	3 (16,7)	8 (44,4)		0,19
28	18 (100)	0	0	12 (66,7)	4 (22,2)	2 (11,1)		0,03*
29	17 (100)	0	0	15 (83,3)	0	3 (16,7)	1	0,25
30	14 (93,3)	0	1 (6,7)	11 (64,7)	0	6 (35,3)	4	0,13
31	15 (88,2)	0	2 (11,8)	15 (83,3)	0	2 (11,8)	2	1,00
32	18 (100)	0	0	15 (83,3)	3 (16,7)	0		0,23
33	15 (83,3)	0	3 (16,7)	12 (66,7)	4 (22,2)	2 (11,1)		0,10
34	18 (100)	0	0	13 (72,2)	4 (22,2)	1 (5,6)		0,05*
35	15 (83,3)	0	3 (16,7)	13 (76,5)	2 (11,8)	2 (11,8)	1	0,31
36	17 (94,4)	0	1 (5,6)	12 (66,7)	3 (16,7)	3 (16,7)		0,09
37	16 (88,9)	1 (5,6)	1 (5,6)	7 (38,9)	8 (44,4)	3 (16,7)		0,007*
38	17 (94,4)	0	1 (5,6)	9 (50,0)	5 (27,8)	4 (22,2)		0,01*
39	18 (100)	0	0	11 (61,1)	5 (27,8)	2 (11,1)		0,01*
40	17 (94,4)	0	1 (5,6)	7 (38,9)	8 (44,4)	3 (16,7)		0,001*
41	14 (77,8)	0	4 (27,2)	10 (55,6)	5 (27,8)	3 (16,7)		0,05*
42	18 (100)	0	0	12 (66,7)	5 (27,8)	1 (5,6)		0,03*
43	18 (100)	0	0	14 (77,8)	3 (16,7)	1 (5,6)		0,10
44	18 (100)	0	0	13 (76,5)	1 (5,9)	3 (17,6)	1	0,09
45	18 (100)	0	0	15 (83,3)	2 (11,1)	1 (5,6)		0,19
46	17 (94,4)	0	1 (5,6)	9 (52,9)	5 (29,4)	3 (17,6)	1	0,01*
47	16 (88,9)	0	2 (11,1)	14 (77,8)	2 (11,1)	2 (11,1)		0,34
48	18 (100)	0	0	12 (70,6)	3 (17,6)	2 (11,8)	1	0,04*
49	18 (100)	0	0	12 (66,7)	4 (22,2)	2 (11,1)		0,02*
50	18 (100)	0	0	14 (77,8)	2 (11,1)	2 (11,1)		0,10
51	18 (100)	0	0	11 (61,1)	4 (22,2)	3 (16,7)		0,01*
52	17 (94,4)	0	1 (5,6)	9 (50,0)	6 (33,3)	3 (16,7)		0,009*
53	18 (100)	0	0	11 (61,1)	3 (16,7)	4 (22,2)		0,01
54	17 (100)	0	0	17 (94,4)	1 (5,6)	0	1	1,00

55	16 (94,1)	0	1 (5,9)	13 (72,2)	5 (27,8)	0	1	0,04*
56	17 (94,4)	0	1 (5,6)	4 (30,8)	6 (46,2)	3 (23,1)	5	< 0,001*
57	17 (94,4)	0	1 (5,6)	3 (23,1)	8 (61,5)	2 (15,4)	5	< 0,001*
58	15 (83,3)	0	3 (16,7)	6 (46,2)	4 (30,8)	3 (23,1)	5	0,03*
59	18 (100)	0	0	10 (76,9)	2 (15,4)	1 (7,7)	5	0,10
60	14 (77,8)	0	4 (22,2)	3 (23,1)	6 (46,2)	4 (30,8)	5	0,002*
61	17 (94,4)	0	1 (5,6)	6 (46,2)	4 (30,8)	3 (23,1)	5	0,008*
62	13 (72,2)	3(16,7)	2 (11,1)	3 (23,1)	8 (61,5)	2 (15,4)	5	0,02*
63	16 (88,9)	0	2 (11,1)	4 (30,8)	5 (38,5)	4 (30,8)	5	0,002*
64	18 (100)	0	0	10 (76,9)	1 (7,7)	2 (15,4)	5	0,10
65	18 (100)	0	0	7 (53,8)	3 (23,1)	3 (23,1)	5	0,006*
66	14 (77,8)	0	4 (22,2)	3 (25,0)	7 (58,3)	2 (16,7)	6	<0,001*
67	18 (100)	0	0	11 (61,1)	5 (27,8)	2 (11,1)		0,01
68	18 (100)	0	0	5 (27,8)	9 (50,0)	4 (22,2)		<0,001*
69	18 (100)	0	0	13 (72,2)	2 (11,1)	3 (16,7)		0,05*
70	18 (100)	0	0	13 (72,2)	2 (11,1)	3 (16,7)		0,05*
71	18 (100)	0	0	16 (88,9)	1 (5,6)	1 (5,6)		0,35
72	18 (100)	0	0	13 (72,2)	3 (16,7)	2 (11,1)		0,05*
73	18 (100)	0	0	11 (61,1)	5 (27,8)	2 (11,1)		0,01
74	17 (94,4)	0	1 (5,6)	11 (61,1)	4 (22,2)	3 (16,7)		0,04
75	18 (100)	0	0	16 (88,9)	1 (5,6)	1 (5,6)		0,35
76	18 (100)	0	0	11 (64,7)	4 (23,5)	2 (11,8)	1	0,02*
77	18 (100)	0	0	9 (52,9)	5 (29,4)	3 (17,6)	1	0,004*
78	18 (100)	0	0	9 (52,9)	7 (41,2)	1 (5,9)	1	0,004*
79	18 (100)	0	0	15 (88,2)	1 (5,9)	1 (5,9)	1	0,32
80	18 (100)	0	0	15 (83,3)	0	3 (16,7)		0,23
81	18 (100)	0	0	10 (58,8)	1 (5,9)	6 (35,3)	1	0,01*

* différence significative entre les groupes

NA : non applicable

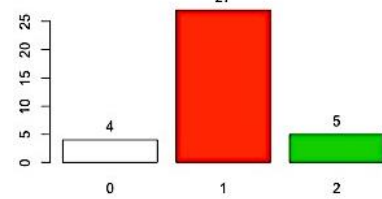
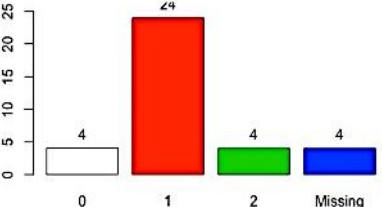
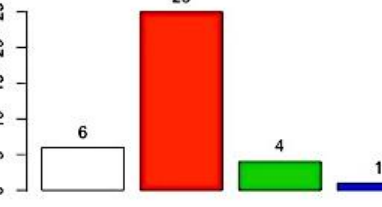
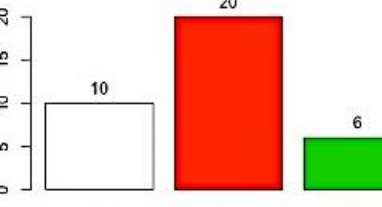
DM : données manquantes

N : effectifs, % : pourcentages

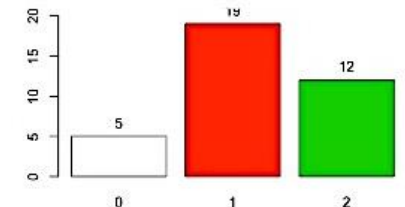
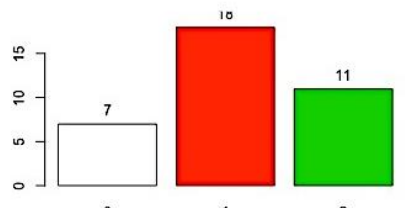
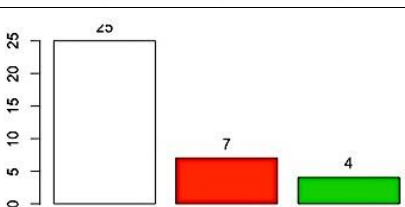
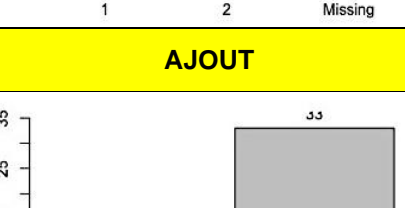
ANNEXE 3. Grille de cotation du deuxième tour

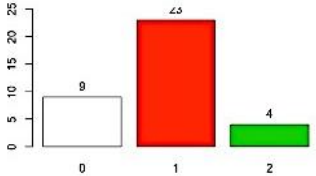
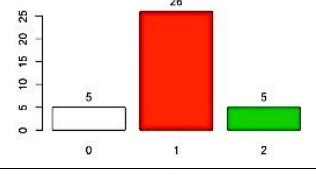
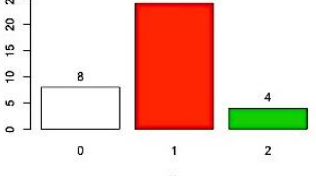
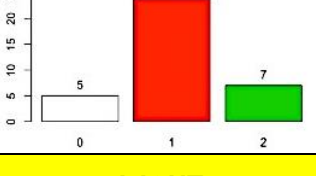
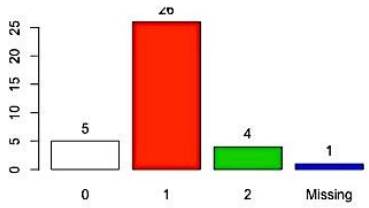
Tableau 5. Grille de cotation du deuxième tour, étude sur la qualité de vie des enfants en nutrition parentérale à domicile, méthode Delphi, France, 2019.

Graphiques: 0 = NON, 1 = OUI, 2 = PEUT ETRE, missing = données manquantes ; <i>italique</i> : items ajoutés au second tour												
Domaine	Item	Réponses aux premier tour	Votre réponse									
			OUI	NON								
Symptômes	Soif	<table border="1"> <tr><th>Response</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>5</td></tr> <tr><td>1</td><td>20</td></tr> <tr><td>2</td><td>6</td></tr> </table>	Response	Count	0	5	1	20	2	6		
	Response	Count										
	0	5										
	1	20										
	2	6										
Restrictions alimentaires	<table border="1"> <tr><th>Response</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>7</td></tr> <tr><td>1</td><td>20</td></tr> <tr><td>2</td><td>3</td></tr> </table>	Response	Count	0	7	1	20	2	3			
Response	Count											
0	7											
1	20											
2	3											
Troubles du sommeil	<table border="1"> <tr><th>Response</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>9</td></tr> <tr><td>1</td><td>20</td></tr> <tr><td>2</td><td>2</td></tr> </table>	Response	Count	0	9	1	20	2	2			
Response	Count											
0	9											
1	20											
2	2											
Céphalées (maux de tête)	<table border="1"> <tr><th>Response</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>7</td></tr> <tr><td>1</td><td>18</td></tr> <tr><td>2</td><td>10</td></tr> </table>	Response	Count	0	7	1	18	2	10			
Response	Count											
0	7											
1	18											
2	10											
	<i>Gestion des douleurs</i>	AJOUT										

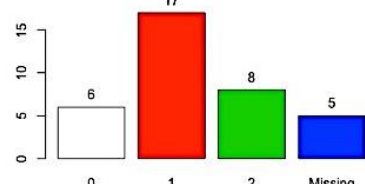
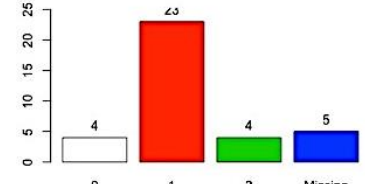
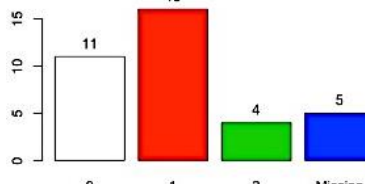
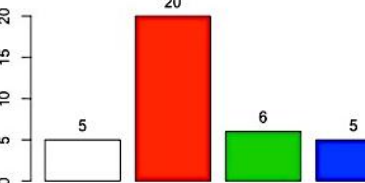
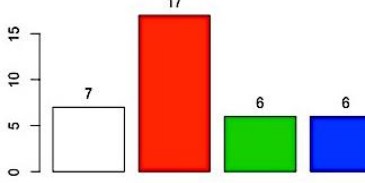
		AJOUT												
Physique	<i>Altération de l'image corporelle par la stomie</i>													
	Inquiétude par rapport au poids de l'enfant	 <table border="1"> <tr><th>Category</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>4</td></tr> <tr><td>1</td><td>21</td></tr> <tr><td>2</td><td>5</td></tr> </table>	Category	Count	0	4	1	21	2	5				
Category	Count													
0	4													
1	21													
2	5													
	Inquiétude par rapport à la croissance de l'enfant (taille)	 <table border="1"> <tr><th>Category</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>4</td></tr> <tr><td>1</td><td>24</td></tr> <tr><td>2</td><td>4</td></tr> <tr><td>Missing</td><td>4</td></tr> </table>	Category	Count	0	4	1	24	2	4	Missing	4		
Category	Count													
0	4													
1	24													
2	4													
Missing	4													
Vie quotidienne	Capacité à faire des efforts simples (marcher, jouer) pour l'âge	 <table border="1"> <tr><th>Category</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>6</td></tr> <tr><td>1</td><td>23</td></tr> <tr><td>2</td><td>4</td></tr> <tr><td>Missing</td><td>1</td></tr> </table>	Category	Count	0	6	1	23	2	4	Missing	1		
	Category	Count												
0	6													
1	23													
2	4													
Missing	1													
	Autonomie pour s'habiller (pour l'âge)	 <table border="1"> <tr><th>Category</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>10</td></tr> <tr><td>1</td><td>20</td></tr> <tr><td>2</td><td>6</td></tr> </table>	Category	Count	0	10	1	20	2	6				
Category	Count													
0	10													
1	20													
2	6													

	Autonomie pour se laver (pour l'âge)	<table border="1"> <tr><th>Category</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>7</td></tr> <tr><td>1</td><td>23</td></tr> <tr><td>2</td><td>6</td></tr> </table>	Category	Count	0	7	1	23	2	6				
	Category	Count												
	0	7												
	1	23												
2	6													
Autonomie pour aller aux toilettes (pour l'âge)	<table border="1"> <tr><th>Category</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>8</td></tr> <tr><td>1</td><td>24</td></tr> <tr><td>2</td><td>4</td></tr> </table>	Category	Count	0	8	1	24	2	4					
Category	Count													
0	8													
1	24													
2	4													
Autonomie pour manger (pour l'âge)	<table border="1"> <tr><th>Category</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>8</td></tr> <tr><td>1</td><td>24</td></tr> <tr><td>2</td><td>4</td></tr> </table>	Category	Count	0	8	1	24	2	4					
Category	Count													
0	8													
1	24													
2	4													
Difficulté d'appareillage des stomies		AJOUT												
Mode de garde	possibilité d'obtenir un congé parental pour s'occuper de l'enfant	<table border="1"> <tr><th>Category</th><th>Count</th></tr> <tr><td>0</td><td>4</td></tr> <tr><td>1</td><td>21</td></tr> <tr><td>2</td><td>3</td></tr> <tr><td>Missing</td><td>2</td></tr> </table>	Category	Count	0	4	1	21	2	3	Missing	2		
Category	Count													
0	4													
1	21													
2	3													
Missing	2													

Scolarité	Capacité à être attentif en classe			
	Pouvoir faire ses devoirs			
	Possibilité d'avoir une AVS (Auxiliaire de Vie Scolaire) et/ou participation de l'équipe scolaire aux soins (vider les poches de stomies....)			
	Possibilité d'avoir accès rapidement aux toilettes	AJOUT		
Vie sociale	Capacité à expliquer aux autres la situation			
	Pouvoir faire des activités sportives	AJOUT		
	Pouvoir faire des séjours hors du domicile comprenant des nuits (classes vertes, dormir chez des amis...)	AJOUT		

Etat psychologique de l'enfant	Colère par rapport à la nutrition parentérale <i>ou</i> <i>acceptation</i>			
	Anxiété			
	Sentiment dépressif, tristesse			
	Difficulté à exprimer son ressenti			
	<i>Se sentir différent des autres enfants</i>	AJOUT		
Organisation pratique	Nuisances sonores de la pompe			
	<i>Durée quotidienne des soins</i>	AJOUT		
	<i>Nombre de perfusions par semaine</i>	AJOUT		
	<i>Logistique des poches de nutrition parentérale (stockage, maintien au froid...)</i>	AJOUT		

Suivi médical	Difficultés à prendre les traitements	<table border="1"> <thead> <tr> <th>Catégorie</th> <th>Nombre de répondants</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>6</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>20</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>4</td> </tr> </tbody> </table>	Catégorie	Nombre de répondants	0	6	1	20	2	4				
	Catégorie	Nombre de répondants												
0	6													
1	20													
2	4													
	Capacité du réseau de soins à répondre en cas d'urgence	AJOUT												
Impact sur les frères et sœurs	Tristesse, dépression	<table border="1"> <thead> <tr> <th>Catégorie</th> <th>Nombre de répondants</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>6</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>21</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>4</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>5</td> </tr> </tbody> </table>	Catégorie	Nombre de répondants	0	6	1	21	2	4	Missing	5		
	Catégorie	Nombre de répondants												
	0	6												
1	21													
2	4													
Missing	5													
	Colère	<table border="1"> <thead> <tr> <th>Catégorie</th> <th>Nombre de répondants</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>8</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>20</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>3</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>5</td> </tr> </tbody> </table>	Catégorie	Nombre de répondants	0	8	1	20	2	3	Missing	5		
Catégorie	Nombre de répondants													
0	8													
1	20													
2	3													
Missing	5													
	Sentiment d'impuissance <i>ou de culpabilité (de ne pas être malade)</i>	<table border="1"> <thead> <tr> <th>Catégorie</th> <th>Nombre de répondants</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>4</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>21</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>6</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>5</td> </tr> </tbody> </table>	Catégorie	Nombre de répondants	0	4	1	21	2	6	Missing	5		
Catégorie	Nombre de répondants													
0	4													
1	21													
2	6													
Missing	5													

	Inquiétude par rapport à l'avenir	 <table border="1" data-bbox="1413 209 1776 392"> <thead> <tr> <th>Category</th> <th>Frequency</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>6</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>17</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>8</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>5</td> </tr> </tbody> </table>	Category	Frequency	0	6	1	17	2	8	Missing	5		
Category	Frequency													
0	6													
1	17													
2	8													
Missing	5													
	Impact sur la vie sociale	 <table border="1" data-bbox="1413 424 1776 608"> <thead> <tr> <th>Category</th> <th>Frequency</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>4</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>23</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>4</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>5</td> </tr> </tbody> </table>	Category	Frequency	0	4	1	23	2	4	Missing	5		
Category	Frequency													
0	4													
1	23													
2	4													
Missing	5													
	Impact sur les activités extra scolaires	 <table border="1" data-bbox="1413 639 1776 823"> <thead> <tr> <th>Category</th> <th>Frequency</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>11</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>16</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>4</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>5</td> </tr> </tbody> </table>	Category	Frequency	0	11	1	16	2	4	Missing	5		
Category	Frequency													
0	11													
1	16													
2	4													
Missing	5													
	Difficulté à parler aux autres de la situation	 <table border="1" data-bbox="1413 855 1776 1038"> <thead> <tr> <th>Category</th> <th>Frequency</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>5</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>20</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>6</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>5</td> </tr> </tbody> </table>	Category	Frequency	0	5	1	20	2	6	Missing	5		
Category	Frequency													
0	5													
1	20													
2	6													
Missing	5													
	Impact sur la scolarité	 <table border="1" data-bbox="1413 1098 1776 1281"> <thead> <tr> <th>Category</th> <th>Frequency</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>7</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>17</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>6</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>6</td> </tr> </tbody> </table>	Category	Frequency	0	7	1	17	2	6	Missing	6		
Category	Frequency													
0	7													
1	17													
2	6													
Missing	6													
	Impact sur la disponibilité des parents	AJOUT												

Impact sur les parents	Colère, <i>fatigue psychique</i>	<table border="1"> <thead> <tr> <th>Catégorie</th> <th>Nombre</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>9</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>23</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>4</td> </tr> </tbody> </table>	Catégorie	Nombre	0	9	1	23	2	4			
	Catégorie	Nombre											
	0	9											
	1	23											
	2	4											
	Sentiment de culpabilité	AJOUT											
Difficulté à parler aux autres de la situation	<table border="1"> <thead> <tr> <th>Catégorie</th> <th>Nombre</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>4</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>28</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>4</td> </tr> </tbody> </table>	Catégorie	Nombre	0	4	1	28	2	4				
Catégorie	Nombre												
0	4												
1	28												
2	4												
Impact sur les relations intra familiales	<table border="1"> <thead> <tr> <th>Catégorie</th> <th>Nombre</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>5</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>27</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>3</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>1</td> </tr> </tbody> </table>	Catégorie	Nombre	0	5	1	27	2	3	Missing	1		
Catégorie	Nombre												
0	5												
1	27												
2	3												
Missing	1												
Impact sur la possibilité de remplir son rôle de parent (interactions avec l'enfant)	<table border="1"> <thead> <tr> <th>Catégorie</th> <th>Nombre</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>0</td> <td>7</td> </tr> <tr> <td>1</td> <td>27</td> </tr> <tr> <td>2</td> <td>1</td> </tr> <tr> <td>Missing</td> <td>1</td> </tr> </tbody> </table>	Catégorie	Nombre	0	7	1	27	2	1	Missing	1		
Catégorie	Nombre												
0	7												
1	27												
2	1												
Missing	1												
Impact sur la situation financière de la famille	AJOUT												

ANNEXE 4. Résultats du deuxième tour

Tableau 6. Résultats du deuxième tour Delphi, étude sur la qualité de vie des enfants en NPAD, France, 2019

* items sélectionnés à l'issue du deuxième tour Delphi
N: effectifs (% : pourcentages)
DM: données manquantes

Item		Oui N (%)	Non N (%)	DM
<i>Symptômes</i>				
1	Soif	18 (78,3)	5 (12,7)	13
3*	Restrictions alimentaires	22 (95,7)	1 (4,3)	13
9	Troubles du sommeil	17 (73,9)	6 (26,1)	13
10	Céphalées	15 (65,2)	8 (34,8)	13
82*	<i>Gestion des douleurs</i>	21 (91,2)	2 (8,7)	13
<i>Physique</i>				
13b*	<i>Altération de l'image corporelle par la stomie</i>	20 (95,2)	1 (4,8)	15
14	Inquiétude par rapport au poids de l'enfant	18 (78,3)	5 (21,7)	13
15	Inquiétude par rapport à la croissance de l'enfant (taille)	18 (78,3)	5 (21,7)	13
<i>Vie quotidienne</i>				
16*	Capacité à faire des efforts simples (marcher, jouer) pour l'âge	20 (90,9)	2 (9,1)	14
17	Autonomie pour s'habiller (pour l'âge)	17 (73,9)	6 (26,1)	13
18*	Autonomie pour se laver (pour l'âge)	19 (82,6)	4 (17,4)	13
19*	Autonomie pour aller aux toilettes (pour l'âge)	21 (91,3)	2 (8,7)	13
20	Autonomie pour manger (pour l'âge)	17 (73,9)	6 (26,1)	13
83	<i>Difficulté d'appareillage des stomies</i>	17 (73,9)	6 (26,1)	13
<i>Mode de garde</i>				
24*	Possibilité d'obtenir un congé parental pour s'occuper de l'enfant	19 (86,4)	3 (13,6)	14
<i>Scolarité</i>				
26*	Capacité à être attentif en classe	21 (91,3)	2 (8,7)	13
27	Pouvoir faire ses devoirs	17 (73,9)	6 (26,1)	13
30*	Possibilité d'avoir une AVS (Auxiliaire de Vie Scolaire) et/ou participation de l'équipe scolaire aux soins (<i>vider les poches de stomies....</i>)	18 (78,3)	5 (21,7)	13
84*	<i>Possibilité d'avoir accès rapidement aux toilettes</i>	22 (95,7)	1 (4,3)	13
<i>Vie sociale</i>				
32*	Capacité à expliquer aux autres la situation	22 (95,7)	1 (4,3)	13
85*	<i>Pouvoir faire des activités sportives</i>	21 (91,3)	2 (8,7)	13
86*	<i>Pouvoir faire des séjours hors du domicile comprenant des nuits (classes vertes, dormir chez des amis...)</i>	22 (95,7)	1 (4,3)	13
<i>Etat psychologique de l'enfant</i>				
37*	Colère par rapport à la nutrition parentérale <i>ou acceptation</i>	22 (95,7)	1 (4,3)	13
38*	Anxiété	19 (82,6)	4 (17,4)	13
40*	Sentiment dépressif, tristesse	20 (87,0)	3 (13,0)	13
41*	Difficulté à exprimer son ressenti	20 (87,0)	3 (13,0)	13
87*	<i>Se sentir différent des autres enfants</i>	22 (95,7)	1 (4,3)	13
<i>Organisation pratique</i>				
46	Nuisances sonores de la pompe	18 (78,3)	5 (21,7)	13
88*	<i>Durée quotidienne des soins</i>	22 (100)	0	14
89*	<i>Nombre de perfusions par semaine</i>	20 (90,9)	2 (9,1)	14
90*	<i>Logistique des poches de nutrition parentérale (stockage, maintien au froid...)</i>	20 (90,9)	2 (9,1)	14

<i>Suivi médical</i>				
52	Difficultés à prendre les traitements	17 (77,3)	5 (22,7)	14
91*	Capacité du réseau de soins à répondre en cas d'urgence	19 (82,6)	4 (17,4)	13
<i>Impact sur les frères et sœurs</i>				
56	Tristesse, dépression	17 (77,3)	5 (22,7)	14
57	Colère	15 (68,2)	7 (31,8)	14
58*	Sentiment d'impuissance ou de culpabilité (de ne pas être malade)	18 (81,8)	4 (18,2)	14
60*	Inquiétude par rapport à l'avenir	21 (95,5)	1 (4,5)	14
61*	Impact sur la vie sociale	21 (95,5)	1 (4,5)	14
62*	Impact sur les activités extra scolaires	19 (86,4)	3 (13,6)	14
63*	Difficulté à parler aux autres de la situation	19 (86,4)	3 (13,6)	14
66*	Impact sur la scolarité	18 (81,8)	4 (18,2)	14
92*	Impact sur la disponibilité des parents	20 (95,2)	1 (4,8)	15
<i>Impact sur les parents</i>				
68*	Colère, fatigue psychique	22 (95,7)	1 (4,3)	13
93*	Sentiment de culpabilité	19 (82,6)	4 (17,4)	13
74*	Difficulté à parler aux autres de la situation	19 (82,6)	4 (17,4)	13
77*	Impact sur les relations intra familiales	21 (91,3)	2 (8,7)	13
78*	Impact sur la possibilité de remplir son rôle de parent (interactions avec l'enfant)	20 (87,0)	3 (13,0)	13
94*	Impact sur la situation financière de la famille	20 (90,9)	2 (9,1)	14

Tableau 7. Comparaison des réponses du deuxième tour Delphi entre soignants et familles, étude sur la qualité de vie des enfants en NPAD, France, 2019

Item	Soignants (N=18)		Familles (N= 18)		DM	p-valeur
	Oui	Non	Oui	Non		
	N (%)	N (%)	N (%)	N (%)		
1	9 (75,0)	3 (25,0)	9 (81,8)	2 (18,2)	13	1,00
3	12 (100)	0	10 (90,9)	1 (9,1)	13	0,96
9	12 (100)	0	5 (45,5)	6 (54,5)	13	0,01*
10	9 (75,0)	3 (25,0)	6 (54,5)	5 (45,5)	13	0,55
82	12 (100)	0	9 (81,8)	2 (18,2)	13	0,42
13b	10 (83,3)	2 (16,7)	10 (90,9)	1 (9,1)	15	1,00
14	10 (83,3)	2 (16,7)	8 (72,7)	3 (27,3)	13	0,91
15	11 (91,7)	1 (8,3)	7 (63,6)	4 (36,4)	13	0,26
16	11 (91,7)	1 (8,3)	9 (90,0)	1 (10,0)	14	1,00
17	11 (91,7)	1 (8,3)	6 (54,5)	5 (45,5)	13	0,12
18	11 (91,7)	1 (8,3)	8 (72,7)	3 (27,3)	13	0,51
19	12 (100)	0	9 (81,8)	2 (18,2)	13	0,42
20	12 (100)	0	5 (45,5)	6 (54,5)	13	0,01*
83	12 (100)	0	5 (45,5)	6 (54,5)	13	0,01*
24	12 (100)	0	7 (70,0)	3 (30,0)	14	0,16
26	11 (91,7)	1 (8,3)	10 (90,9)	1 (9,1)	13	1,00
27	8 (66,7)	4 (33,3)	9 (81,8)	2 (18,2)	13	0,72
30	11 (91,7)	1 (8,3)	7 (63,6)	4 (36,4)	13	0,26
84	12 (100)	0	10 (90,9)	1 (9,1)	13	0,96
32	12 (100)	0	10 (90,9)	1 (9,1)	13	0,96
85	12 (100)	0	9 (81,8)	2 (18,2)	13	0,42
86	12 (100)	0	10 (90,9)	1 (9,1)	13	0,96
37	12 (100)	0	10 (90,9)	1 (9,1)	13	0,96
38	12 (100)	0	7 (63,6)	4 (36,4)	13	0,08
40	12 (100)	0	8 (72,7)	3 (27,3)	13	0,19
41	11 (91,7)	1 (8,3)	9 (81,8)	2 (18,2)	13	0,93
87	12 (100)	0	10 (90,9)	1 (9,1)	13	0,96
46	12 (100)	0	6 (54,5)	5 (45,5)	13	0,03*
88	12 (100)	0	10 (100)	0	14	NA
89	12 (100)	0	8 (80,0)	2 (20,0)	14	0,38
90	11 (91,7)	1 (8,3)	9 (90,0)	1 (10,0)	14	1,00
52	12 (100)	0	5 (50,0)	5 (50,0)	14	0,02*
91	12 (100)	0	7 (63,6)	4 (36,4)	13	0,08
56	12 (100)	0	5 (50,0)	5 (50,0)	14	0,02*
57	12 (100)	0	3 (30,0)	7 (70,0)	14	0,002*
58	12 (100)	0	6 (60,0)	4 (40,0)	14	0,06
60	12 (100)	0	9 (90,0)	1 (10,0)	14	0,92
61	12 (100)	0	9 (90,0)	1 (10,0)	14	0,92
62	12 (100)	0	7 (70,0)	3 (30,0)	14	0,16
63	12 (100)	0	7 (70,0)	3 (30,0)	14	0,16
66	11 (91,7)	1 (8,3)	7 (70,0)	3 (30,0)	14	0,45
92	12 (100)	0	8 (88,9)	1 (11,1)	15	0,88
68	12 (100)	0	10 (90,9)	1 (9,1)	13	0,96
93	12 (100)	0	7 (63,6)	4 (36,4)	13	0,08
74	12 (100)	0	7 (63,6)	4 (36,4)	13	0,08
77	12 (100)	0	9 (81,8)	2 (18,2)	13	0,42
78	12 (100)	0	8 (72,7)	3 (27,3)	13	0,19
94	12 (100)	0	8 (80,0)	2 (20,0)	14	0,38

* différence significative entre les groupes

NA : non applicable

DM : données manquantes

N : effectifs, % : pourcentages

ANNEXE 5.

Questionnaire préliminaire qualité de vie des enfants en NPAD

Version enfant de plus de 8 ans

Au cours des 4 derniers mois :
Si tu n'es pas concerné par une question, mets un 0.

SYMPTOMES :

Répondre par : 1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps

- As tu eu la sensation d'avoir très faim ou au contraire pas faim du tout ?
- As tu eu des difficultés pour boire ou manger ?
- Dois tu éviter de manger certaines choses dont tu as envie ?
- As tu été gêné par des diarrhées ou une constipation ?
- As tu eu besoin de te lever plusieurs fois par nuit pour aller faire pipi ?
- As tu été gêné par des douleurs ?
- Te sens tu anormalement fatigué ?

ETAT DE SANTE PHYSIQUE

Répondre par : 1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps

- Te sens tu globalement en bonne santé ?
- Es tu gêné par ton cathéter ?
- Es tu gêné par ta stomie ?

VIE QUOTIDIENNE

Répondre par : 1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps

- Es tu fatigué quand tu marches ou quand tu joues ?

Répondre par 1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout

- Est-ce que tu arrives à te laver tout seul ?
- Est-ce que tu arrives à aller aux toilettes tout seul et à ne pas porter de couche ?
- Te sens tu indépendant ?

SCOLARITE

Répondre par : 1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps

- Manques tu l'école / le travail à cause de ta maladie ?

Répondre par 1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout

- Arrives tu à te concentrer pour écouter en classe ?
- A l'école, peux tu participer aux activités sportives? (à la récréation ou lors des cours d'EPS ?)
- Peux tu participer aux sorties prévues avec ta classe / ta faculté / ton école ?
- Peux tu aller facilement aux toilettes quand tu le souhaites à l'école / au travail ?

VIE SOCIALE

Répondre par 1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout

- T'entends tu bien avec les autres enfants (as tu des amis ?)
- Arrives tu à leur expliquer ta maladie facilement ?
- Peux tu faire des séjours en dormant en dehors de la maison ?
- Peux tu faire les activités que tu aimes en dehors de l'école (musique, sport..) ?

EMOTIONS

Répondre par : **1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps**

- T'inquiètes tu à propos de ta santé ?
- T'inquiètes tu par rapport au futur ?
- Es tu parfois en colère de devoir être perfusé ?
- Te sens tu parfois frustré ?
- Te sens tu parfois stressé ?
- Te sens tu parfois triste ?
- As tu parfois du mal à dire aux autres ce que tu ressens ?
- Te sens tu différent des autres enfants ?

ORGANISATION PRATIQUE

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- Fais tu les branchements avec un de tes parents ?
- Ta pompe est-elle facile à utiliser ?
- Le nombre de perfusion par semaine te convient-il ?
- D'autres membres de ta famille savent-ils faire les branchements de perfusion ?
- Fais tu les soins de stomie avec un de tes parents ?
- Fais tu les soins de cathéter avec un de tes parents ?

Répondre par : **1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps**

- Trouves tu que les soins durent trop longtemps ?
- Est-ce que cela t'embête d'être perfusé pendant ces heures là ?

SUIVI MEDICAL

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- Trouves tu que tu es trop souvent à l'hôpital pour des complications de ta maladie ?
- Trouves tu que tu es venu trop souvent à l'hôpital pour faire des examens ?
- Trouves tu que tu as des bonnes relations avec l'équipe qui te soigne ?

VACANCES

Répondre par : **1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps**

- Es tu parti en vacances en dehors de la maison ?
- Es tu parti en vacances dans un autre pays ?

TES FRERES ET SŒURS

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- T'entends tu bien avec tes frères et sœurs ?

QUALITE DE VIE GLOBALE

Sur une échelle de **1 (très mauvaise) à 10 (excellente)** :

- Au total, comment estimes tu ta qualité de vie ?

Au cours des 4 derniers mois :

Si votre famille n'est pas concernée par une des questions, inscrivez 0

SYMPTOMES :

Répondre par : 1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps

- Votre enfant a-t-il eu des comportements alimentaires inappropriés (sensation de faim ou manque d'appétit) ?
- Votre enfant a-t-il éprouvé des difficultés à manger ou à boire ?
- Votre enfant a-t-il des restrictions alimentaires qui le frustrant ?
- Votre enfant a-t-il été gêné par des troubles du transit (diarrhées et/ou constipation) ?
- Votre enfant a-t-il été gêné par des nausées et/ou vomissements ?
- Votre enfant s'est-il souvent levé la nuit pour aller uriner ?
- Votre enfant a-t-il été gêné par des douleurs ?
- Votre enfant se plaint-il souvent d'être fatigué ?

PHYSIQUE :

Répondre par : 1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps

- Avez vous trouvé votre enfant en bonne santé ?
- Pensez vous qu'il est gêné par le cathéter ?
- Pensez vous qu'il est gêné par la stomie ?

VIE QUOTIDIENNE :

Répondre par 1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout

- Votre enfant est-il capable de faire des efforts simples ? (marcher, jouer...)
- Votre enfant est-il autonome pour sa toilette ?
- Votre enfant est-il propre ?
- Pensez vous que votre enfant se sent indépendant ?

MODE DE GARDE :

Répondre par 1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout

- Vous est-il possible de faire garder votre enfant dans une infra structure (centre aéré, garderie...)
- Vous est-il possible de faire garder votre enfant par d'autres membres de votre famille (grands parents...)
- Vous est-il possible de prendre un congé parental pour vous occuper de votre enfant ?

SCOLARITE :

Répondre par : 1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps

- Votre enfant a-t-il manqué l'école à cause de sa pathologie ?

Répondre par 1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout

- Votre enfant est-il capable d'être attentif en classe ?
- Votre enfant peut-il participer aux activités sportives (récréation, EPS) ?
- Votre enfant peut-il participer aux sorties scolaires ?
- Pouvez vous vous rendre rapidement disponible en cas de complication à l'école (fièvre, fuite de cathéter...)
- Vous est-il possible d'avoir une AVS ou quelqu'un dans l'équipe scolaire pour gérer les soins (vider les poches de stomie par exemple) ?

VIE SOCIALE :

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- Trouvez vous que votre enfant a de bonnes relations avec les autres enfants ?
- Votre enfant est-il capable d'expliquer aux autres sa situation ?
- Votre enfant peut-il pratiquer les activités extra scolaires qui lui plaisent ? (musique, sport...)
- Votre enfant peut-il faire des séjours en dormant hors du domicile ? (classe verte, nuit chez des amis...)

EMOTIONS DE L'ENFANT :

Répondre par **1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps**

- Votre enfant s'inquiète t'il par rapport à son état de santé ?
- Votre enfant s'inquiète t'il par rapport au futur ?
- Votre enfant se sent-il en colère de devoir être perfusé ?
- Trouvez vous votre enfant anxieux ?
- Trouvez vous votre enfant triste ?
- Votre enfant se sent-il frustré ?

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- Pensez vous que votre enfant a du mal à exprimer ce qu'il ressent ?
- Pensez vous que votre enfant se trouve différent des autres enfants ?

ORGANISATION PRATIQUE :

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- Etes vous autonome pour le branchement ?
- D'autres membres de la famille sont-ils formés pour vous relayer ?
- Etes vous satisfait de la communication avec le prestataire ?
- La pompe est-elle facile à utiliser ?
- Trouvez vous le nombre de perfusion par semaine adapté ?
- Etes vous autonome pour les soins de stomie ?
- Etes vous autonome pour les soins de cathéter ?

Répondre par **1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps**

- Les horaires de branchement de la nutrition parentérale vous dérangent-ils ?
- Trouvez vous que les soins durent trop longtemps chaque jour ?
- La logistique de gestion des poches vous pose t'elle problème (maintien au froid, stockage...) ?

SUIVI MEDICAL

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- Trouvez vous que votre enfant est trop fréquemment hospitalisé pour des complications ?
- Trouvez vous que vous devez venir trop souvent à l'hôpital pour des examens ?
- Etes vous satisfait de la gestion des situations d'urgence par votre réseau de soin ?

VACANCES :

Répondre par **1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps**

- Etes vous partis en vacances ?
- Etes vous partis en vacances à l'étranger ?

FRERES ET SŒURS :

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- Pensez vous que la nutrition parentérale à domicile (NPAD) à un retentissement sur la vie quotidienne de vos autres enfants ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur la vie sociale de vos autres enfants ?

- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur les activités extra scolaires de vos autres enfants ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur la scolarité de vos autres enfants ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur votre disponibilité vis à vis de vos autres enfants ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur la relation de votre enfant avec ses frères et sœurs ?
- Pensez vous que vos autres enfants se sentent coupables de ne pas être malade ?
- Vos autres enfants s'inquiètent-ils de l'avenir de leur frère/sœur ?
- Vos autres enfants ont-ils du mal à parler à leur entourage de la situation ?

PARENTS

Répondre par : **1 : jamais / 2 : parfois / 3 : souvent / 4 : tout le temps**

- Vous sentez vous parfois triste, d'humeur dépressive ?
- Vous sentez vous fatigué ?
- Avez vous des troubles du sommeil ?
- Vous sentez vous impuissant par rapport à la pathologie de votre enfant ?
- Vous sentez vous coupable par rapport à la pathologie de votre enfant ?
- Etes vous stressé par rapport à votre enfant ?
- Arrivez vous à vous dégager du temps pour des activités personnelles ?

Répondre par **1 : tout à fait / 2 : en partie / 3 : pas vraiment / 4 : pas du tout**

- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur votre vie sociale ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur votre vie quotidienne ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur votre relation de couple ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur les relations intra familiales ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur votre façon de remplir votre rôle de parent ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur votre situation professionnelle ?
- Pensez vous que la NPAD a un retentissement sur la situation financière de la famille ?

QUALITE DE VIE GLOBALE

Sur une échelle de **1 (très mauvaise) à 10 (excellente)**

- Au total, comment estimez vous la qualité de vie de votre enfant ?
- Au total, comment estimez vous la qualité de vie de votre famille ?

Serment d'Hippocrate

“Au moment d’être admise à exercer la médecine, je promets et je jure d’être fidèle aux lois de l’honneur et de la probité.

Mon premier souci sera de rétablir, de préserver ou de promouvoir la santé dans tous ses éléments, physiques et mentaux, individuels et sociaux.

Je respecterai toutes les personnes, leur autonomie et leur volonté, sans aucune discrimination selon leur état ou leurs convictions. J’interviendrai pour les protéger si elles sont affaiblies, vulnérables ou menacées dans leur intégrité ou leur dignité. Même sous la contrainte, je ne ferai pas usage de mes connaissances contre les lois de l’humanité.

J’informerai les patients des décisions envisagées, de leurs raisons et de leurs conséquences.

Je ne tromperai jamais leur confiance et n’exploiterai pas le pouvoir hérité des circonstances pour forcer les consciences.

Je donnerai mes soins à l’indigent et à quiconque me les demandera. Je ne me laisserai pas influencer par la soif du gain ou la recherche de la gloire.

Admise dans l’intimité des personnes, je tairai les secrets qui me seront confiés. Reçue à l’intérieur des maisons, je respecterai les secrets des foyers et ma conduite ne servira pas à corrompre les mœurs.

Je ferai tout pour soulager les souffrances. Je ne prolongerai pas abusivement les agonies.

Je ne provoquerai jamais la mort délibérément.

Je préserverai l’indépendance nécessaire à l’accomplissement de ma mission. Je n’entreprendrai rien qui dépasse mes compétences. Je les entretiendrai et les perfectionnerai pour assurer au mieux les services qui me seront demandés.

J’apporterai mon aide à mes confrères ainsi qu’à leurs familles dans l’adversité.

Que les hommes et mes confrères m’accordent leur estime si je suis fidèle à mes promesses ; que je sois déshonorée et méprisée si j’y manque.”

RESUME

Introduction- Le nombre d'enfants atteints d'insuffisance intestinale a augmenté au cours des dernières années. La nutrition parentérale à domicile (NPAD) représente le traitement de référence. La prise en charge des enfants en NPAD implique donc des changements importants pour les enfants et leur famille, ce qui peut affecter leur qualité de vie. À l'heure actuelle, il n'existe aucun instrument pédiatrique validé permettant d'évaluer la qualité de vie de ces enfants. L'objectif de cette étude est de sélectionner les éléments pertinents à inclure dans un outil d'évaluation de la qualité de vie des enfants en NPAD et de leur famille.

Méthodes- Nous avons combiné une revue de la littérature puis une étude Delphi afin de sélectionner les items importants. Pour l'étude Delphi, les experts étaient des professionnels de santé ou des familles de patient, recrutés dans les centres Français prenant en charge des enfants en NPAD. Un seuil de 80% définissait le consensus. Les experts pouvaient proposer un ajout d'items lors du premier tour.

Résultats- Une revue de la littérature nous a permis d'identifier et de soumettre aux experts 81 items, regroupant 12 domaines liés à la qualité de vie des enfants en NPAD et de leur famille. Trente-six experts de 7 centres ont participé au premier tour, et 23 au second. Quarante-sept items ont été validés au premier tour, 14 ajoutés entre le premier et le deuxième tour. Au total, 82 items ont été sélectionnés pour le questionnaire.

Discussion- Cette étude nationale a permis d'identifier les items pertinents pour évaluer la qualité de vie des enfants atteints en NPAD et de leur famille. Un questionnaire provisoire a été élaboré et devra être testé et validé dans le cadre d'une étude future.

Mots-clés : qualité de vie, nutrition parentérale à domicile, enfants, syndrome du grêle court, insuffisance intestinale

ABSTRACT

Introduction- The number of children with intestinal failure has increased in recent years. Home parenteral nutrition (HPN) is the reference treatment. The management of HPN children therefore involves significant changes for children and their family, which may affect their quality of life (QOL). At this time, there are no validated pediatric instruments available to assess the QOL of HPN children and their families. The objective of this study is to select relevant questions to be included in an assessment tool for HPN children and their families.

Methods- We used a literature review and then Delphi method to select relevant items. For the Delphi study, the experts were healthcare professionals and families from expert centers in France. A threshold of 80% defined consensus. Experts could propose additional items during the first round.

Results- After a literature review, we identified and submitted to the experts 81 potential elements from 12 domains related to QOL of HPN children and their family. Thirty-six experts from 7 centers participated to the first round of Delphi method, and 23 to the second. Forty-seven items were validated in the first round, 14 were added between the first and second rounds. Finally, 82 items were selected for the questionnaire.

Discussion- This national study identified relevant items to assess the QOL of HPN children and their families. A provisional questionnaire has been developed and will need to be tested and validated in a future study.

Keywords: Home parenteral nutrition, intestinal failure, quality of life, children, short bowel syndrome