Quality of Life Research

Your Voice has Power: How Research Helps to Tell the HI Story

2026 HI Family Conference · Marseille · 4-6 September

Tai Pasquini, MPA, PhD
Chief Research Officer
Congenital Hyperinsulinism International
www.congenitalhi.org

Patient-Powered Research / Recherche participative

Traditional research model/
Recherche traditionnelle

Researchers make a discovery in the lab/

Les chercheurs font une découverte dans le labo

How could this apply to a group of people?/

Comment cela pourrait-il s'appliquer à un groupe de personnes ?

Patient-powered research model
Recherche participative

Individuals from the community identify problems or provide feedback on unmet needs/

Les membres de la communauté identifient les problèmes ou donnent leur avis sur les besoins non satisfaits

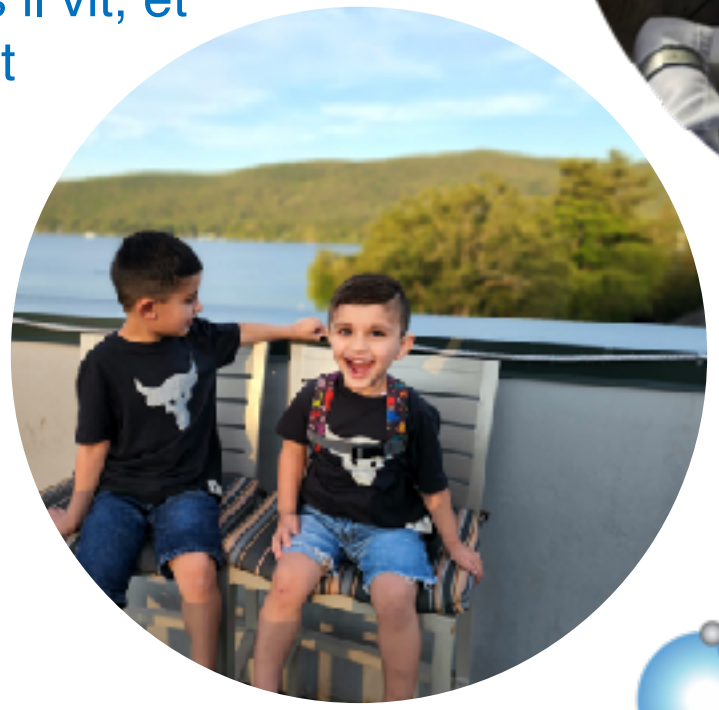
Researchers work to answer the needs of the community/

Les chercheurs travaillent pour répondre aux besoins de la communauté

What Does “Quality of Life (QOL)” Mean?/ Que signifie « qualité de vie » ?

World Health Organization: An individual's **perception** of their position in life in the context of the culture and value systems in which they live and in relation to their **goals**, **expectations**, **standards**, and **concerns**

Organisation mondiale de la Santé: La perception qu'a un individu de sa place dans la vie, dans le contexte de la culture et des systèmes de valeurs dans lesquels il vit, et en relation avec ses objectifs, attentes, normes et préoccupations



Why Do We Care? / Pourquoi est-ce que ça nous importe ?

- Quality of Life (QOL) differs for every family
  - Sleeping through the night
  - Treatments that do not cause pain
  - Transitioning to school – academically, socially, developmentally
  - Considering impact of puberty, child-bearing
  - Financial cost of healthcare

What does a **good quality of life** look like to you?

To your family?

- La qualité de vie (QDV) diffère pour chaque famille
  - Dormir toute la nuit
  - Des traitements qui ne font pas mal
  - Passer à l'école – sur le plan académique, social, et développemental
  - En considérant l'impact de la puberté et de la maternité
  -

À quoi ressemble une **bonne qualité de vie** pour toi?

Et pour ta famille ?

What is QOL data used for?/
À quoi servent les données sur la qualité de vie ?

Congenital Hyperinsulinism International
When too little sugar hurts, we help.™

Developing new treatments
*Change in QOL tells us if treatment is **effective**, beyond biomarkers and glycemic control*

Développer de nouveaux traitements
Le changement dans la qualité de vie nous indique si le traitement est efficace, au-delà des biomarqueurs et du contrôle glycémique

Coverage & Access to new treatments
Improvements in QOL compared to existing treatments can support getting new drugs covered by insurance

Couverture et accès aux nouveaux traitements
Les améliorations de la qualité de vie par rapport aux traitements existants peuvent aider à faire en sorte que les nouvelles médicaments soient pris en charge par l'assurance

Support & Advocacy Documents
By letting us know what the most pressing issues are to your family, we can develop resources to support your family

Documents de soutien et de défense
En nous faisant savoir quels sont les problèmes les plus urgents pour votre famille, nous pouvons développer des ressources pour soutenir votre famille

HI Global Registry (HIGR)

Congenital Hyperinsulinism International
...gar hurts, we help.™

2 surveys on Quality of Life (QOL)/
2 enquêtes sur la Qualité de Vie (QDV)

Participant QOL/
Qualité de vie des participants
People with HI age 14+ years

Caregiver QOL/
Qualité de vie des aidants
Parents/Caregivers of people with HI

Aspects of Quality of Life also captured in many other surveys/
Aspects de la qualité de vie également capturés dans de nombreuses autres enquêtes

The HIGR surveys allow us to assess:/ Les enquêtes du HIGR permettent d'évaluer:

Where needs are being met/
Là où les besoins sont satisfaits

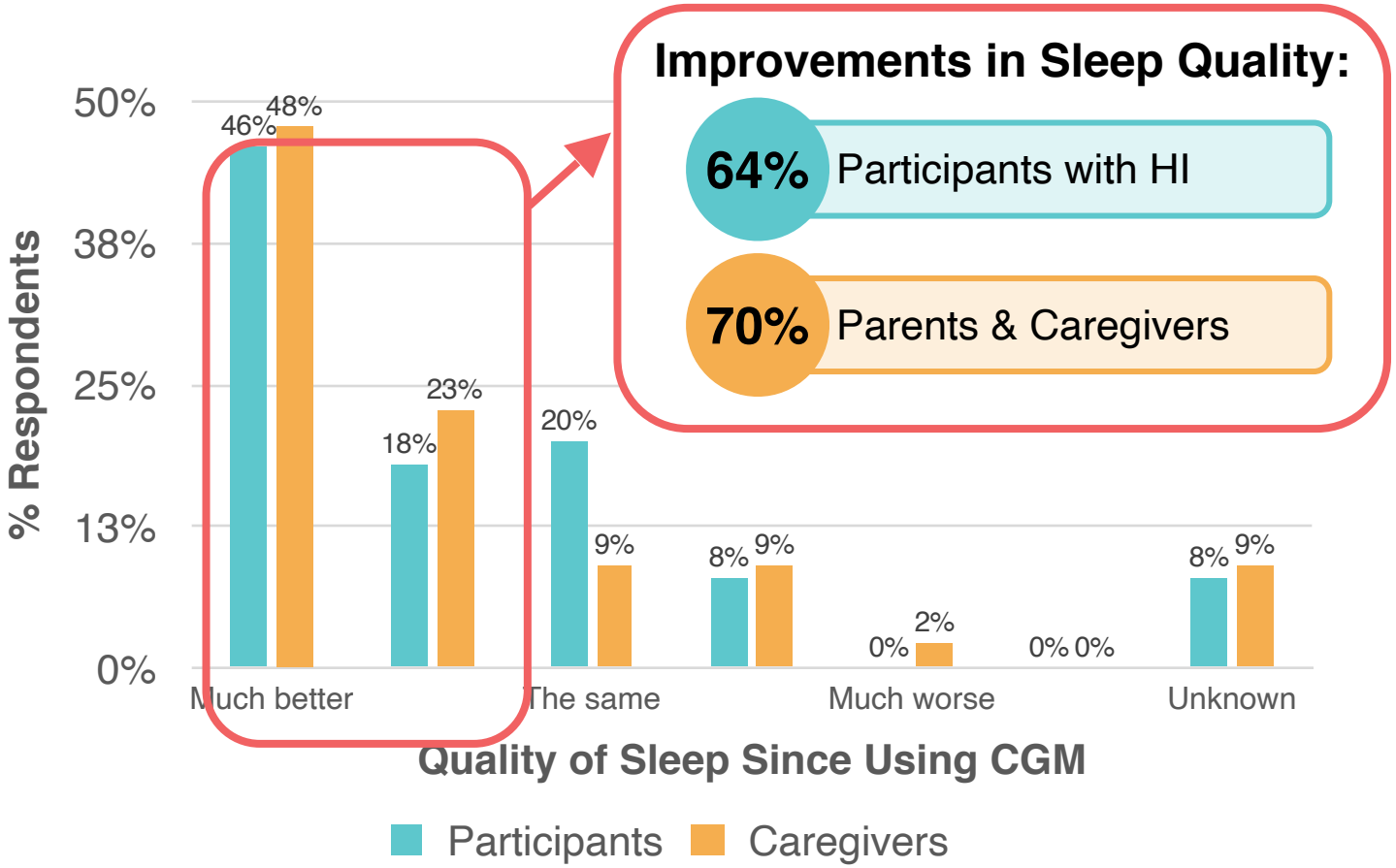
Where gaps exist /
Là où il y a des lacunes

What changes make an impact on the lives of those living with HI over time /
Quels changements ont un impact sur la vie de ceux qui vivent avec une HI au fil du

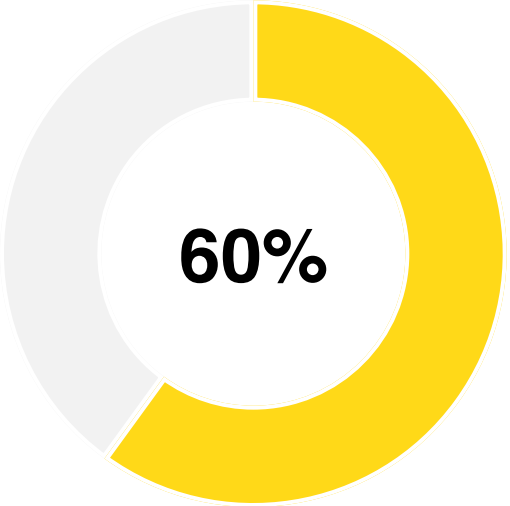
CONGENITAL HYPERINSULINISM
HI GLOBAL REGISTRY

HIGR: Impact of CGM - Family

Impact of CGM on Sleep Quality



Impact of Remote Monitoring



Remote monitoring allowed the participant to be **cared for by someone other than the primary caregiver/ parent** (e.g. babysitter or other family members)

Data from the HI Global Registry, September 2025
(Current CGM users only, n = 50)

Funded by the European Union: LightCure -101080327

Hyperinsulinism from Head to Toe/ Hyperinsulinisme de la tête aux pieds

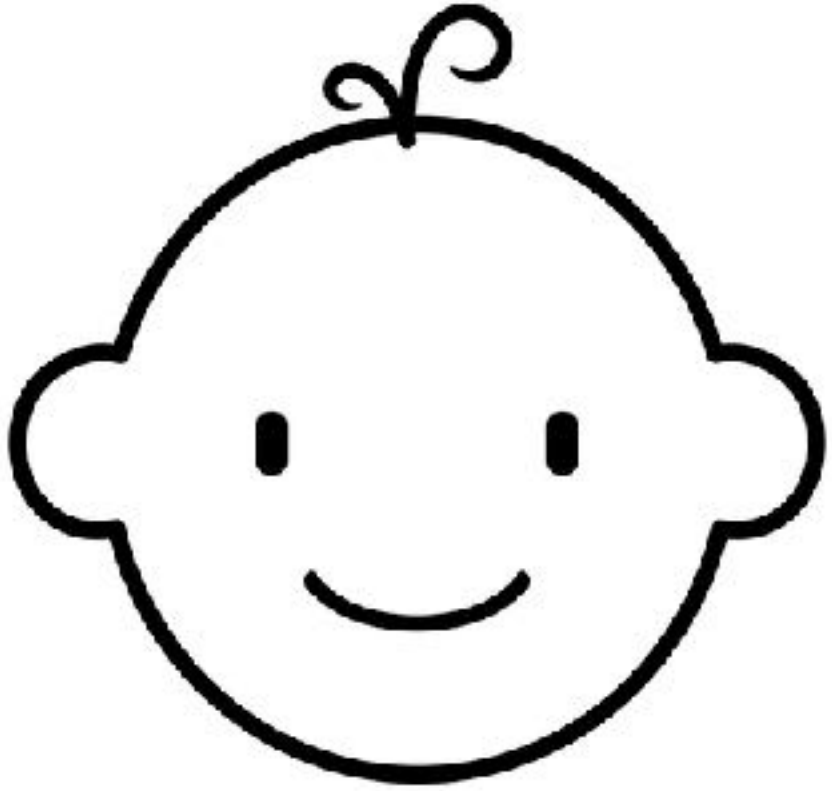
- Traditionally, we spoke about HI in the context of the pancreas/ Traditionnellement, on parlait de HI dans le contexte du pancréas

- However, we know that the impact is much broader, on both our life and our body! / Cependant, nous savons que l'impact est beaucoup plus large, à la fois sur notre vie et sur notre corps !

- Lora will be talking about this in the context of our life, and I want to talk about other areas of your/ your child's health and body /
  Lora parlera de cela dans le contexte de notre vie, et je veux parler d'autres aspects de votre santé / celle de votre enfant et de votre corps

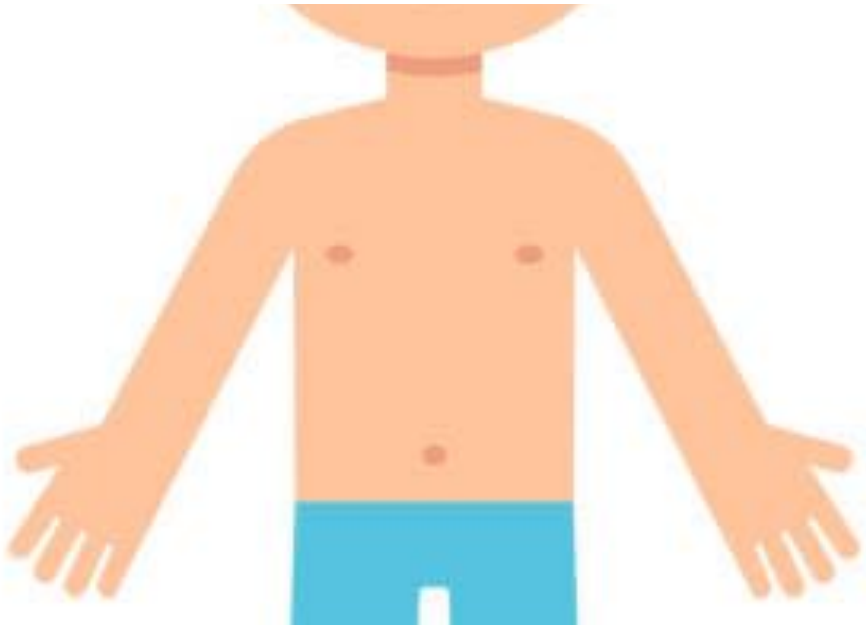
Hyperinsulinism from Head to Toe/ Hyperinsulinisme de la tête aux pieds

- Does HI impact your head? / Est-ce que le HI affecte ta tête?
- In what ways? / De quelles manières?



Hyperinsulinism from Head to Toe/ Hyperinsulinisme de la tête aux pieds

- What about your neck, shoulders, chest, or torso? /
- Et ton cou, tes épaules, ta poitrine ou ton torse?



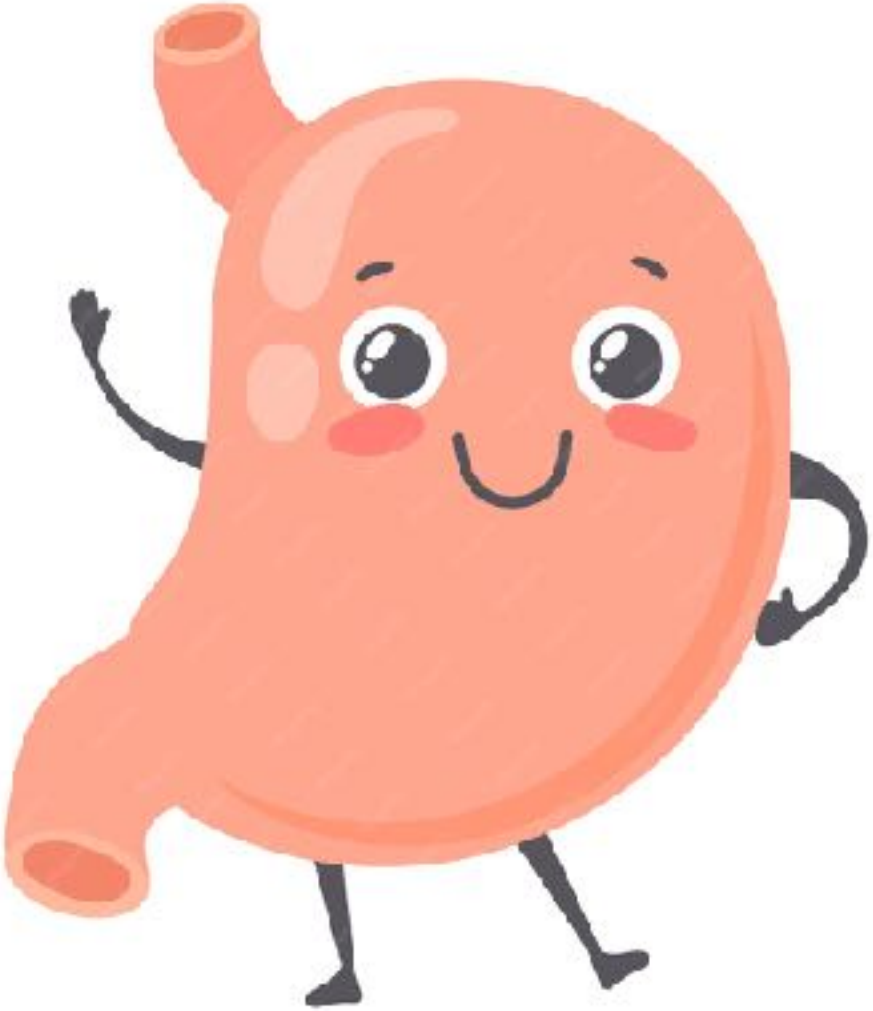
Hyperinsulinism from Head to Toe/ Hyperinsulinisme de la tête aux pieds

- Heart? /
- Cœur?

- Lungs? /
- Poumons?

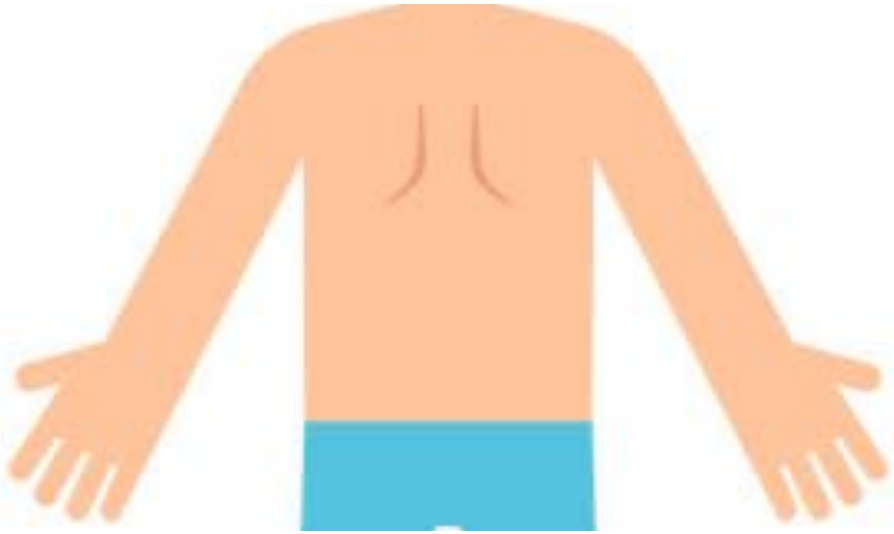
Hyperinsulinism from Head to Toe/ Hyperinsulinisme de la tête aux pieds

- Stomache?/
- Estomac?



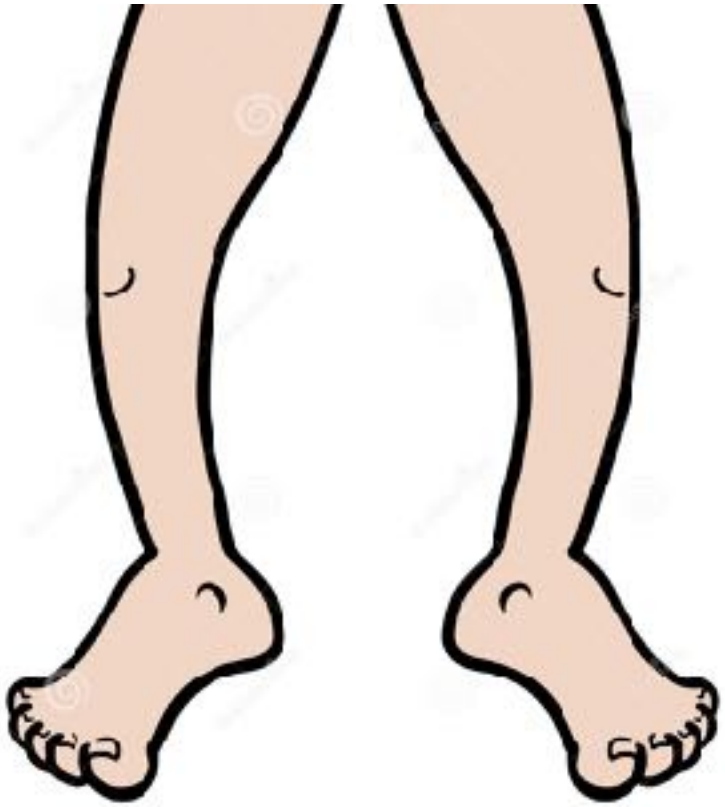
Hyperinsulinism from Head to Toe/ Hyperinsulinisme de la tête aux pieds

- Your back or spine?/
- Ton dos ou ta colonne vertébrale?



Hyperinsulinism from Head to Toe/ Hyperinsulinisme de la tête aux pieds

- Legs or feet?/
- Jambes ou pieds?



Final Thoughts/ Pensées finales

- What matters most to you? / Qu'est-ce qui compte le plus pour toi?
- Help us measure change! / Aidez-nous à mesurer le changement!
- HIGR is a way to share what is most impactful to **you and your family** / HIGR est un moyen de partager ce qui a le plus d'impact pour **vous et votre famille**
- Quality of Life changes, so it is important to keep completing surveys over time / La qualité de vie change, donc il est important de continuer à remplir des enquêtes au fil du temps

HI GLOBAL REGISTRY

Share your story

Partage ton histoire

www.higlobalregistry.org