

SFES Lyon, le 19 Avril 2012

*Enjeux et Méthodologie  
de L'évaluation Comparative des Politiques  
Sanitaires Publiques*

Pr Robert Launois

**28, rue d'Assas**

**75006 Paris – France**

Tel . 01 44 39 16 90 – Fax 01 44 39 16 92

E-mail : [reesfrance@wanadoo.fr](mailto:reesfrance@wanadoo.fr) - Web : [www.rees-france.com](http://www.rees-france.com)

# Plan de l'intervention

- ✦ La preuve de l'effet causal
- ✦ Les biais : un risque des études observationnelles
- ✦ Gérer les interférences parasites
- ✦ Faire parler les banques médico-administratives
- ✦ Choisir le bon schéma d'étude

# Les Enjeux

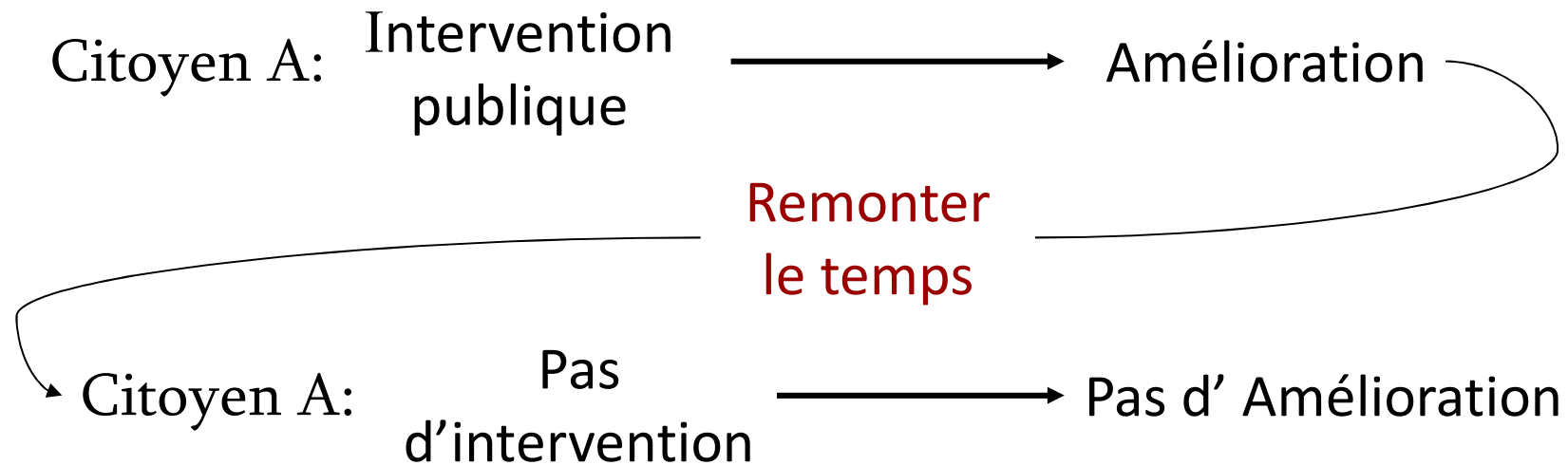
- ✦ **Produire des relations causales** non biaisées (validité interne) **entre intervention et résultats** est au cœur de toute démarche évaluative.
- ✦ le **programme a-t-il les effets attendus** sur les individus ou la population ciblée, les ménages, les institutions, les bénéficiaires du programme
- ✦ Comment **isoler les effets produits par un programme** de santé, des **effets produits par d'autres facteurs** concomitants ?
- ✦ On mène ces recherches, pour fournir aux décideurs politiques et aux acteurs sociaux **des arguments qui reposent sur des études empiriques**
- ✦ Ce qui **exige des données et un modèle statistique** capable de fournir un résumé : par exemple une différence de moyennes. Ce sont ces résumés que l'on interprète comme des résultats

# LA PREUVE DE L'EFFET CAUSAL

# Cause de l'Effet Ou Effet de la Cause ?

- ✦ **L'Approche structurelle** fait un lien précis **ex ante** entre le modèle formel où les comportements fondamentaux des agents sont modélisés et le modèle statistique estimé pour prédire l'impact de programme en projet
- ✦ **L'Approche en forme réduite** étudie **ex post** l'effet de deux variables d'intérêt (« *Les résultats potentiels* ») pour un individu celui où il bénéficie du TrT et celui où il n'en bénéficie pas, sans détailler les mécanismes intermédiaires, ni estimer les paramètres fondamentaux

# Principe du Raisonnement *Contrefactuel*



# Effet Causal Individuel du Traitement

- ✦ **Objectif** : évaluer pour chaque individu  $i$  le lien de cause à effet
  - Entre l'Intervention  $T_i$  (traitement , programme)
  - Et
  - Le résultat  $Y_i$  ( indice thérapeutique d'efficacité)
- ✦ Pour un bénéficiaire du programme doté de caractéristiques observables  $X_i$  l'effet causal ( $\Delta_i$ ) du traitement sur le résultat égale

$$\Delta_i = (Y_{i1} | X_i, T_i=1) - (Y_{i0} | X_i, T_i=0)$$

- On observe le niveau de santé atteint après intervention (noté T=1) ( $Y_{i1} | X_i, T_i=1$ )
  - Mais on observe pas le niveau de santé qui eut été atteint sans l'intervention (noté T=0). ( $Y_{i0} | X_i, T_i=0$ )
- ✦  $Y_{i0}$  correspond au résultat qui aurait été obtenu si le sujet n'avait pas participé au programme, c'est un résultat contrefactuel parce que non observable. L'estimation de l'effet causal **individuel est impossible : une seule des deux variables est observée**

**le même sujet, ne peut pas au même instant, être bénéficiaire et non bénéficiaire d'un traitement ou d'une politique publique**

# Effet Causal Moyen Populationnel

- ✦ La situation contrefactuelle ne peut être estimée qu'en calculant la différence  $\Delta^{TT}$  entre les moyennes de la variable  $Y$  entre deux populations : celle des bénéficiaires et celle des non bénéficiaires
- ✦ Les différences entre bénéficiaires et non bénéficiaires ont deux sources
  - l'impact réel des politiques ou des traitements : ( $\Delta E^{TT}$ )
  - le biais de sélection : ( $B^{TT}$ ). Ce biais correspond à la différence qui serait enregistrée en l'absence de TrT entre ceux qui en bénéficient et les autres, **compte tenu des les caractéristiques initiales**  $X_i$  des deux groupes

$$\Delta E^{TT} = E(Y_{i1} | X_i, T_i=1) - E(Y_{i0} | X_i, T_i=0)$$

$$\Delta E^{TT} = \underbrace{E(Y_{i1} | X_i, T_i=1) - E(Y_{i0} | X_i, T_i=0)}_{\Delta^{TT}} + \underbrace{E(Y_{i0} | X_i, T_i=0) - E(Y_{i0} | X_i, T_i=0)}_{B^{TT}}$$

$$\Delta E^{TT} = \Delta^{TT} - B^{TT}$$

- ✦ Les mesures qui oublie le biais de sélection prennent à tort la mesure de la quantité  $\Delta^{TT}$  pour la mesure de  $\Delta E^{TT}$  Quant on oublie de soustraire le biais de sélection, on surestime « la quantité d'effet »



# Quantité d'Effet vs Association

- ✦ Les populations des groupes ainsi constitués sont elles comparables ?
- ✦ OUI par randomisation → Quantité d'effet mesurée par La réduction des risques absolus (RRA), La réduction risques relatifs (RRR), odds ratio (OR) etc...
- ✦ NON si le groupe de test et le groupe de contrôle ne sont pas au départ des substituts parfaits. **La situation moyenne des individus qui ont reçu le traitement n'aurait pas été la même en l'absence de traitement que celle des individus n'ayant pas reçu le traitement → association**

# Portée des Evaluations Expérimentales

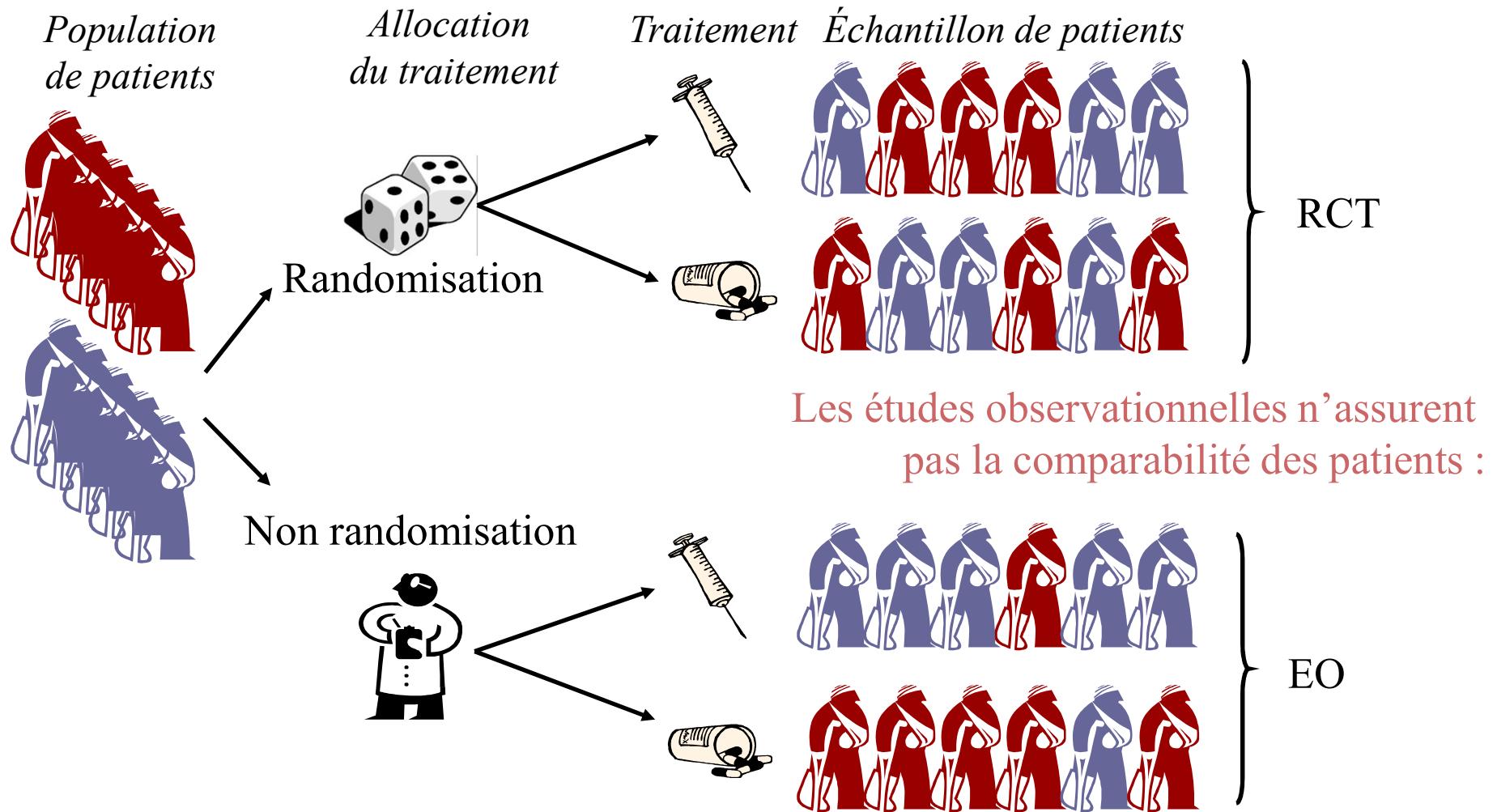
- ✦ Dans les essais randomisés en double insu et avec groupe contrôle, trois conditions permettent d'établir une relation causale:
  - **L'affectation aléatoire garantit la comparabilité des populations** entre les deux groupes, le groupe verum et le groupe placebo, en neutralisant les caractéristiques personnelles observables et non observables des patients inclus dans chacun d'entre eux,
  - **Le placebo garantit la comparabilité des effets** des traitements en évitant les interférences qui pourraient être associées à d'administration d'un autre médicament .
  - **le double insu garantit la comparabilité des comportements** : les effets blouse blanche, les effets patient, les effets structure sont neutralisés.
- ✦ Dans ces conditions les différences qui apparaissent entre les deux groupes, « toutes choses égales d'ailleurs », sont exclusivement dues au traitement. **Le rapport de cotes ne mesure pas une association mais exprime réellement une quantité d'effet**, le lien de cause à effet est démontré.

# LES BIAIS : UN RISQUE INHÉRENT À LA NATURE MÊME DES ETUDES OBSERVATIONNELLES

# Evaluations Non expérimentales, Biais et Facteurs de confusion

- ✦ Un biais, est une erreur systématique qui s'introduit dans une étude et qui tend à produire une estimation (incidence, prévalence, RR...) différant systématiquement de la vraie valeur et conduisant une interprétation erronée du résultat.
- ✦ Un facteur de confusion est un facteur parasite tiers agissant de façon concomitante qui biaise les résultats de l'étude parce que son association avec l'exposition (i.e le programme, le traitement, le fait générateur) et avec la survenue de l'événement fait faussement croire que le facteur d'exposition est associée à la survenue de l'événement.

# Le Biais de Recrutement



Biais de recrutement : les patients sont sélectionnés selon certaines caractéristiques corrélées à leur devenir.

# Le Biais d'Indication

- ✦ Les différences observées dans la survenue des événements peuvent ne pas être liées au choix thérapeutique **mais aux raisons pour lesquelles ce choix a été fait**
- ✦ Les traitements ne sont pas prescrits au hasard
  - Ils sont explicitement laissés au choix du médecin: l'indication est posée en raison des caractéristiques des patients ou sur la base de son jugement clinique
  - Ou implicitement sélectionnés sur la base d'habitudes de prescriptions ou du désir d'apporter une réponse à une souffrance psychologique ou sociale
- ✦ → Biais d'indication: on ne peut pas distinguer l'effet des caractéristiques propres des sujets et l'effet du traitement sur le critère de jugement