

# **GROUPE DE TRAVAIL ACTUALISATION DES LIGNES DIRECTRICES**

*Réunion CES vendredi 23 mars 2001*

## *« La construction des points de vue »* Note stratégique

**Robert LAUNOIS, François LHOSTE, Corinne BLACHIER,**

Le thème qui nous était confié peut être envisagé à la fois sous l'angle stratégique et de façon technique. Dans le premier cas, il s'agit de définir les attentes des institutions par rapport au contenu des études médico-économiques. Dans le second, il suffit d'aborder les problèmes techniques et de donner les solutions qui seront à même de renforcer la crédibilité de nos recherches. Cette note stratégique ne porte que sur les enjeux de l'évaluation. Une note ultérieure viendra la compléter en abordant de façon plus spécifique les problèmes que pose le calcul des coûts.

Il est aussi difficile d'introduire le raisonnement économique en milieu médical qu'en milieu administratif. Le terme d'efficacité est trop souvent utilisé dans un sens polysémique sans que son contenu soit véritablement maîtrisé et sa portée clairement perçue. Or, il s'agit-là d'un critère de jugement spécifique qui est totalement indépendant des critères cliniques et des critères budgétaires. L'utilisation de l'efficacité pour éclairer la décision publique suscite actuellement des réticences qui freinent le développement des travaux médico-économiques. Ce sont ces obstacles que nous nous proposons de lever en avançant un certain nombre de propositions qui seront discutées en session plénière.

## **LE PARADIGME DES ECONOMISTES**

Les médecins raisonnent en termes d'efficacité médicale ou de service médical rendu. Ils pensent qu'il est de leur devoir de témoigner une prise en charge sans réserve à celui qui leur confie le bien le plus précieux dont il dispose ici bas : sa vie. Tout cela est lié au vieux slogan qui est aujourd'hui complètement obsolète selon lequel « La santé n'a pas de prix, mais elle a un coût ». Les cliniciens sont persuadés qu'ils doivent prodiguer leurs soins aussi longtemps que ceux-ci sont efficaces, même lorsque les résultats obtenus s'avèrent, in fine, extrêmement modestes. Seuls les soins inutiles, voire nuisibles, doivent être remis en cause.

Les gestionnaires recherchent la réalisation sans marge de l'objectif médical poursuivi. Tant qu'il est possible de réduire l'emploi d'un des facteurs utilisés sans accroître l'usage d'un autre, des gains de productivité sont possibles. A partir du moment où cela cesse d'être le cas, il convient de trouver le moyen de départager des combinaisons qui sont toutes satisfaisantes sur le plan technique. Seul l'argent permet de faire un choix entre ces combinaisons de moyens techniquement efficaces.

Le problème économique ne peut être résolu qu'en termes de valeurs, alors que la question technique se posait uniquement en termes de quantités. Pour déterminer dans quelle proportion on doit mobiliser les moyens disponibles pour obtenir un résultat donné, on utilise une fonction d'évaluation dont la valeur représente la dépense qui est associée à chaque combinaison efficace de moyens. Une combinaison de moyens est meilleure qu'une autre si elle est associée à une dépense moins élevée ; elle est optimale si elle est moins onéreuse que toutes les autres. A l'optimum, les performances par milliers de francs dépensés sont égales quels que soient les moyens mis en œuvre.

La réalité des contraintes budgétaires ne peut être occultée. Tout acteur, toute structure, toute organisation a des moyens limités. On ne peut pas rechercher l'optimum optimorum, le nirvana des états de santé individuels. Sur le chemin qui mène vers une meilleure santé pour tous, se dresse inévitablement le mur d'un budget. Il convient alors d'offrir dans le cadre des ressources limitées dont on dispose, les meilleurs soins, les meilleurs services possibles. L'optimum sous contrainte ne saurait être un maximum. Lorsqu'il se produit une avancée thérapeutique majeure, il convient de dégager les moyens financiers suffisants pour en permettre la diffusion. Le besoin de financement correspondant peut être partiellement couvert par l'élimination des gaspillages et des dépenses inutiles. Mais cela ne suffit toujours pas. Pour trouver les fonds complémentaires, des choix doivent être opérés et des traitements dont l'utilité est modeste risquent d'être les premiers menacés.

Les décideurs qui estiment avoir, dans ce cadre, des devoirs et des responsabilités vis-à-vis des groupes de malades doivent s'interroger à la fois sur les moyens mobilisés et sur les performances obtenues. On ne peut plus faire fi de ce que les économistes appellent le « coût d'opportunité », autrement dit, la valeur de ce que l'on n'a pas pu faire en faisant ce que l'on fait. Faire le maximum pour un malade, c'est priver les autres malades des moyens qui ont été mobilisés pour le soigner. Ces virtualités sacrifiées définissent le vrai coût du traitement. Pour juger de son opportunité, on est logiquement conduit à s'interroger sur les avantages obtenus en contrepartie. Le but n'est pas de rogner aveuglément sur les dépenses, ni de permettre à une bureaucratie sans âme et sans visage de faire des économies. Le but est de parvenir à sauver plus de vies dans le cadre du budget financier qui est alloué. Un coût élevé n'est en aucun cas synonyme de condamnation, de retrait ou de non-autorisation de prescription, mais il est impossible d'atteindre l'objectif poursuivi – la défense des intérêts d'une communauté de malades – sans avoir au préalable étudié le rapport coût/efficacité des différentes stratégies thérapeutiques disponibles.

Rappeler la réalité des contraintes est extrêmement désagréable, mais peut être très utile lorsqu'on considère l'état de santé de la population dans son ensemble. Deux exemples permettent d'en illustrer la richesse. Dans l'un et l'autre cas, on considère une organisation de santé qui est confrontée à une contrainte budgétaire égale à 1 million de francs. Les options ou les classes thérapeutiques peuvent être classées en fonction de deux critères : le service médical rendu par cas (Cf. tableau 1) ou le

service médical rendu par KF (Cf. tableau 2). Le premier critère est exclusivement médical, le second est médico-économique.

Dans le premier cas, les ressources disponibles permettent de financer six classes thérapeutiques. Faute de financement, les quatre autres ne peuvent faire l'objet d'une prise en charge.

Dans le deuxième cas, au lieu de classer les options en fonction du service médical rendu par cas, on va les classer en fonction du service médical rendu par KF.

**Tableau 1**

<b>Classement en fonction du Service Médical Rendu par Cas</b>						
Classes Thérapeutiques	Individu		Population			SMR par KF
	SMR par cas	Coût par cas	Nombre de cas	SMR total	Coût total	
(1)	(2)	(3)	(4)	(5) : 2 x 4	(6) : 3 x 4	(7)
1	28,00	5 000,00	20	560	100 000	5,60
2	27,00	6 366,65	15	405	95 500	4,24
3	26,00	6 450,00	30	780	193 500	4,03
4	24,00	1 600,00	5	120	8 000	15,00
5	22,50	7 800,00	70	1 575	546 000	2,88
6	20,00	1 425,00	40	800	57 000	14,04
<b>Sous-total</b>			<b>180</b>	<b>4 240</b>	<b>1 000 000</b>	
7	16,20	4 500,00	84	1 361	378 000	3,60
8	12,90	3 300,00	18	232	59 400	3,91
9	12,00	1 311,00	65	780	85 215	9,15
10	11,40	450,00	50	570	22 500	25,33
<b>Sous-total</b>			<b>217</b>	<b>2 943</b>	<b>545 115</b>	
<b>Total général</b>			<b>397</b>	<b>7 183</b>	<b>1 545 115</b>	

Pour un millier de francs dépensé, on va d'abord sélectionner les classes thérapeutiques pour lesquelles le retour sur investissement est le plus élevé, ce qui paraît logique. Et à ce moment-là, on a un classement qui est totalement différent.

En éliminant la classe thérapeutique 5 qui absorbe plus de la moitié des ressources disponibles (546 000 francs), et en redéployant les masses budgétaires ainsi dégagées sur les traitements 7, 8, 9 et 10, on peut augmenter le nombre de cas pris en charge qui passe de 217 à 327 personnes, améliorer le service médical rendu à la population (5 608 SMR vs 4 240) soit une augmentation de 32 %, tout en respectant les contraintes budgétaires.

**Tableau 2**

## Classement sur la Base du Service Médical Rendu par KF

Classes Thérapeutiques	SMR par KF	Individu		Population		
		SMR par cas	Coût par cas FF	Nombre de cas	SMR total	Coût total FF
(1)	(7) : 5/6	(2)	(3)	(4)	(5)	(6)
10	25,330	11,40	450	50	570	22 500
4	15,000	24,00	1 600	5	120	8 000
6	14,040	20,00	1 425	40	800	57 000
9	9,150	12,00	1 311	65	780	85 215
1	5,600	28,00	5 000	20	560	100 000
3	4,300	26,00	6 450	30	780	193 500
2	4,240	27,00	6 367	15	405	95 500
8	3,910	12,90	3 300	18	232	59 400
7	3,600	16,20	4 500	84	1 361	378 000
<b>Sous-total</b>				<b>327</b>	<b>5 608</b> (+ 1368)	<b>999 115</b>
5	2,88	22,50	7 800	70	1 575	546 000
<b>Total général</b>				<b>397</b>	<b>7 183</b>	<b>1 545 115</b>

### LA DISLOCATION DU MOTIF

La situation actuelle se caractérise par la fragmentation des systèmes de financement institutionnels, les réticences des experts médicaux, l'absence de compréhension de la notion d'efficacité, et la totale liberté d'initiative laissée aux firmes pour initier des études médico-économiques.

- Le pilotage actuel du système de santé repose essentiellement sur des paramètres cliniques extraits des essais randomisés et sur la dictature des raisonnements en termes de bases budgétaires. C'est le règne du monopole des experts et de l'arbitraire des taux limitatifs de dépenses sectorielles. Les cliniciens et les comptables mènent deux politiques séparées et antagonistes. Les coûts cessent d'être rapportés à l'efficacité. Les composantes du raisonnement sont dissociées les unes des autres et étudiées séparément. Les coûts, désormais appréhendés pour eux-mêmes, sont entendus dans leur acception comptable la plus étroite. L'évaluation des résultats sanitaires relève à nouveau du domaine exclusif des professionnels de santé. Tout se joue très en amont dans le système au niveau de l'autorisation de mise sur le marché, de la commission de la transparence et du comité économique des produits de santé, sans que les décisions prises soient ultérieurement réévaluées sur des bases pragmatiques en fonction des résultats observés sur le terrain. Le dispositif reste en définitive caractérisé par son jacobinisme et le pouvoir de médecins décideurs dont les arbitrages peuvent difficilement reposer sur des arguments autres que médicaux.
- La finalité de toute analyse économique, qu'il s'agisse du médicament, de dispositifs médicaux ou de nouvelles stratégies thérapeutiques, est de démontrer que les dépenses supplémentaires, entraînées par leur mise en place, sont partiellement neutralisées par les économies réalisées sur les effets indésirables évités ou sur les évolutions pathologiques retardées. C'est ce coût médical net,

déduction des économies réalisées qui est ramené au surcroît d'efficacité associé à chacune de ces innovations. Dans le système de santé actuel, caractérisé par la non-fongibilité des enveloppes, une telle démonstration est impossible. Les décideurs qui devraient se placer d'emblée au niveau de la société toute entière en sont réduits à une analyse tronquée du fonctionnement du système de santé. Chacun ne voit que midi à sa porte. Le comité économique du médicament raisonne en coût de prescriptions, les hospitaliers négligent les frais de transports associés aux divers schémas possibles de chimiothérapie, la médecine ambulatoire dont l'activité peut éviter certaines hospitalisations ne se trouve jamais gratifiée pour les gaspillages qu'elle évite.

- Dans les textes officiels organisant la politique du médicament, on ne trouve nulle part une référence aux concepts d'efficience. Il est fait état soit du service médical rendu (SMR) qui est d'autant plus important que la maladie est grave et le progrès indéniable ; soit de l'amélioration du service médical rendu (ASMR) dont l'ampleur conditionne le niveau de prix accordé, soit une réduction de coût. Dans la logique de la grille, priorité doit être donnée au produit pouvant entrer dans la catégorie supérieure, c'est-à-dire maladie grave, niveau d'efficacité élevé, progrès technologique indéniable, mais cela soulève deux problèmes : va-t-on épuiser toutes les ressources disponibles au profit de ces innovations majeures et ne passer aux catégories subséquentes que lorsque les besoins couverts par la première sont satisfaits et qu'il reste de l'argent pour le reste ? Il n'y a aucun critère de répartition. Doit-on utiliser ce critère pour accorder systématiquement aux innovations majeures un prix plus élevé ?

On s'aperçoit qu'une telle démarche, niant le raisonnement en termes du rapport coût/efficacité, aboutit à des impasses et à des remises en cause. Impasses : non admission aux remboursements. Remise en cause : dénonciation des engagements pris avec baisse autoritaire de prix. Les décideurs se préoccupent exclusivement des implications budgétaires de leurs choix, ils ne cherchent pas à savoir si un meilleur parti aurait pu être tiré des ressources mises à la disposition du secteur sur lequel ils exercent leur autorité.

- Dans ce contexte, la réalisation des études médico-économiques est laissée à la libre initiative des industriels qui en financent la réalisation lorsque la conclusion de ces travaux peut appuyer la demande de prix qu'ils formulent, mais qui se gardent bien d'utiliser cet outil lorsque les résultats qu'ils peuvent en attendre sont plus aléatoires.
- L'absence de concurrence : il existe bien une concurrence par la qualité et la différenciation des produits, mais aucune concurrence par le prix. Ceux-ci pour les meilleurs produits s'alignent sur le prix européen, indépendamment des chiffres d'affaires réalisés, ce qui entraîne des ajustements autoritaires de la part des représentants des pouvoirs publics.

## **PROPOSITIONS**

- Le défi lancé aux décideurs est désormais d'atteindre l'objectif premier qu'ils se fixent : améliorer l'état de santé de la population tout en parvenant à maîtriser les dépenses. Des tensions doivent fatalement apparaître. Si des financements conséquents sont consacrés au remboursement d'une molécule, la prescription de celle-ci doit permettre de dégager des gains de santé au moins aussi importants que ceux qui auraient pu être obtenus en consacrant les deniers de l'assurance maladie au financement d'autres produits pharmaceutiques. Inversement, si une politique drastique de maîtrise est mise en œuvre sur le médicament, il faut s'assurer que la réduction des dépenses mises à la charge de l'assurance maladie ne se fait pas au prix d'une détérioration inacceptable de l'état de santé de la population. Le pilotage à vue dans une situation aussi difficile est manifestement dépassé. L'analyse coût/efficacité, permettant de mettre en évidence les relations existant entre les coûts additionnels et l'amélioration observée dans le service médical rendu, offre un cadre de référence objectif pour apprécier les cas de figure qui peuvent se présenter. Il conviendrait de les rendre obligatoires pour tout produit nouveau dont le chiffre d'affaire escompté dépasserait 300 millions de francs ou pour les produits ayant un traitement journalier supérieur à 20 francs par jour.
- Ces études ne seraient pas utilisées pour légitimer une demande d'ASMR ou une demande de prix. Elles devraient constituer autant d'outils utilisables pour structurer la lutte concurrentielle entre les industriels. Ces études feraient l'objet d'une labélisation par un corps d'experts indépendants qui leur accorderaient une note entre 1 et 4 en fonction de leur qualité. Elles devraient intégrer systématiquement une analyse de sensibilité sur les répercussions pour les conclusions de l'étude d'un changement à la hausse ou la baisse du prix du produit. Elles devraient également être doublées dans tous les cas de figure d'une analyse d'impact budgétaire. Les analyses du type prix de bilans nuls sont à écarter dans la mesure où elles ne permettent aucun partage des marges entre l'industrie et la société.
- Pour réintroduire un minimum de mécanisme de concurrence pour les médicaments, on pourrait envisager la mise sur pied d'un processus d'appels d'offres au sein d'une même classe thérapeutique ou mieux encore, un tarif plafond de référence pour leurs remboursements. Chaque classe pharmacothérapeutique serait remboursée sur la base d'un forfait dont le montant serait le même pour toutes les spécialités appartenant à cette classe, mais dont la valeur pourrait être modulée en fonction de l'importance du service médical rendu par classe. Le prix demandé par les industriels pourrait être supérieur au montant forfaitaire des sommes remboursées, ce qui introduirait une saine émulation entre les entreprises sur l'importance des contributions individuelles demandées aux consommateurs de leurs produits.