Journal d'Économie Médicale 2002, Vol. 20, n° 2, 128-135

Quelle place pour l'évaluation économique en matière de politique de santé ?

ROBERT LAUNOIS[1,2], FRANÇOIS LHOSTE[3]

[1]REES France, 28, rue d'Assas, 75006 Paris, France.
[2]UFR SMBH, Université de Paris XIII, 74, rue Marcel Cachin, 93017 Bobigny Cedex, France.
[3]Laboratoire d'Éthique biomédicale, Faculté de médecine de Necker, 156, rue de Vaugirard, 75015 Paris, France.

1. INTRODUCTION

S'il paraît souvent naturel aux individus dans leur vie quotidienne de rechercher le meilleur rapport qualité/prix des biens ou services qu'ils consomment couramment, il existe à l'inverse des domaines pour lesquels cette démarche d'agent – économique – rationnel n'est, en général, pas appliquée. C'est le cas notamment dans la santé où cette démarche qui consiste à rechercher l'efficience des options offertes est souvent absente des processus décisionnels des différents acteurs du système (institutions, professionnels de santé voire patients eux-mêmes).

Cependant, la contrainte financière qui pèse de plus en plus fortement sur un système de santé caractérisé par des dépenses de santé croissantes (innovations thérapeutiques coûteuses, vieillissement de la population...) dont la part, déjà élevée, dans le produit intérieur brut (PIB) augmente régulièrement, rend le recours à une des formes de rationalisation des ressources qu'est l'évaluation économique encore plus fondamental.

Nous montrerons ainsi que l'évaluation économique, en permettant de faire des choix rationnels entre différentes utilisations possibles des ressources en santé en référence à un critère d'efficience, peut être un instrument utile pour les décideurs, à condition cependant qu'un certain nombre de freins à son utilisation soient levés.

NB : Cette réflexion est issue d'un rapport présenté au groupe tripartite Collège des Économistes, Administration, Industrie. Il n'engage que la responsabilité des auteurs indépendamment des institutions auxquelles ils appartiennent. Nous remercions Corinne Blachier et Christelle Gastaldi-Menager pour leur contribution respective.

Cette démonstration, centrée sur l'utilisation, à des fins décisionnelles, de l'évaluation économique des produits de santé (médicaments et dispositifs médicaux) par les autorités de santé, s'articulera autour de quatre questions :

- Qu'est-ce que l'efficience d'un traitement, d'une stratégie thérapeutique ?
- Pourquoi et comment introduire l'efficience dans les décisions de politique de santé ?
- Quelle place pour l'évaluation économique dans le système actuel ?
- Comment favoriser l'utilisation des évaluations économiques par les décideurs ?

2. QU'EST-CE QUE L'EFFICIENCE D'UN TRAITEMENT, D'UNE STRATÉGIE THÉRAPEUTIQUE ?

2.1. L'efficience : un critère de jugement spécifique

Le terme d'efficience est trop souvent utilisé dans un sens polysémique sans que son contenu soit véritablement maîtrisé et sa portée clairement perçue. Il recouvre, pourtant, un critère de jugement spécifique distinct des critères cliniques et des critères budgétaires classiques qui prévalent généralement dans les décisions en santé. Chacun de ces trois critères renvoie en effet à une approche différente :

- l'approche médicale,
- l'approche budgétaire,
- l'approche économique.

• Approche médicale

La culture médicale classique incite à raisonner en termes d'efficacité thérapeutique ou de service médical rendu. Ce qui amène logiquement à une prise en charge sans réserve du malade qui confie au médecin le bien le plus précieux dont il dispose ici bas : sa vie. Les soins sont alors prodigués aux patients aussi longtemps qu'ils sont efficaces, quel que soit leur coût, et cela même lorsque les résultats obtenus s'avèrent, *in fine*, extrêmement modestes. Seuls les soins inutiles et *a fortiori* nuisibles, doivent être remis en cause. Dans le paysage médical actuel, la réalité des contraintes budgétaires apparaît lointaine.

• Approche budgétaire

Le principal objectif de l'approche budgétaire est la gestion des écarts par rapport à une norme prévisionnelle d'évolution des dépenses remboursées par l'Assurance Maladie (Ondam). Si les écarts constatés par rapport à la norme peuvent être résorbés, peu importe que l'on tire ou non le meilleur parti des ressources disponibles en termes de santé. On suppose que tel est le cas en privilégiant intuitivement les traitements qui offrent une amélioration du service médical rendu (ASMR) élevé, mais on ne vérifie jamais à l'aide du calcul économique si les résultats médicaux attendus ou observés sont à la hauteur de l'importance des moyens mobilisés. L'espace physique concerné par la décision se limite au nombre de prescriptions effectuées sans que les retombées de l'introduction d'un nouveau traitement sur d'autres postes de dépenses du système de santé soient véritablement recensées.

• Approche économique

Dans la mesure où 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 au plus grand nombre. L'optimum sous contrainte ne saurait être un maximum. 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. À l'optimum, les performances par milliers de francs dépensés sont égales quels que soient les moyens mis en œuvre.

Ainsi, l'approche économique ne découle pas tant de la volonté de maîtriser les dépenses, elle répond avant tout au souci de sauver le plus grand nombre de vies. En effet, selon l'approche économique le coût réel d'un traitement, n'est pas, contrairement à l'approche budgétaire, le montant des frais qu'il entraîne mais plutôt l'étendue des virtualités sacrifiées pour d'autres patients qu'il faudra renoncer à traiter.

C'est à cette logique économique ou plus précisément ici médico-économique, que répond le critère d'efficience.

2.2. L'efficience : une façon de réconcilier deux approches antagonistes

Le pilotage actuel du système de santé repose essentiellement sur des paramètres cliniques extraits des essais randomisés et sur des raisonnements centrés sur les contraintes budgétaires.

Les approches médicales et comptables s'opposent. Les coûts cessent d'être rapportés à l'efficacité. Les composantes du raisonnement sont dissociées les unes des autres et étudiées séparément. Les coûts, appréhendés pour eux-mêmes, sont entendus dans leur acception comptable la plus étroite. L'évaluation des résultats sanitaires relève essentiellement de la compétence des professionnels de santé.

Tout se joue très en amont dans le système sans que les décisions prises soient ultérieurement réévaluées sur des bases pragmatiques en fonction des résultats observés sur le terrain.

Dans les textes officiels organisant la politique du médicament, on ne trouve pas de référence au concept 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.

Cela soulève cependant 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 ?
- doit-on accorder systématiquement aux innovations majeures un prix plus élevé ?

Nier le raisonnement en termes d'efficience aboutit à des impasses – non-admission au remboursement – et à des remises en cause – dénonciation des engagements pris avec baisse autoritaire de prix – dès lors que les décideurs ne prennent en compte qu'une seule des implications de leurs choix (implications médicales ou budgétaires), sans chercher à savoir si un meilleur parti aurait pu être tiré des ressources mises à la disposition du secteur sur lequel ils exercent leur autorité.

L'efficience est l'instrument (ou plutôt le critère) qui peut permettre aux décideurs de faire des choix rationnels en tenant compte simultanément de l'intérêt médical des traitements mais aussi des contraintes financières. Le critère d'efficience est donc une façon de réconcilier deux approches – médicale et budgétaire – qui, dans le cadre des processus décisionnels en matière de santé, tendent à s'opposer.

Ainsi, même si l'utilisation de l'efficience pour éclairer la décision suscite en France des réticences qui freinent la mise en place des études indispensables, l'évaluation de l'efficience des traitements est appelée à connaître un développement considérable, et ce quelle

que soit l'évolution ultérieure du système de santé.

3. POURQUOI ET COMMENT INTRODUIRE L'EFFICIENCE DANS LES DÉCISIONS DE POLITIQUE DE SANTÉ ?

3.1. Sauver plus de vies dans le cadre du budget financier qui est alloué

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 pas toujours. Pour trouver les fonds complémentaires, des choix doivent être opérés et les traitements dont l'utilité est modeste risquent d'être les premiers menacés.

Les décideurs qui, dans ce cadre, ont 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. Adopter cette attitude c'est chercher à déterminer 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. Juger de l'opportunité d'un traitement, conduit logiquement à s'interroger sur les avantages obtenus en contrepartie. Le but n'est pas de réduire aveuglément les dépenses, ni de faire à tout prix 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 donc en aucun cas synonyme de condamnation, de retrait ou de non-autorisation de prescription.

Il est impossible, cependant, d'atteindre l'objectif poursuivi – la défense des intérêts d'une communauté de malades – sans avoir au préalable étudié l'efficience des différentes stratégies thérapeutiques disponibles.

3.2. Illustration

Rappeler la réalité des contraintes est souvent 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,
- le service médical rendu par KF.

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 (tableau I).

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.

Pour un millier de francs dépensés, on va d'abord sélectionner les classes thérapeutiques pour lesquelles le retour sur investissement est le plus élevé. Le classement auquel on aboutit est totalement différent. Éliminer la classe thérapeutique 5 qui absorbe plus de la moitié des ressources disponibles (546 000 francs) permet de redéployer les masses budgétaires dégagées sur les traitements 7, 8, 9 et 10. Ainsi, tout en respectant les contraintes budgétaires (tableau II) :

Tableau I : Classement en fonction du Service médical rendu par cas

	Individu			Population		
Classes Thérapeutiques	SMR par cas	Coût par cas	Nombre de cas	SMR total	Coût total	**SMR par KF**
(1)	(2)	(3)	(4)	(5) = 2 x 4	(6) = 3 x 4	(7) = 5/6
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
Sous-total			180	4 240	1 000 000	
7	16,20	6 367,00	84	1 361	378 000	3,60
8	12,90	3 300,00	18	232	59 400	3,91
9	12,00	4 500,00	65	780	85 215	9,15
10	11,40	7 800,00	50	570	22 500	25,33
Sous-total			217	2 943	545 115	
Total général			**397**	**7 183**	**1 545 115**	

Tableau II : Classement sur la base du service médical par KF

	Individu			Population		
Classes Thérapeutiques	SMR par KF	SMR par cas	Coût par cas	Nombre de cas	SMR total	**Coût total**
(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
Sous-total				327	5 608 (+ 1 368)	999 115
5	2,88	22,50	7 800	70	1 575	546 000
Total général				**397**	**7 183**	**1 545 115**

- on augmente le nombre de cas pris en charge qui passe de 217 à 327 personnes ;
- on améliore le service médical rendu à la population (5 608 SMR vs 4 240) soit une augmentation de 32 %.

4. QUELLE PLACE POUR L'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE DANS LE SYSTÈME ACTUEL ?

4.1. La place de l'évaluation économique...

L'évaluation économique est un instrument permettant d'évaluer l'efficience de différentes utilisations possibles de ressources dont la finalité est l'allocation optimale de ressources rares dans les domaines, comme celui de la santé, où les mécanismes du marché ne permettent pas d'assurer les arbitrages fondamentaux. En tant qu'outil permettant de faire des choix, l'évaluation économique s'inscrit donc, par nature, dans une perspective décisionnelle.

L'évaluation économique repose sur la comparaison de différentes utilisations possibles de ressources sur la base de leurs coûts et de leurs conséquences lesquelles peuvent être exprimées en termes quantitatifs (études coût-efficacité ou coût-utilité) ou en termes monétaires (étude coût-bénéfice). Elle suppose au préalable d'identifier et de définir les options pertinentes puis de mesurer, d'évaluer les coûts et les conséquences de chacune d'entre elles afin de les comparer.

En pratique, l'objectif 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.

Le défi lancé aux décideurs est 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 apparaissent fatalement. 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.

En permettant de mettre en évidence les relations existant entre les coûts additionnels et l'amélioration observée dans le service médical rendu, l'évaluation économique, notamment l'analyse coût/efficacité, offre un cadre de référence objectif pour apprécier les cas de figure qui peuvent se présenter.

4.2. ... est actuellement limitée

Cependant, dans le système de santé actuel, caractérisé par la non-fongibilité – du moins à court terme – des enveloppes ville/hôpital, une telle démonstration est impossible car les décideurs, qui devraient se placer d'emblée au niveau de la société tout entière, ne peuvent s'appuyer que sur une analyse tronquée du fonctionnement du système de santé. Comment, en effet, dans le cadre d'un tel système évaluer l'intérêt économique de stratégies caractérisées, par exemple, par des modes de prise en charge des patients très différents (ambulatoire versus hospitalisation) ? Ainsi, la médecine ambulatoire dont l'activité peut permettre d'éviter certaines hospitalisations

risque de ne jamais être gratifiée pour les gaspillages qu'elle conduirait à éviter.

Si la fragmentation des systèmes de financement institutionnels, tout comme l'absence précédemment évoquée de référence à la notion d'efficience dans les textes officiels, sont des facteurs susceptibles de limiter l'utilisation actuelle des évaluations économiques à des fins décisionnelles, leur suppression pose des problèmes, d'ordre politique en particulier, qui dépassent l'objet de cette note.

Toutefois, d'autres freins – tels que ceux qui découlent d'une méconnaissance par les cliniciens et les autorités de santé de la notion d'efficience ainsi que de l'intérêt de l'évaluation économique et/ou d'une suspicion à l'égard des évaluations économiques – peuvent cependant être levés afin de favoriser l'utilisation des évaluations économiques par les décideurs.

5. COMMENT FAVORISER L'UTILISATION DES ÉVALUATIONS ÉCONOMIQUES PAR LES DÉCIDEURS ?

La création, en 1999, d'un groupe d'experts ayant notamment pour mission de se prononcer sur la validité scientifique des études médico-économiques relatives aux médicaments et dispositifs médicaux déposés auprès des autorités de santé ainsi que le développement, la diffusion et aujourd'hui l'actualisation des guidelines tendent à favoriser l'utilisation des évaluations économiques par les décideurs.

Malgré tout, un manque de crédibilité à l'égard des études persiste en raison notamment de l'existence d'un biais de sélection des études présentées aux décideurs ainsi que de leur fréquent manque de pertinence et/ou de transparence.

Deux mesures permettraient pourtant d'améliorer la crédibilité des études :

- rendre les évaluations économiques systématiques pour certains types de produits de santé ;
- améliorer la pertinence, la transparence et *in fine* la qualité, des évaluations économiques.

5.1. Rendre les évaluations économiques systématiques pour certains types de produits de santé

La réalisation des études médico-économiques est aujourd'hui laissée, en France notamment, à la libre initiative des industriels. Cette liberté est totale et concerne notamment le choix :

- des produits pour lesquels une étude va être réalisée ;
- du design, du protocole de l'étude, des comparateurs... ;
- de publier, diffuser, et/ou d'utiliser ou non les résultats.

Il en résulte une suspicion des décideurs à l'égard des études médico-économiques présentées par les firmes. Ce biais de sélection ne se pose pas pour les essais cliniques puisque ces derniers doivent obligatoirement être déclarés. Les décideurs peuvent donc connaître les résultats de l'ensemble des essais cliniques réalisés qu'ils soient positifs ou non, publiés ou non.

Pour limiter ce biais, une solution, plus réaliste et préférable que celle qui consisterait comme pour les essais cliniques, à déclarer toutes les études médico-économiques, serait de rendre les études médico-économiques systématiques pour tout produit répondant à certains critères restant à définir (ex : nouveau médicament dont le chiffre d'affaire escompté dépasserait un certain montant ou pour les médicaments dont le coût de traitement journalier serait supérieur à un seuil donné).

5.2. Améliorer la pertinence, la transparence et *in fine* la qualité, des évaluations économiques

Pour qu'une étude médico-économique soit utile pour les décideurs il faut qu'elle soit per-

tinente, objective, claire et de bonne qualité ce qui n'est pas toujours le cas. Le respect des recommandations suivantes, simples à mettre en œuvre, devrait améliorer l'intérêt décisionnel des études réalisées :

- définir clairement l'objectif de l'étude ;
- s'assurer que le point de vue de l'étude, l'horizon temporel, les coûts et les conséquences qui en découlent sont non seulement adaptés mais également pertinents compte tenu du contexte décisionnel dans lequel s'inscrit l'étude ;
- construire les études de façon objective en écartant notamment les analyses du type prix de bilans nuls dans la mesure où elles ne permettent aucun partage des marges entre l'industrie et la société ; en identifiant l'ensemble des coûts et des conséquences pertinentes ;
- présenter explicitement, justifier et analyser l'impact sur les résultats de l'ensemble des choix méthodologiques et des hypothèses effectués ;
- accompagner l'évaluation économique d'une analyse d'impact budgétaire.

6. CONCLUSION

L'évaluation des stratégies médicales est entrée dans une ère nouvelle ; après l'évaluation thérapeutique vient l'évaluation économique. À la différence de la première, la seconde prend en compte non seulement les effets cliniques du traitement mais aussi son impact économique. Dès lors que des besoins concurrents exercent une pression croissante sur des ressources limitées, on ne peut se contenter d'étudier l'efficacité clinique des différents traitements sans prendre en compte leurs coûts respectifs.

Trop souvent les décideurs ne considèrent qu'un de ces deux aspects. Les médecins privilégient le critère efficacité, les « comptables » sont essentiellement préoccupés par les coûts. C'est désormais la notion d'efficience qui doit primer.