

*Ecole des Mines*

*Paris – 22 NOVEMBRE 2007*

**LA MEDICO-ECONOMIE :**

*Pr Robert Launois*

REES France : Réseau d'Evaluation en Economie de la Santé

28, Rue d'Assas - 75006 PARIS - ☎ 01 44 39 16 90 – E-mail: reesfrance@wanadoo.fr

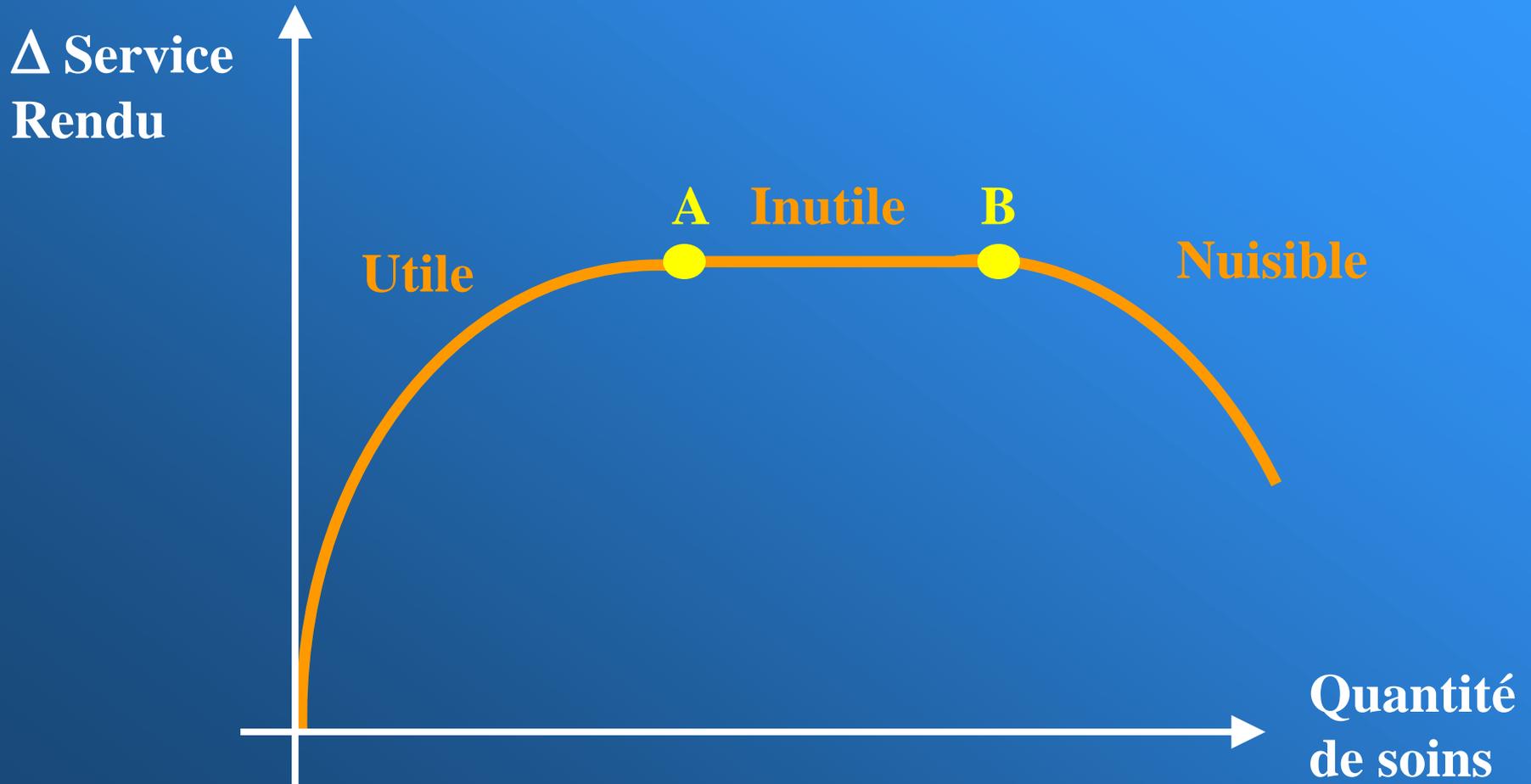
**<http://www.rees-france.com>**

# Plan de l'Intervention

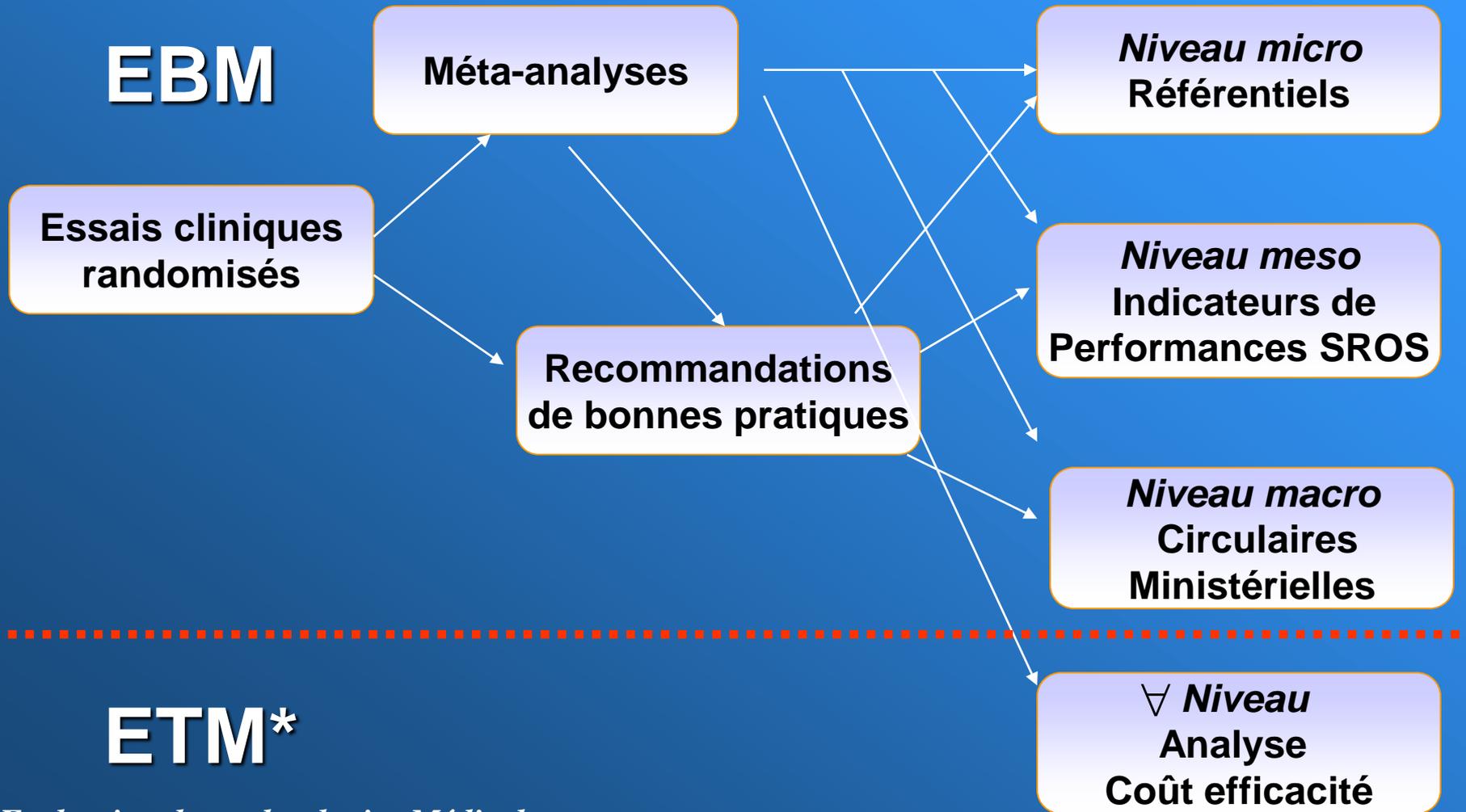
- Pourquoi évaluer ?
- Comment évaluer ?
- Associer probabilités d'occurrence et conséquences
- Conclusions

# POURQUOI EVALUER ?

# La Santé n'a pas de Prix, mais Elle a un Coût : *Un Slogan Obsolète*

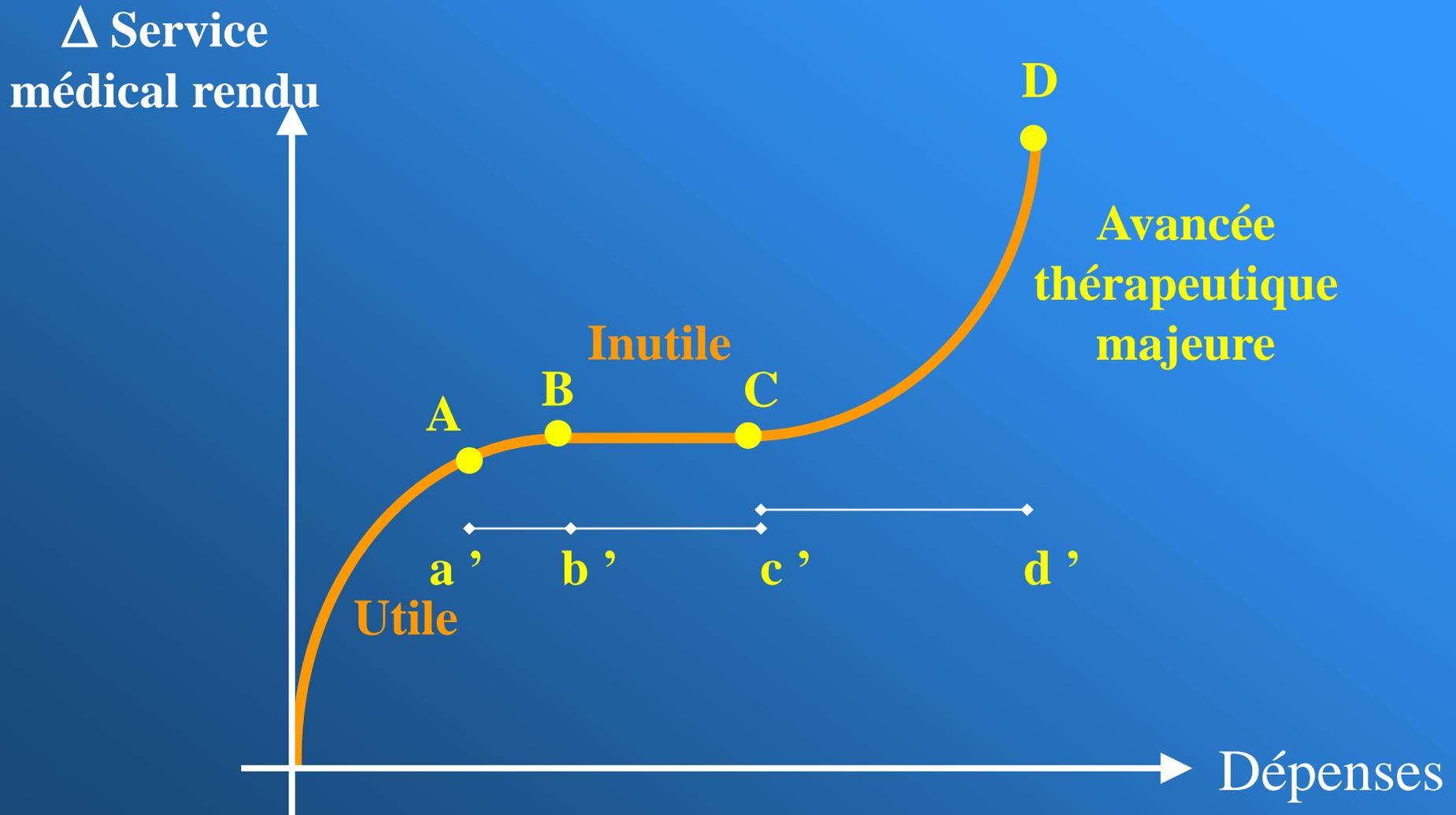


# De la Recherche Clinique à la Politique de Santé : EBM vs ETM \*



\**Evaluation des technologies Médicales*

# La Nécessité de Choisir



# Est-ce que « Ça » Vaut le Coût?

*Le Ratio Coût-Efficacité différentiel :  
Le Critère de Jugement des Économistes*

$$\frac{\Delta C}{\Delta E} = \frac{\Delta C_t + \Delta C_{ct} - \Delta C_{cm}}{\Delta E}$$

C : Coût médical total par patient traité

E : Efficacité totale

C<sub>t</sub> : Coût du traitement

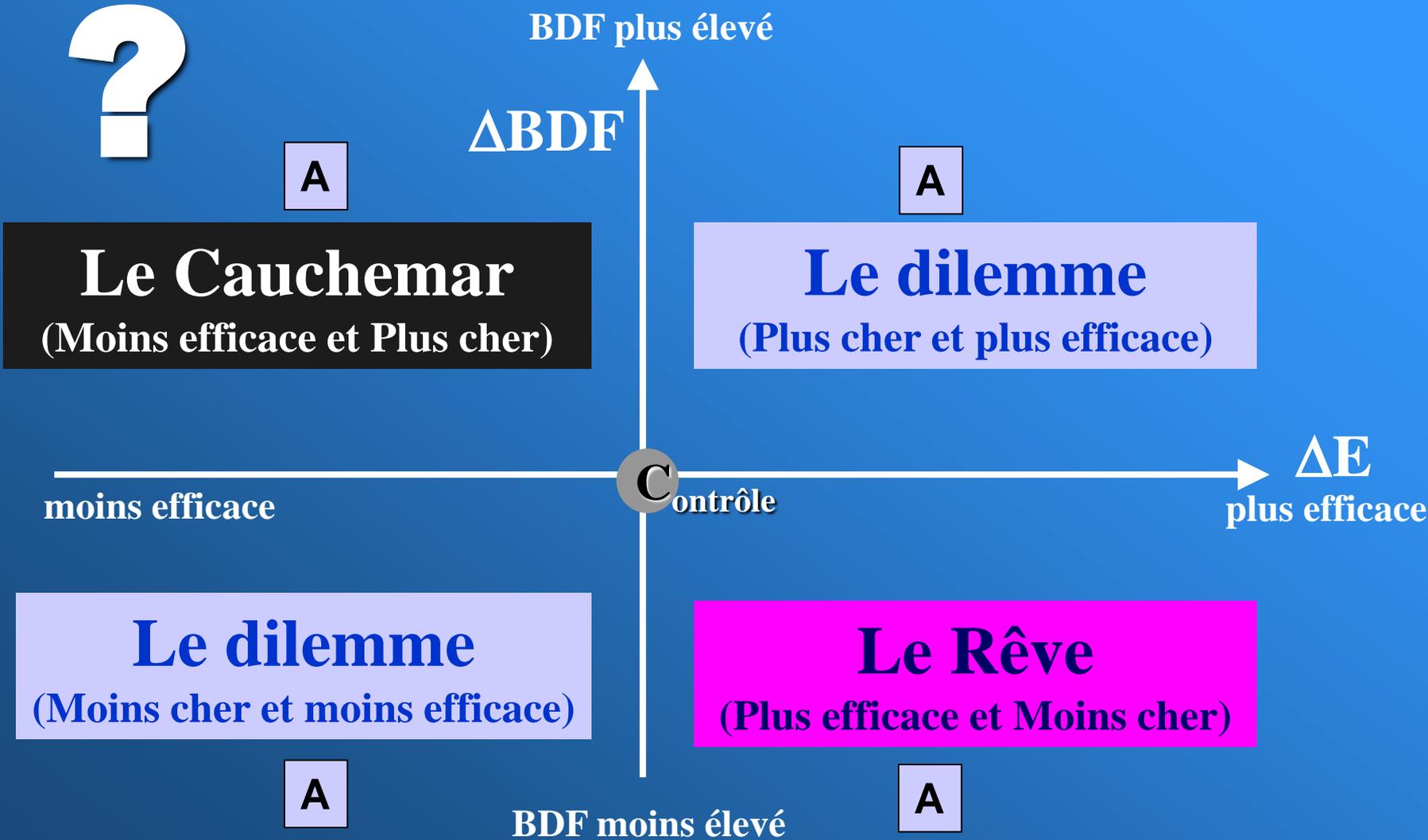
C<sub>ct</sub> : Coût des complications liées au traitement

C<sub>cm</sub> : Coût des complications liées à la maladie

# **l'Evaluation Economique au Service de la Santé Publique**

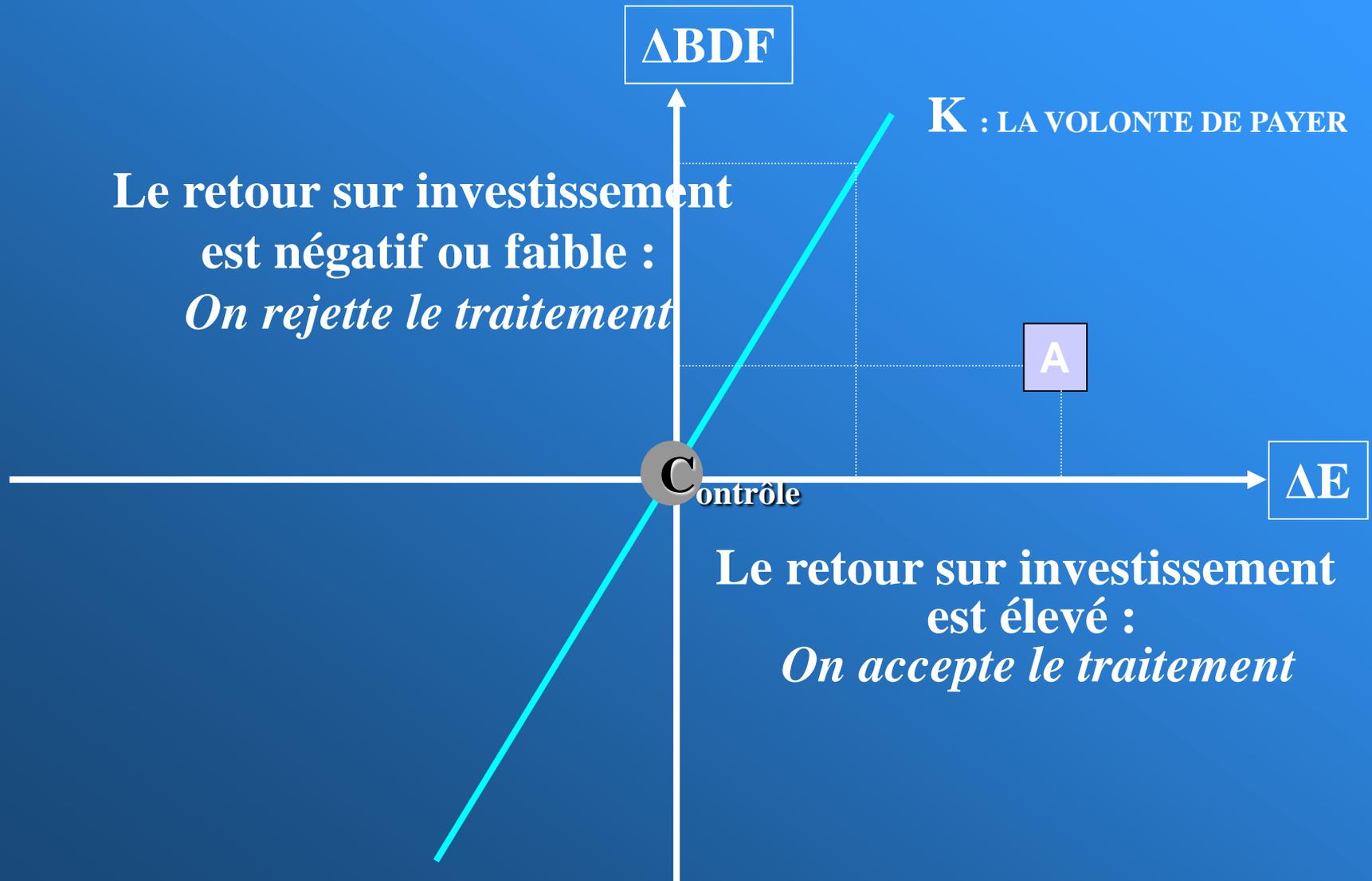
**Défendre au mieux les intérêts des malades  
en sélectionnant les interventions qui offrent  
*les meilleurs bénéfices thérapeutiques, humains et  
financiers*  
*par unité monétaire investie***

# En Avoir ou Non Pour Son Argent : Où est A ?



*BDF: Besoin de Financement*

# La Volonté de Payer n'est Pas Infinie



# Combien la Représentation Nationale Est-Elle Prête à Verser ?

Le Parlement vote la loi de financement de la Sécurité Sociale qui fixe l'Objectif National des Dépenses d'Assurance Maladie

**Réparti entre 6 sous objectifs**

```
graph TD; A[Réparti entre 6 sous objectifs] --> B[Réseaux]; A --> C[Soins de ville]; A --> D[Etablissements de santé tarifés à l'activité MCO]; A --> E[Autres Etablissements de santé SSR, PSY]; A --> F[Etablissements Personnes Agées]; A --> G[Ets handicapés];
```

**Réseaux**

**Soins  
de  
ville**

**Etablissements  
de santé tarifés à  
l'activité MCO**

**Autres  
Etablissements  
de santé SSR, PSY**

**Etablissements  
Personnes  
Agées**

**Ets handicapés**

# L'ONDAM 2007 144,8 Md€ (+2,6%)

« La Bonne Santé des Uns fait la Mauvaise Santé des Autres »



# Quel Montant doit-on Investir pour Obtenir le Résultat Attendu ?

*Le Rapport des gains espérés eu égard aux investissements consentis :*

Deux populations indépendantes de mêmes caractéristiques

groupe « innovant »

Moyennes :  $\bar{E}_A$   $\bar{C}_A$

groupe contrôle

Moyennes :  $\bar{E}_B$   $\bar{C}_B$

Ratio différentiel Bdf/Résultat

$$R = \frac{\Delta BDF}{\Delta E} = \frac{\overline{BDF}_A - \overline{BDF}_B}{\overline{E}_A - \overline{E}_B}$$

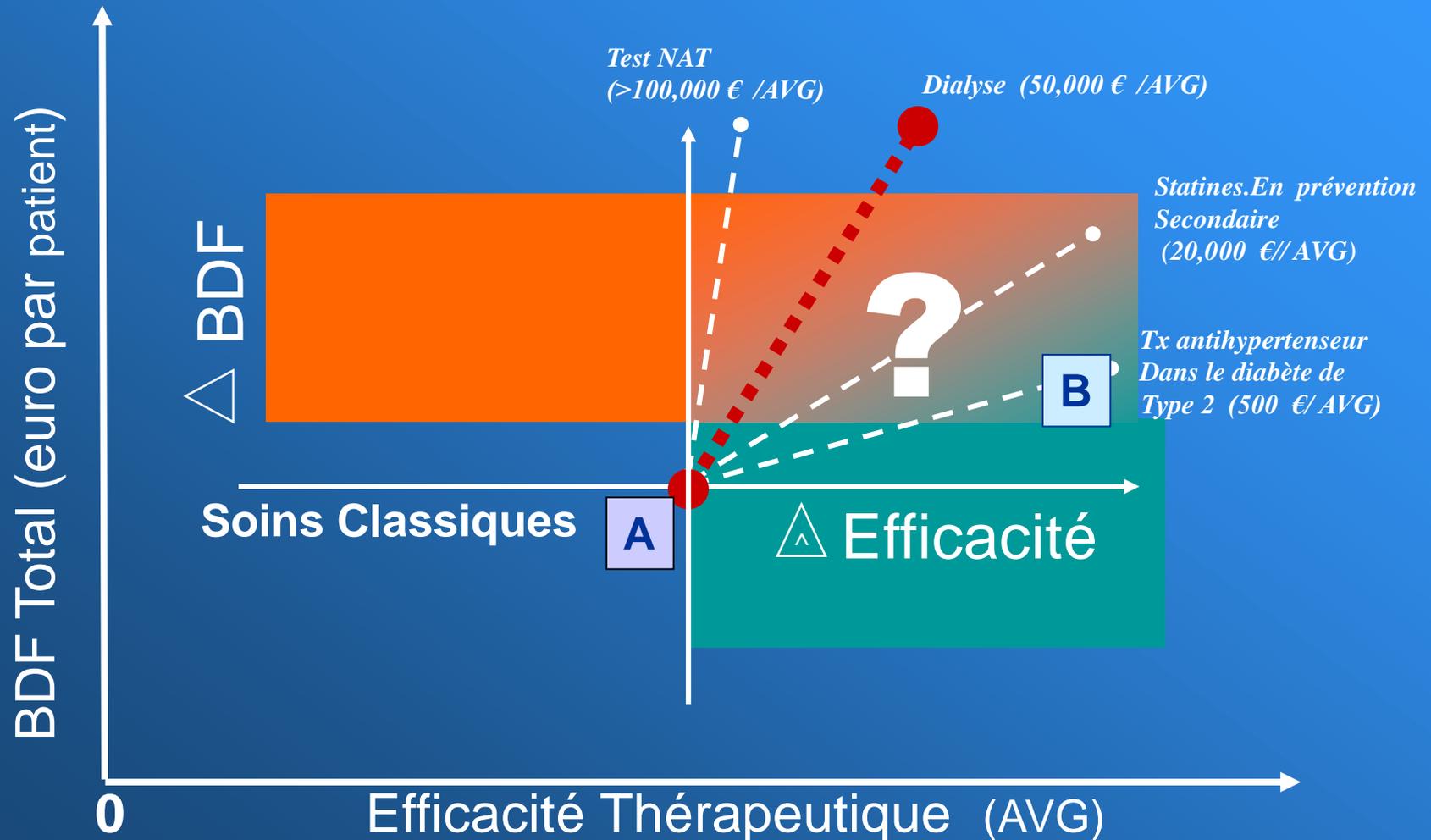
*BDF: Besoin de Financement*

# Il y a-t-il Une Barre à Ne Pas Franchir ?

(Euros<sub>2001</sub>)

<b>INTERVENTIONS</b>	<b>COÛT PAR ANNEE DE VIE</b>
<b>Traitement de Béta-bloquants aux survivants d'infarctus</b>	<b>971</b>
<b>Mammographie tous les 3 ans pour femmes de 50 à 65 ans</b>	<b>3 097</b>
<b>Soins intensifs aux polytraumatisés</b>	<b>29 727</b>
<b>Dialyse rénale pour insuffisance rénale chronique chez des hommes de 45-54 ans</b>	<b>53.736</b>
<b>Traitement hormonal substitutif pour des femmes post-ménopausées asymptomatiques entre 55 et 70 ans</b>	<b>285 841</b>

# Le Pseudo Seuil de 50 000 € : Un Repère Dépassé :



**AVG** = Années de vie gagnées ; **QALY** = Années de vie ajustées sur la Qualité

# COMMENT EVALUER?

# Quand Peut-On Parler d'Evaluation Economique ?

*La confrontation des moyens et des résultats est elle systématique ?*

*Existe-t-il un groupe contrôle ?*

		Non	Oui
Non		Pas d'évaluation	
		Séries d'observations cliniques	Exercice de comptabilité analytique
Oui		Evaluation partielle	
		Démonstration de l'efficacité relative des procédures	Analyse des coûts différentiels des procédures
		Pas d'évaluation	
		Etude monographique sur les moyens mobilisés et les résultats obtenus	
		<b>Evaluation complète</b>	
		<b>Recherche de l'efficience</b>	

# Quel Type d'Analyse Peut-on Faire ?

TYPE D'ANALYSE	MODES D'EXPRESSION DES RESULTATS
Identification des besoins de financement (BDF)	Analyse descriptive
Comparaison des besoins de financement (BDF)	Analyse comptable – pas de critère clinique
Minimisation des besoins de financement (BDF)	Équivalence d'efficacité scientifiquement démontrée
Analyse d'Impact Budgétaire	Deux scénari alternatifs du coût de la prise en charge de la population cible
Besoins de financement (BDF) / Efficacité	Un indicateur clinique dominant : ( <i>Décès évités, années de vie gagnées</i> )
Besoins de financement (BDF) / utilité	Un indicateur de morbi-mortalité ( <i>QALY's</i> )
Besoins de financement (BDF) / bénéfices	Valorisation monétaire des bénéfices



# Chiffrer la Quantité d'Effet : $\Delta E$

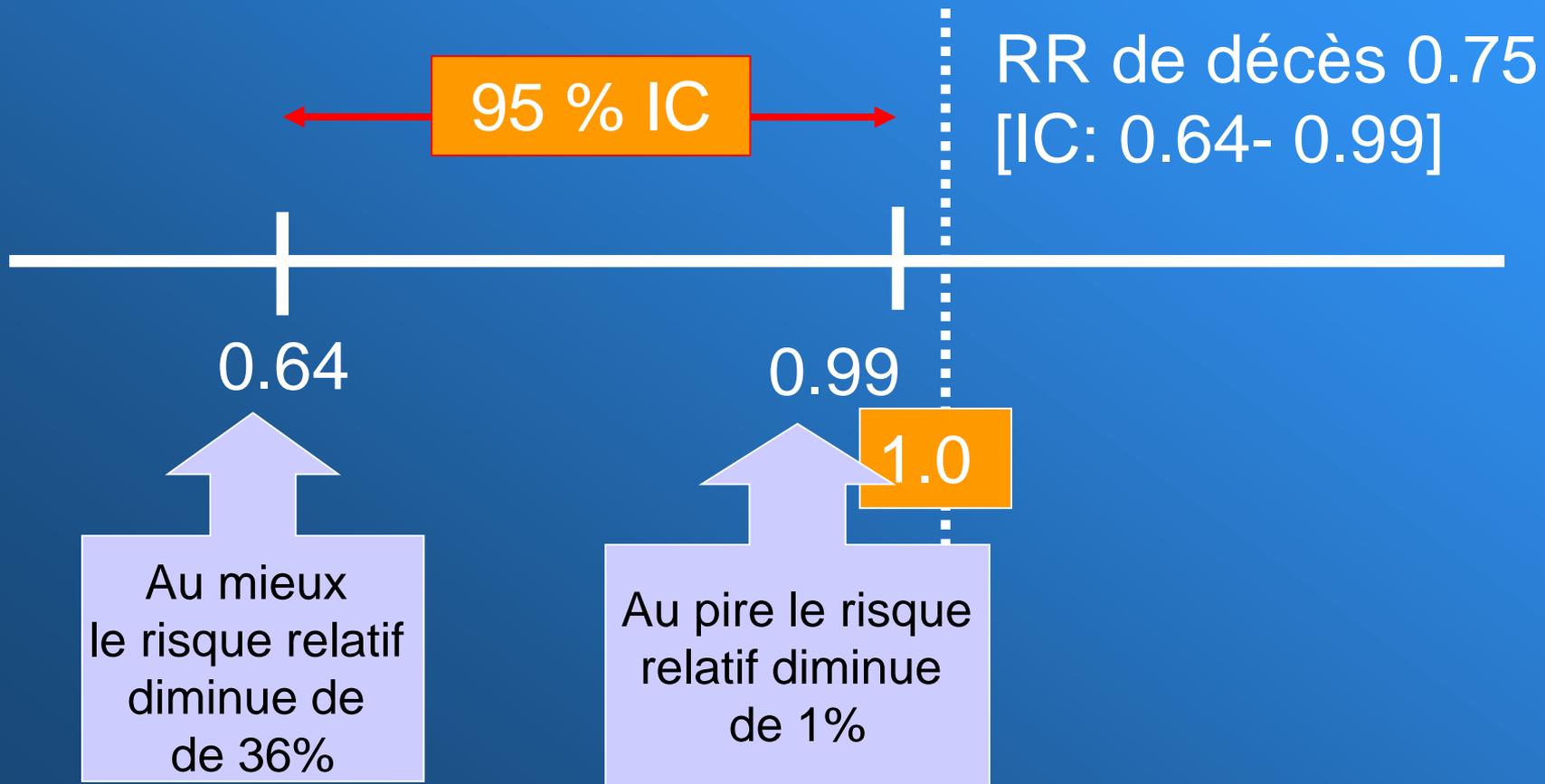
pour quantifier la  
différence entre  
les traitements



# Indices d'Efficacité Thérapeutique

- Différence de risque
- Risque relatif
- Rapport des côtes
- Nombre de sujets à traiter
- Rapport de risques instantanés

# Estimer la Précision avec Laquelle le Résultat a été Établi



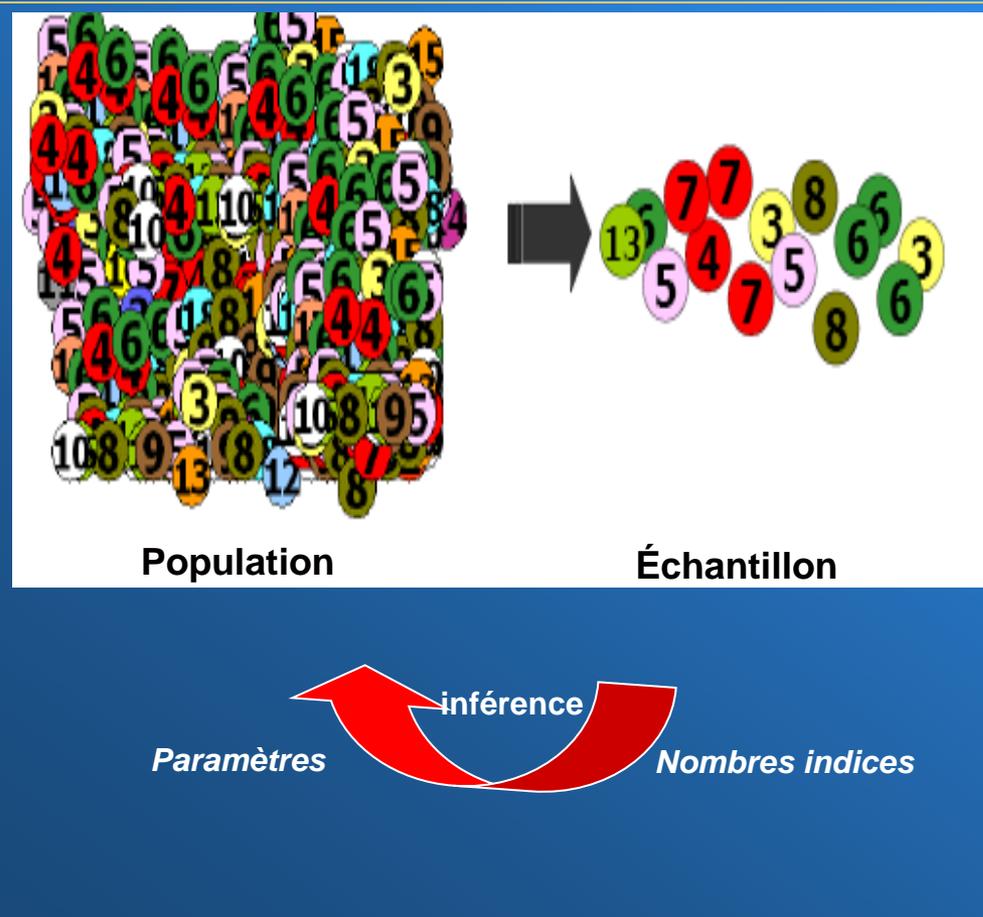
# Raisonner en Termes Populationnels: « Stratégie de Masse » vs « Stratégie Ciblée »

Intervention	Population rejointe en nombre annuel d'AVC	Différence absolue de risque exprimé en % (IC 95 %)	Nombre de décès ou de handicaps évités N (IC 95 %)	Bénéfice populationnel pour 1000 AVC (IC 95 %)
UNV (100 %)	94 200 <sup>1</sup>	<b>5,6 %<sup>2</sup></b> (2,0 ; 8,3)	<b>5 275</b> (1 884 ; 7 819)	56 (20 ; 83)
Rt-PA (20 %) <sup>4</sup>	18 000	<b>11,0 %<sup>3</sup></b> (5,0 ; 17,0)	<b>1 980</b> (900 ; 3 060)	21 (10 ; 32)
Rt-PA (1,1 %) <sup>5</sup>	1 080	11,0 % (5,0 ; 17,0)	119 (54 ; 184)	1,26 (0,57 ; 1,95)

<sup>1</sup> estimation PMSI 2005 ; <sup>2</sup> Cochrane review 2002 UNV vs Médecine interne; <sup>3</sup> Warlow; Stroke 2003 ; estimation <sup>4</sup> Californian Acute Stroke Pilote Registry; Stroke 2005 ; <sup>5</sup> Enquête d'observation [SFNV-DHOS 2006] ;

Rapport OPEPS 2007

# Moyenne Empirique/ Moyenne « Vraie »



- On ne connaît pas ( $\mu$ ) la **moyenne dans la population** mais on aimerait la connaître
- On **extraît un échantillon** de la population
- On calcule la **moyenne** de l'échantillon  $\bar{X}$
- Quelle est la **proximité de  $\bar{X}$  par rapport à ( $\mu$ )** ?
- La **statistique de test** quantifie l'importance de l'écart entre  $\bar{X}$  et  $\mu$
- La démarche inférentielle permet de passer du particulier au général en **prédisant les caractéristiques de la population toute en entière à partir des observations tirées de l'échantillon**

# Chiffrez les Coûts : $\Delta C$

## *Les Postes Susceptibles d'être Documentés*

- **Dépenses médicales** : *Consommation de soins et de biens médicaux*
- **Dépenses non médicales** : *Aides techniques, aides humaines, hébergement collectif, transports non sanitaire, aménagement du domicile*
- **Temps familiaux** : *heures de travail perdues par le malade ou les aidants familiaux non salariés du fait du traitement*
- **Pertes de production** : *heures de travail perdues du fait de la maladie ou d'un décès prématuré*

# En Se Plaçant de Quel Point de Vue ?

- **Les Familles**
- **Les Professionnels de santé**
- **Les Acheteurs :CEPS, ARH, AM**
- **Le Régulateur du système de soins**
- **La Collectivité**

# Avec Quels Domaines de Compétences Reconnues ?

- **Familles** : *Reste à charge*: ticket modérateur de droit et de fait, frais de transport, d'hébergement, et de garde
- **Professionnels**: Coûts rattachables au traitement, au service, à la structure, à la pathologie
- **Acheteurs**
  - *CEPS* : *Consommation de médicaments*
  - *ARH* : *Consommation de soins hospitaliers*
  - *Assurance Maladie*: *Consommation de soins ambulatoires*
- **Régulateur DSS** : Dépenses médicales remboursées
- **Société** : Dépenses médicales remboursées et coûts familiaux

# Les Postes à Retenir en Fonction du Point de Vue Choisi

Coûts à colliger	Point de vue choisi				
	Familles	Professionnels de santé	Acheteurs ceps, arh, am	Système de soins	Collectivité nationale
Dépenses médicales	Non remboursées	Liées au traitement	Remboursées	Oui	Oui
Dépenses non médicales	Oui	Non	Non	Non	Oui
Temps sacrifié par l'entourage	Oui	Non	Non	Non	Oui
Pertes de production	Pertes de revenus non compensées	Non	Non	Non	Non Si QALY's
Coût de l'Etat Providence	Revenus de substitution	Non	Indemnités journalières	Non	Frais gestion

# “Le Coût d’un Bien n’existe Pas”

C. Riveline - Annales des Mines - Juin 1973

“IL Y A AUTANT DE TYPES DE COUTS QUE D’UTILISATIONS POSSIBLES. CHAQUE TYPE DE COUT EST DEFINI PAR CINQ CARACTERISTIQUES ”

- **Son destinataire : Un coût pour qui ?**
- **Son périmètre : Les coûts de quoi ?**
- **Son contenu :Quels types de coûts ? Pour quoi faire ?**
- **Son horizon temporel : Court terme/ Long terme ?**
- **Ses modalités de recueil : Coût observé ou coût protocolé ?**

# Un Coût pour Qui ?

- Pharmacien hospitalier:  **Coût d'acquisition ou d'usage du médicament**
- Directeur financier :  **Groupes homogènes de malades (Comptabilité analytique-GHM-ENC )**
- Agence régionale de l'hosp :  **Groupes homogènes de séjour (GHS)+ Forfaits + MO**
- Sécurité sociale :  **Groupe homogènes de séjours +Forfaits+MO +Ville + ID journalières**
- Système de soins :  **Dépenses remboursées +Reste à charge**

# Le Coûts de Quoi ?

## Dépenses médicales :

- Coûts variables : Médicaments, Usage du médicament, Consommables, Laboratoire, Exploration fonctionnelle, Radiothérapie, Radiologie, Anesthésie, Réanimation, Dialyse, autres actes
- Coûts Fixes : Salaires (Médecins, IDE, AS), Matériels médicaux (amortissement, maintenance)

## Dépenses logistiques :

- Coûts variables : Blanchisserie, Restauration
- Coûts Fixes : Autres salaires, Informatique, Maintenance

## Dépenses de Structure :

- Administration
- Frais financiers – amortissements

➤ **Coût Complet (ou total) : coût quasi-complet + coût structure**

# Des Coût Pour Quoi Faire?

Le choix d'un contenu dépend de la finalité de l'étude  
**Pourquoi cherche-t-on à le mesurer ?** Est-ce pour disposer d'un :

- **CRITÈRE DE GESTION ?** = coût différentiel de la décision thérapeutique
- **OUTIL DE CONTRÔLE ?** = coût partiel directement rattachable à l'activité
- **INSTRUMENT DE TARIFICATION ?** = coût complet

# Quelle Fenêtre Temporelle Retenir ?

- Une décision peut faire sentir ses conséquences jusqu'à la fin des temps. Il convient de fixer un horizon au-delà duquel on se désintéressera des effets produits. Les limites de la prévision doivent être définies.
- A court terme, compte tenu des rigidités existantes, les seules économies potentielles que l'on peut espérer d'une réduction de la durée d'hospitalisation ne concernent que les dépenses variables associées à la prise en charge des malades : coûts partiels.
- A long terme, on tient compte de l'ensemble des charges : coûts complets

# Rationnel de l'Actualisation

La justification de l'actualisation repose sur deux principes :

- *La préférence pour le temps* : la plupart des gens sont disposés à recevoir une somme de monnaie moindre à condition de pouvoir en disposer immédiatement “un tien vaut mieux que deux tu l'auras”
- *Le coût d'opportunité* : Un franc aujourd'hui vaut moins qu'un franc demain puisque son placement immédiat rapporterait demain le principal augmenté de des intérêts correspondants

# Valeur Actuelle d'un Paiment Futur

- Soit un échéancier de dépenses prévisionnelles  $C_1, C_2, \dots, C_T$ , sa valeur actuelle est égale à :

$$VA = \sum_{t=1}^T \frac{C_t}{(1+r)^t}$$

- où  $1/(1+r)^t$  désigne le coefficient d'actualisation d'un paiement futur pour une année donnée (table d'actualisation simple)

# Controverses

Il est impératif d'actualiser, *MAIS* :

- Quel taux d'actualisation faut-il choisir ?
- Doit-on actualiser à la fois les coûts et l'efficacité ?
- Faut-il actualiser les coûts et l'efficacité en utilisant le même taux d'actualisation ?

# Des Coûts Colligés Comment ?

- *Coût observé :*

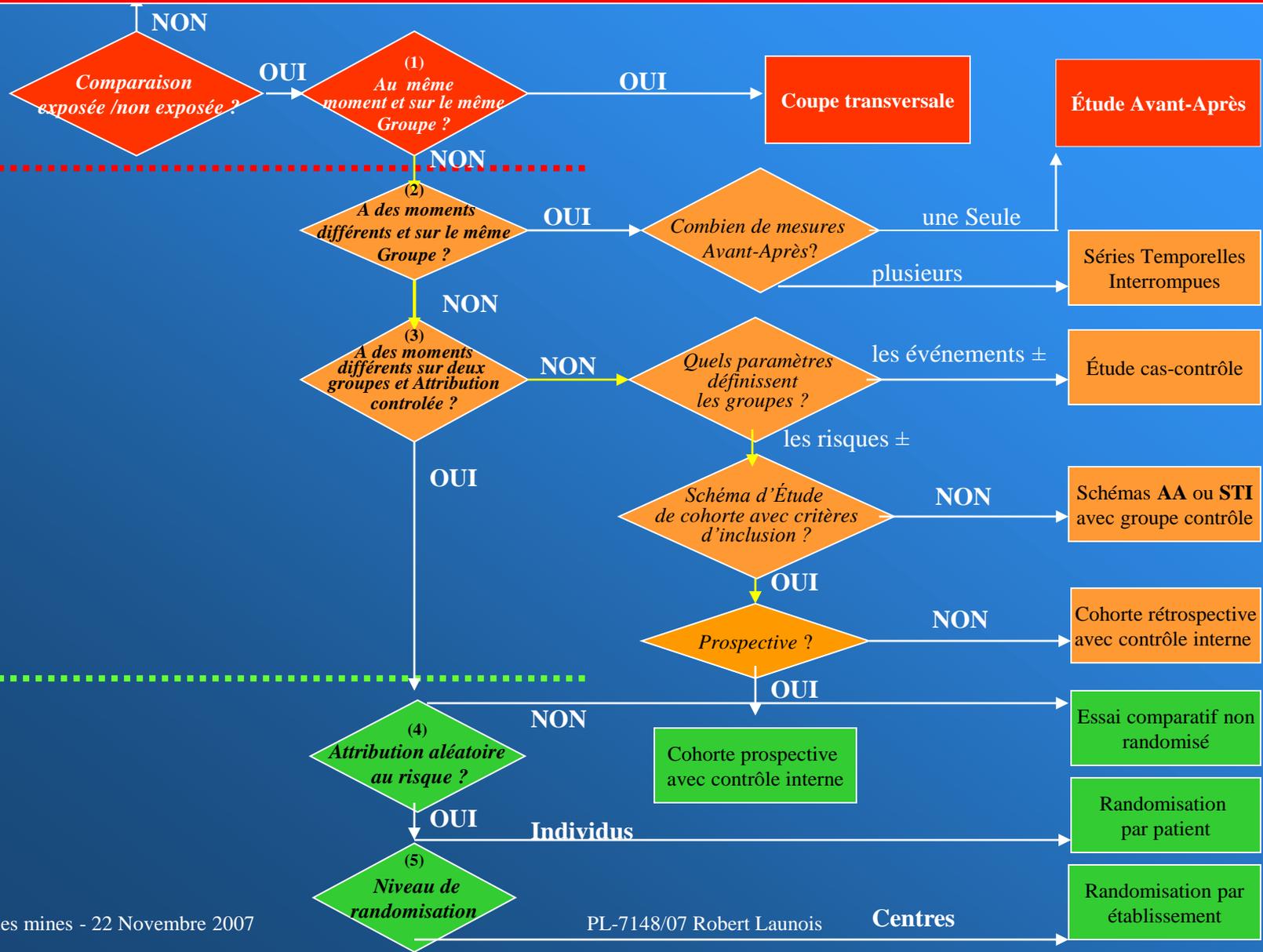
Coût constaté défini à partir des consommations réelles **relevées rétrospectivement** dans le dossier médical **ou de façon prospective** dans un cahier d'observation et de leur prix de revient unitaire.

- *Coût de référence :*

Coût pré-établi ayant valeur de norme, défini sur la base d'une quantité standard par malade et d'un coût unitaire fixé à l'avance.

# Algorithme de Classification des Schémas d'Etude

## Étude descriptive-Étude normative



# Hierarchie des Schémas d'Etude

- Essais cliniques randomisés, Essais comparatifs
- Cohorte prospective et retrospective
- Series temporelles interrompues avec series comparatives
- Etude Avant-Aprés avec groupe contrôle

---

- Series temporelles interrompues sans serie comparative
- Etude Avant-Aprés sans groupe contrôle
- Etude Cas- Contrôle
- Coupe transversale
- Etude descriptive non comparative : series d'observations, and études normatives

**Forte  
adéquation**

**Adéquation  
modérée**

**Adéquation  
faible**

**Absence  
de preuve**

# Mesure de la Comparabilité des Patients

Différence Standardisée (d) :

$$\frac{(\bar{x}_{Après} - \bar{x}_{Avant})}{\sqrt{\frac{S_{Après}^2 + S_{Avant}^2}{2}}} * 100$$

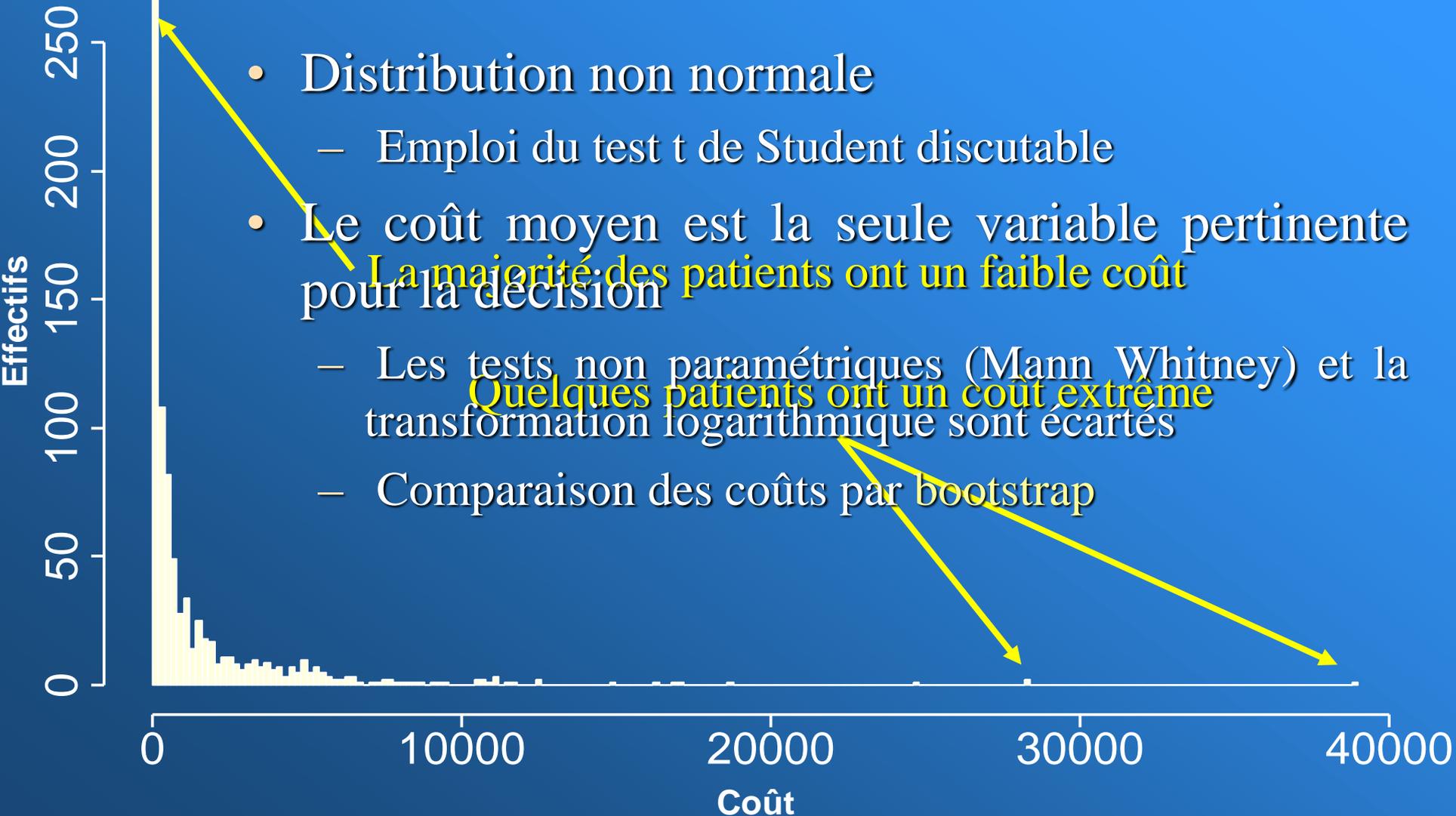
- Force du signal par rapport à l'ampleur du bruit
- $d > 10\%$   $\Rightarrow$  Différence non négligeable entre les deux phases

# Réduction des Biais de Recrutement par la Méthode du Score de Propension (SP)

- Définition du SP :
  - SP : Probabilité de recevoir du  $X^{\text{R}}$  compte tenu des caractéristiques cliniques initiales =  $P(X^{\text{R}} \mid \text{Caractéristiques du patient})$
  - Si  $SP_{\text{Avant}} = SP_{\text{Après}} \rightarrow$  patients comparables
- Échantillon avec **appariement** sur le SP
  - Contrôle du biais de recrutement
  - Moins de patients si SP trop dissimilaires  $\rightarrow$  perte de puissance
- Le SP **simule un essai randomisé** en assurant la comparabilité des patients sur les **variables observées**

# Écarts à la normalité :

## cas des coûts de traitement



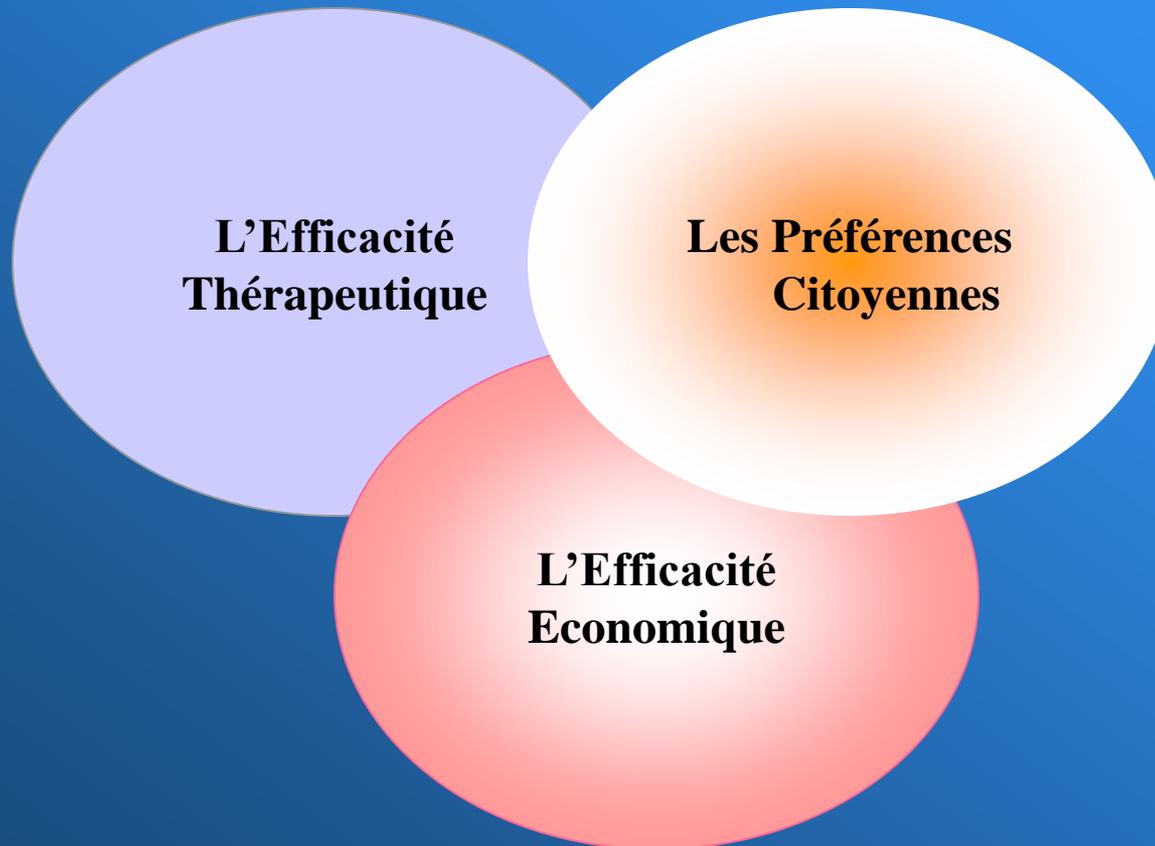
# Quels Sont les Tests à Utiliser en Première Intention

- Une faible proportion de patients engendre des coûts extrêmes → variable fortement asymétrique → tests spécifiques

Test	Avantages	Inconvénients
T de Student	Comparaison directe des moyennes / Robuste quand N grand	Hypothèse de normalité rarement vérifiée pour les coûts
U de Mann-Whitney	Test non paramétrique / Peu sensible aux valeurs extrêmes	Pas de comparaison directe des moyennes / Non robuste à l'hétérogénéité des variances
Transformation logarithmique	Robuste aux valeurs extrêmes / Estimateur efficace de la différence de coûts calculable	Pas de comparaison directe des moyennes / Non valide si la distribution des coûts n'est pas log-normale
Bootstrap non paramétrique	Comparaison directe des moyennes / Plus robuste que le T de Student	Distribution des coûts susceptible d'être dispersée sur chaque échantillon de bootstrap

# ASSOCIER PROBABILITES D'OCCURRENCE ET CONSEQUENCES

# Rassembler Tous les Eléments qui Participent à la Prise de Décision Politique



# Les Coûts [Base PMSI 2005]

	Hypothèse Basse	Hypothèse Haute
Accident Ischémique Transitoire	<b>G45</b> en Diagnostic Principal	
Hémorragie Cérébrale	<b>I61</b> en DP ou ( <b>G46</b> en DP et <b>I61</b> en DA) et (durée > 0 nuit) ou (DC ou transfert)	<b>I61</b> en DP ou ( <b>G46</b> en DP et <b>I61</b> en DA) ou ( <b>G81</b> en DP et <b>I61</b> en DA) et (durée > 0 nuit) ou (DC ou transfert)
Infarctus Cérébral	<b>I63</b> en DP ou ( <b>G46</b> en DP et <b>I63</b> en DA) et (durée > 0 nuit) ou (DC ou transfert)	<b>I63</b> en DP ou ( <b>G46</b> en DP et <b>I63</b> en DA) ou ( <b>G81</b> en DP et <b>I63</b> en DA) et (durée > 0 nuit) ou (DC ou transfert)
AVC indéterminé	<b>I64</b> en DP ou ( <b>G46</b> en DP et <b>I64</b> en DA) et (durée > 0 nuit) ou (DC ou transfert)	<b>I64</b> en DP ou ( <b>G46</b> en DP et <b>I64</b> en DA) ou ( <b>G81</b> en DP et <b>I64</b> en DA) et (durée > 0 nuit) ou (DC ou transfert)
Pathologies neuro vasculaires aiguës non compliquées d'AVC	<b>I67</b> en DP et (durée > 0 nuit) ou (DC ou transfert)	

**G/** Code « astérisque »; **I/** Code « dague »

# La Qualité de Vie [EQ5D]

- **Mobilité**

Je n'ai aucun problème pour me déplacer à pied

J'ai des problèmes pour me déplacer à pied

Je suis obligé(e) de rester alité(e)

- **Autonomie de la personne**

Je n'ai aucun problème pour prendre soin de moi

J'ai des problèmes pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e)

Je suis incapable de me laver ou de m'habiller tout(e) seul(e)

- **Activités courantes**

Je n'ai aucun problème pour accomplir mes occupations courantes

J'ai des problèmes pour accomplir mes occupations courantes

Je suis incapable d'accomplir mes occupations courantes

- **Douleurs / Gêne**

Je n'ai ni douleur, ni gêne

J'ai des douleurs ou une gêne modérée(s)

J'ai des douleurs ou une gêne extrême(s)

- **Anxiété / Dépression**

Je ne suis ni anxieux(se), ni déprimé(e)

Je suis modérément anxieux(se) ou déprimé(e)

Je suis extrêmement anxieux(se) ou déprimé(e)

# « Risque= Décision + Hasards+ Enjeux »

*E.Parent 2006*

TROIS ÉLÉMENTS CARACTÉRISENT LA NATURE DES CHOIX À OPÉRER EN SITUATION À RISQUE

1. **Les options thérapeutiques possibles**
2. **Les probabilité d'occurrence** des réponses et des effets indésirables **conditionnellement** au choix thérapeutique fait
3. **L'intensité des conséquences dommageables ou bénéfiques** (y compris les conséquences économiques) qui y sont associées. (*le risque est indissociable de l'intensité du dommage subit, celui ci peut être monétaire ou non*)

**L'ANALYSE DECISIONNELLE PROBABILISTE PERMET D' ASSOCIER INFERENCE STATISTIQUE ET PRISE DE DECISION EN AVENIR RISQUE**

# Réunir les Incertitudes dans de Grands Sacs d'Ignorance

- *Faire une typologie de ces sacs,*
- *définir leur forme à partir d'un petit nombre de paramètres*
- *simuler des tirages au hasard issus de ces lois*

# Incertitudes : Définition et Causes

- **Variabilité et Incertitude par essence**

VARIATION NATURELLE IRRÉDUCTIBLE

- Caractéristique intrinsèque du phénomène étudié produite par des effets non reproductibles : diversité et hétérogénéité intra ou inter groupe

- **Incertitude par ignorance due au manque d'information sur le phénomène étudié :**

INCERTITUDE RÉDUCTIBLE PAR APPORT DE DONNEES

- Pour extraire de l'information sur les données, il faut faire des hypothèses sur le système qui a généré les données. On choisit une distribution a priori des paramètres pour représenter la population
- Tout ce **qui est incertain est probabilisé** ; à la sortie on n'a pas un valeur mais une **distribution de valeurs**

# Mise en Œuvre Opérationnelle

- Coder *a priori* les incertitudes portant sur des grandeurs incertaines par des distributions de probabilité qui décrivent leur fréquence d'apparition anticipée (encodage du savoir)
- Pour une famille arrêtée de courbe, caractériser la valeur de ses paramètres théoriques non observables qui simule le mieux la réalité observée
- Tirer au sort chaque réalisation de la variable
- Évaluer le modèle avec les variables tirées au sort
- Sur un grand nombre de tirages, la moyenne des sorties du modèle approche leur espérance.

# Choix d'une Forme Fonctionnelle pour Représenter la Distribution de la Variable d'Intérêt

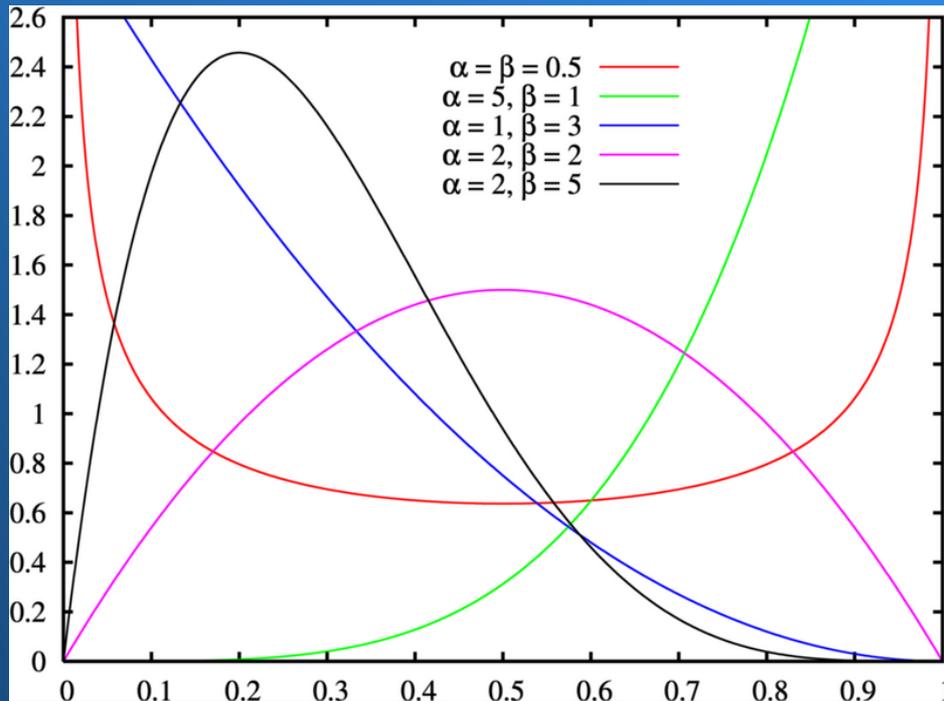
- Risques relatifs  $[1; \infty]$  : loi BETA OU GAMMA
- Probabilités  $[0; 1]$  : loi BETA
- Coûts  $[0; \infty]$  : loi GAMMA ou LOGNORMALE
- Utilité  $[-\infty; 1]$  : loi BETA OU GAMMA
- Valeurs inconnues : Loi UNIFORME non informative

# Loi Beta

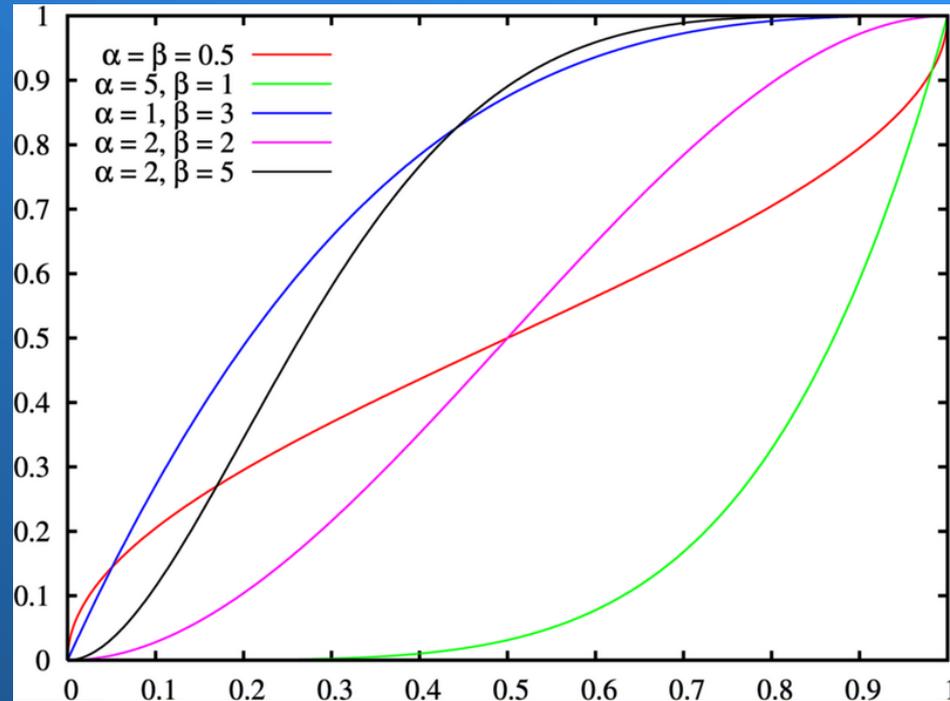
- Beta( $\alpha$  ;  $\beta$ )
- Continue sur  $[0 ; 1]$
- Forme :
  - $\alpha = \beta = 1$  : Unif( $0 ; 1$ ) ;  $\alpha = \beta$  : symétrique
  - $\alpha < 1, \beta < 1$  : Courbe en U
  - $\alpha = 1, \beta > 1$  : décroissante ;  $\alpha > 1, \beta = 1$  : croissante
- Utilité : Modélisation des proportions, probabilités et taux (bornée entre 0 et 1).
  - Une alternative est de transformer la probabilité en cote ( $p/(1-p)$ ) et travailler sur l'ensemble des réels positifs.

# Loi Beta

## Densité



## Fonction de Répartition



# Caractérisation des Paramètres du Modèle probabiliste Choisi pour Représenter La Population

- Beta( $\alpha$  ;  $\beta$ )
- Continue sur  $[0 ; 1]$
- Utilité : Modélisation des proportions, probabilités et taux (bornée entre 0 et 1).
- Méthode pragmatique de caractérisation  $p_1 = 18\%$ , estimé sur 903 patients
  - $\alpha =$  Nombre de « succès » = 161
  - $\beta =$  Nombre d'« échecs » = 742
  - $p_1 \sim \text{Beta}(161 ; 742)$
- On vérifie que  $E[X] = \alpha / (\alpha + \beta) = 18 \%$

# Finalité de la Démarche

- Mesurer l'incertitude relative à *l'ensemble* des variables d'efficacité et de tolérance ;
- Prendre en compte le fait que *certaines de ces valeurs* sont plus plausibles que d'autres ;
- Caractériser les sorties du modèle de la même manière que pour un modèle statistique (variance, intervalles de confiance...)

# Le Ratio Coût Efficacité Différenciel (RCE-D)

$$RCE_D = \frac{\mu_{CA} - \mu_{CB}}{\mu_{EA} - \mu_{EB}} = \frac{\mu_{\Delta C}}{\mu_{\Delta E}}$$

↑  
Inférer sur la valeur vraie (mais inobservable) du ratio RCE-D dans la population à partir de la valeur du ratio observé dans une simulation

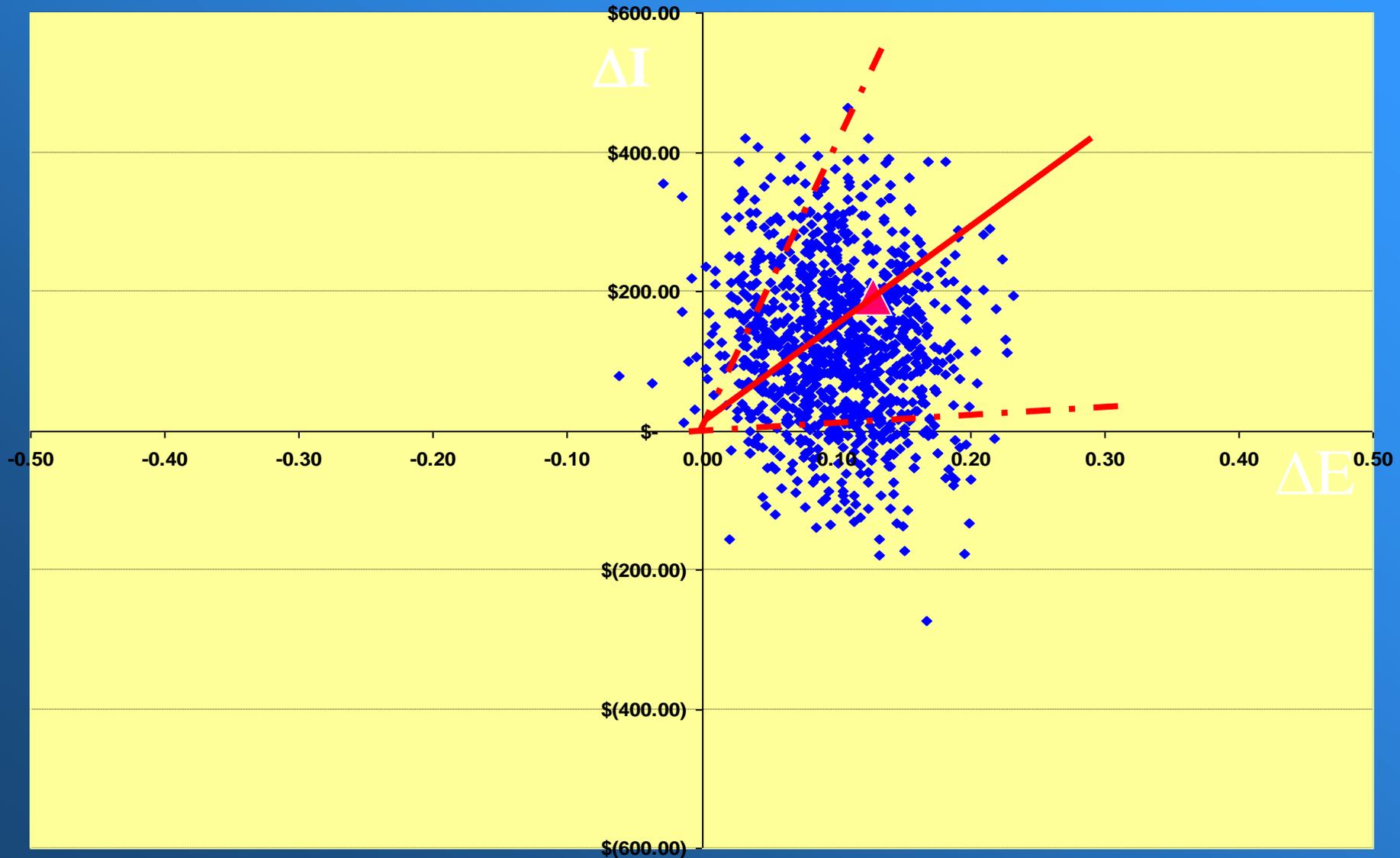
$$\hat{RCE}_D = \frac{\overline{BDF}_a - \overline{BDF}_b}{\overline{E}_a - \overline{E}_b} = \frac{\Delta BDF}{\Delta E}$$

# Mise en Oeuvre du Monte Carlo

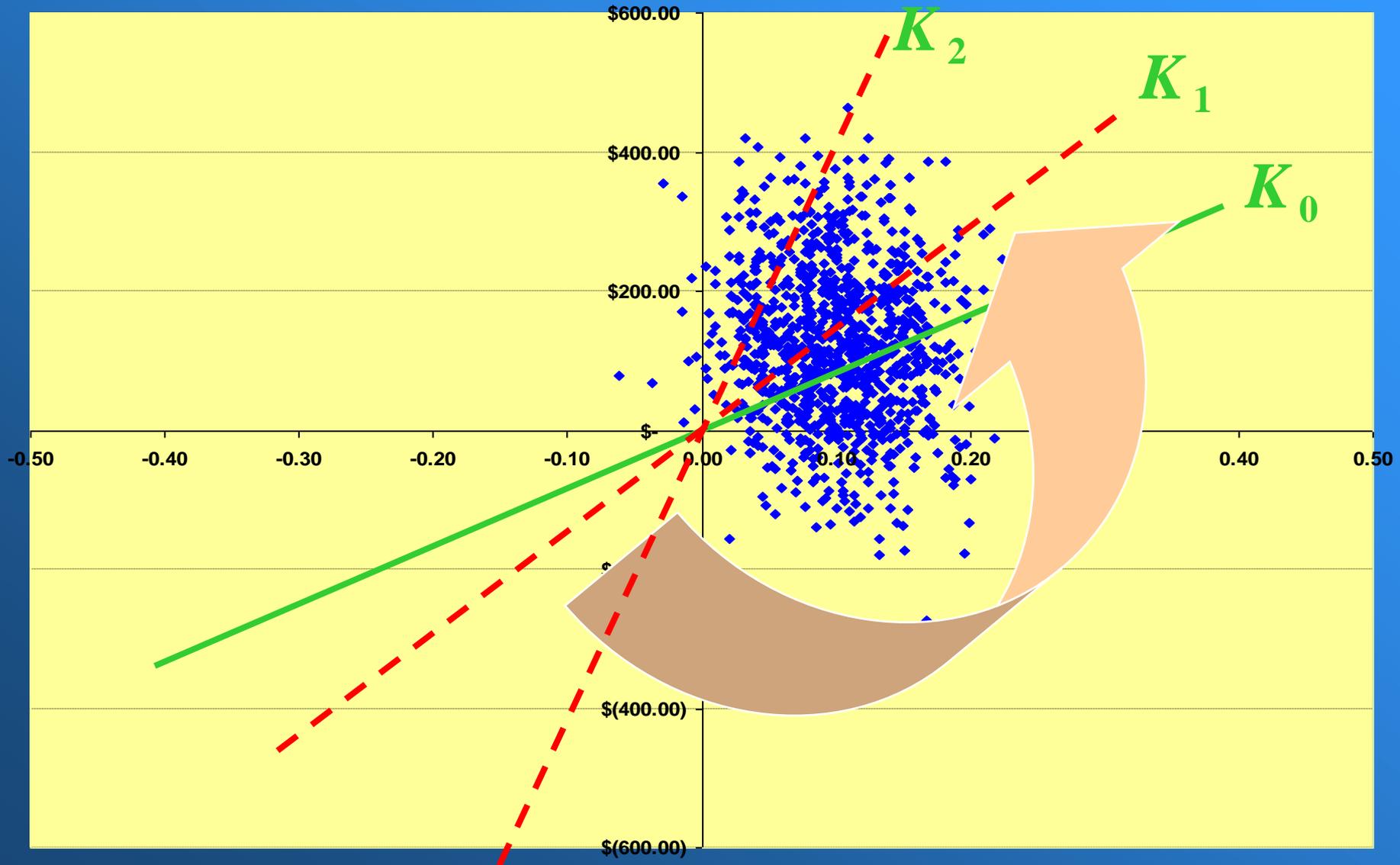
La technique du Monte Carlo est opérationnalisée en quatre étapes :

1. Tirage aléatoire à partir des distributions de probabilité d'une valeur pour chaque paramètre caractéristique du groupe contrôle et calcul du coût total moyen et de l'efficacité totale moyenne
2. Tirage aléatoire à partir des distributions de probabilité d'une valeur pour chaque paramètre caractéristique du groupe TTX innovant et calcul du coût total moyen et de l'efficacité totale moyenne correspondantes
3. Calcul par différence du ratio coût efficacité différentiel entre les deux échantillons
4. Répétition de l'opération B fois pour obtenir une estimation de la distribution du RCED dans le plan ACE

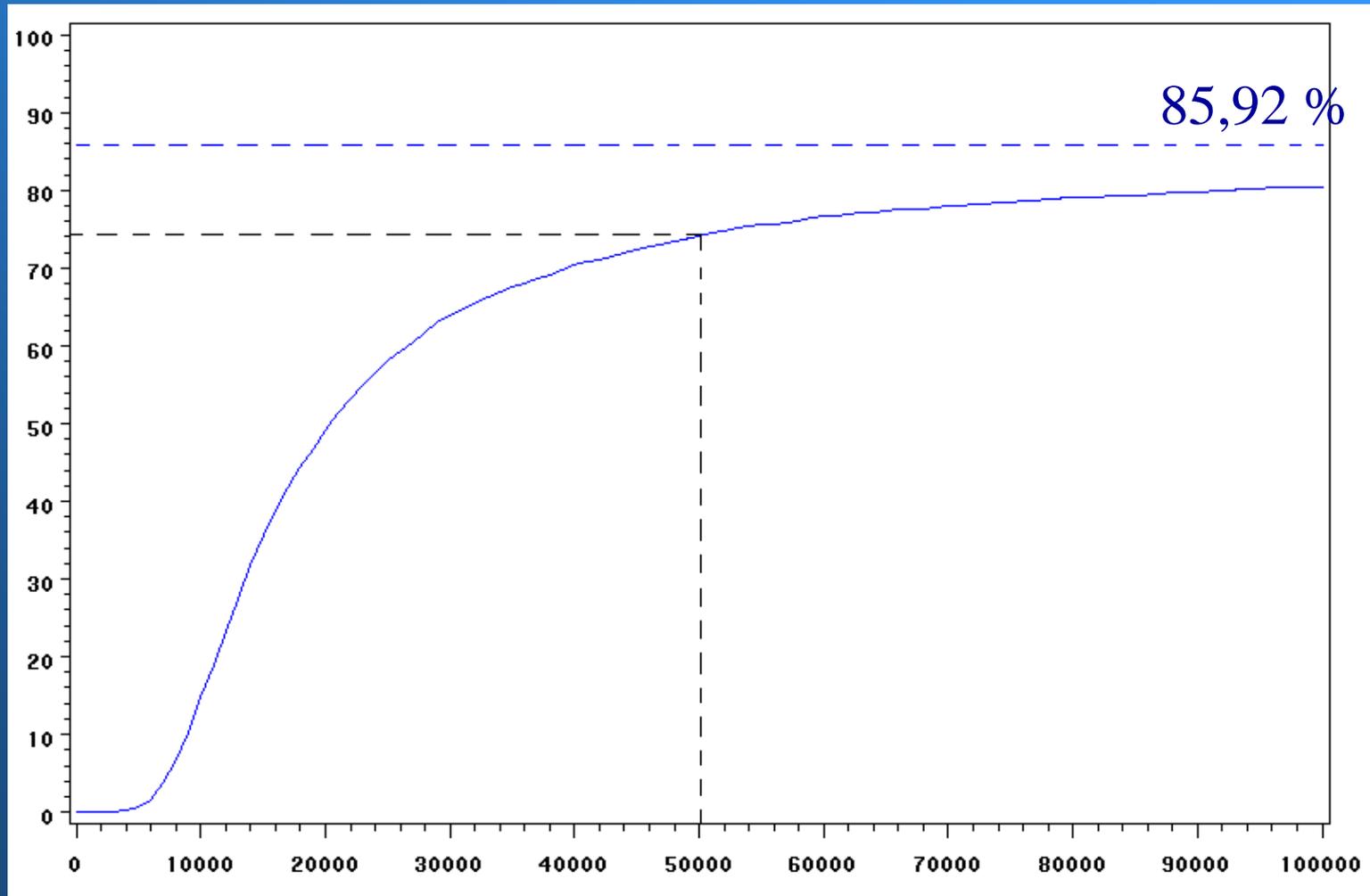
# IC<sub>95%</sub> : Conserver 95 % des Points du Tirage



# Proportion de Tirages Coût/Efficace pour la Disposition à Payer $K_0, K_1, K_2$



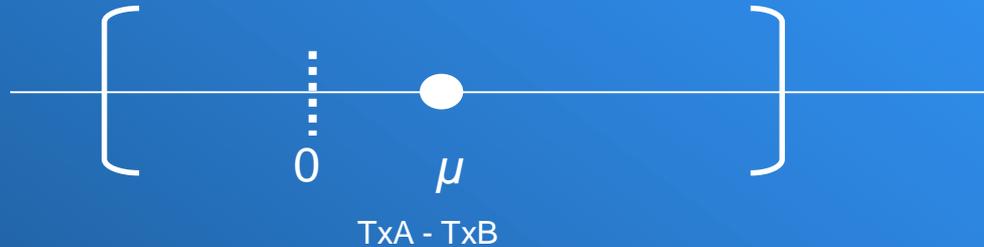
# Probabilité de Faire le Bon Choix en Termes d'Efficiency Collective



Probabilité que le nouveau traitement soit efficient ( en pourcentage)

Disposition à payer par année de vie gagnée (en €<sub>2004</sub>)

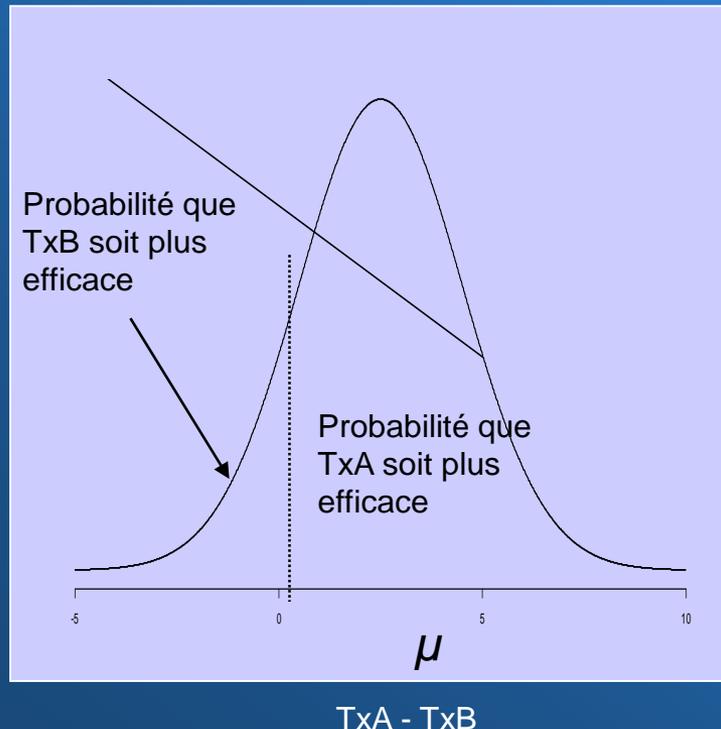
# Règle Décisionnelle Bayésienne



Conclusion Fréquentiste :

Estimateur ponctuel (avec IC à 95 %)

« Pas de différence significative entre TxA et TxB »



« 75 % de chance que le TxA soit plus efficace que le traitement TxB »

Conclusion Bayésienne :

Estimation par une distribution de Probabilité

# Avantages de la Modélisation

*Elle permet :*

- De **structurer** l'information dans un cadre de référence unique
- De considérer **simultanément** les bénéfices, les risques et les coûts
- D'estimer, non plus de manière intuitive, mais **quantitativement** la fréquence de survenue des événements évolutifs
- De **reconstituer les trajectoires** de prise en charge et de chaîner les coûts
- D'isoler les variables-clés

# Avantages de la Modélisation

(suite)

- De synthétiser des critères de jugement cliniques hétérogènes à l'aide d'un Indicateur de résultats unique
- De réintroduire les préférences des patients ou des citoyens dans les choix individuels et collectifs
- D'extrapoler les résultats à d'autres populations ou à d'autres pratiques
- D'intégrer systématiquement dans l'analyse *L'incertitude* qui entoure la prise de décision à un moment donné du temps,

# CONCLUSIONS

- *Exiger des moyens sur la base de données épidémiologiques ou de faits scientifiquement démontrés ne suffit plus.*
- *L'analyse économique est au cœur du dialogue entre une administration qui travaille et des sociétés savantes désormais en concurrence les une avec les autres :*
- Une nouvelle conception de nos *devoirs* se forge :

*« DONNER LE MEILLEUR PAR EURO INVESTI »*