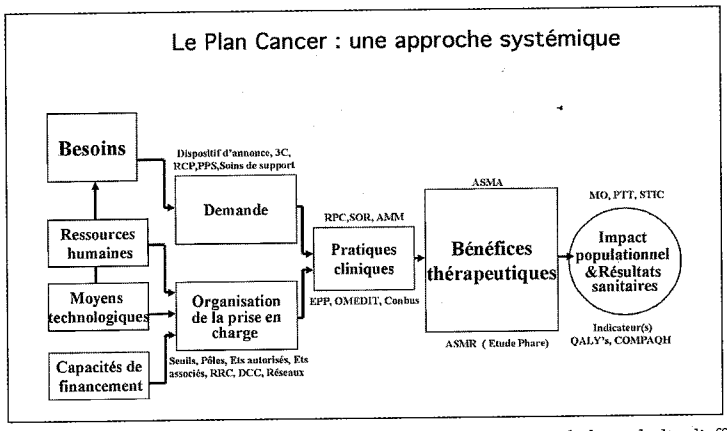

HAS (ALD), l'AFSSAP (médicament) et la FLNCC (programme SOR). Afin d'évaluer la mise en œuvre de ces recommandations, des référentiels d'évaluation des pratiques professionnelles ont été constitués (RCP). Le référentiel définit des objectifs et des exigences de qualité déclinés en critères d'évaluation. Ces critères sont concrets, observables et peu nombreux. L'outil permet d'évaluer les pratiques professionnelles, qu'il s'agisse de pratique libérale ou en établissement de santé, de médecins ou de professionnels paramédicaux. C'est notamment le cas du suivi des molécules innovantes facturé en sus du GHS. Neuf référentiels de bon usage ont été établis ou le seront dans les mois à venir et 22 observatoires des médicaments, des dispositifs médicaux et des innovations thérapeutiques (OMEDIT) ont déjà été mis en place au niveau régional ou interrégional pour en assurer le suivi. Les sanctions prévues par les contrats de bon usage (Conbus) des molécules onéreuses ou des dispositifs médicaux pourront donc être appliquées si les engagements pris ne sont pas respectés

Evalution du bénéfice thérapeutique

En ce qui concerne l'évaluation et la réévaluation du bénéfice thérapeutique du médicaments, des produits et des actes les méthodes sont plus rigoureuses. La preuve de l'efficacité repose essentiellement sur l'expérimentation. Pour les médicaments, des essais randomisés, dits de phase IIIa, visant à démontrer l'efficacité de la nouvelle molécule contre placebo ou traitement de référence, sont conduits dans 100 % des cas pour l'autorisation de mise sur le marché. L'expérimentation aboutit alors à démontrer l'efficacité et la tolérance "maximales", dans les conditions idéales et à optimiser ainsi le bénéfice attendu du traitement dans les indications les plus favorables. Pour l'admission au remboursement, le produit doit prouver, par comparaison à des traitements de référence actifs, soit une Amélioration du Service Médical Attendu (ASMA) lorsqu'il s'agit d'un médicament, soit une Amélioration du Service Attendu (ASA) lorsqu'il s'agit d'un produit de santé Cinq critères président à cette évaluation : la sévérité de la maladie, l'efficacité, la tolérance, la place dans la stratégie thérapeutique et l'intérêt de santé publique. On cherche alors à se placer dans des conditions aussi "naturelles" que possible, telle est l'approche des essais dits de phase IIIb, peu protocolés et reposant sur une approche multicritères. Après mise sur le marché et fixation du prix, il s'agit de vérifier que les promesses sont bien au rendez-vous, en constatant en pratique médicale quotidienne l'amélioration du service effectivement rendu (ASMR). La distinction entre ces deux stades des procédures de la commission de la transparence correspond bien à la distinction anglo-saxonne entre *efficacy* et *effectiveness*. La première appellation recouvre l'efficacité et la tolérance théorique, mesurées dans les essais IIIa. La seconde désigne la valeur thérapeutique ajoutée en condition normale d'usage par rapport à un traitement actif de référence et relève des essais de phase IIIb dits "naturalistiques" ou des études quasi expérimentales avec comparateurs.

Evalution de l'impact populationnel

Enfin l'impact populationnel doit être pris en compte. En termes de bénéfice absolu et au niveau individuel, un traitement peut-être deux fois plus efficace qu'un autre. Toutefois, lorsque le raisonnement est conduit au niveau de la population toute entière, les conclusions du raisonnement s'inversent, bien que le même critère de jugement soit utilisé, du fait du poids respectif des populations cibles éligibles et effectivement rejointes. Le concept de qualité de vie devrait permettre a priori d'évaluer l'état général de la population, encore faudrait-il s'entendre sur son contenu. S'agit-il d'échelles ordinales multidimensionnelles ou d'une valeur cardinale synthétique sur les années de vie ajustée sur la qualité : les fameux "QALY" ? Dans le cas d'un indicateur multidimentionnel de qualité de vie, la tentation de dégager un score global pour pouvoir trancher face à des résultats contrastés est grande, mais il est clair qu'un tel score repose sur des procédés statistiques ou des conventions qui ne reflètent pas véritablement les préférences individuelles. Pour aller au-delà de la simple description par le malade de la nature et de l'intensité de ses plaintes, il faut obtenir un jugement d'ensemble : soit du patient lui-même, qui exprimera son jugement global sur l'expérience qu'il vit, à l'aide d'une mesure du type utilité-préférences (échelles visuelles analogiques, temps psychologiquement équivalents ou jeux de hasard idéalisés), soit d'un public de bien-portants, consommateurs potentiels, qui fixera la désirabilité relative des situations auxquelles il peut un jour être confronté.

La finalité des deux outils est d'ailleurs différente : l'outil multidimensionnel permet au praticien un suivi en temps réel de l'impact du traitement. Si ce produit est une innovation, auquel un prix élevé a été accordé, la prise de conscience des multiples dimensions en fonction desquelles l'état du malade s'améliore justifiera aux yeux des praticiens le coût élevé de leurs prescriptions. On est dans une démarche strictement marketing : prescrire plus pour augmenter la qualité de la vie. La mesure utilité-préférences QALY's révèle quel pourrait être le véritable choix du patient-consommateur, toutes dimensions confondues, prédictives des attitudes du public.

Conclusion

L'évaluation économique des stratégies thérapeutiques est appelée à connaître un développement considérable et ce quelle que soit l'évolution ultérieure du système de protection sociale, puisqu'elle apporte des éléments chiffrés sur lesquels les différents partenaires du système de santé peuvent fonder leur décision. Ces techniques évaluatives offrent aux professionnels de santé, dans un système de prix administré, les moyens de justifier les tarifs qu'ils demandent, en apportant aux Commissions administrative la preuve de la valeur du service médical rendu. S'il existe une chance de prouver l'inanité du système de contrôle des prix, elle passe par la démonstration systématique du bien-fondé des demandes des acteurs. ■

1 - La situation du cancer en France en 2007. Institut National du Cancer. Paris 2008