



**CMU, GENÈVE  
27-29 AOÛT 2018**

## ***Big data : les faits ne sont pas des preuves***

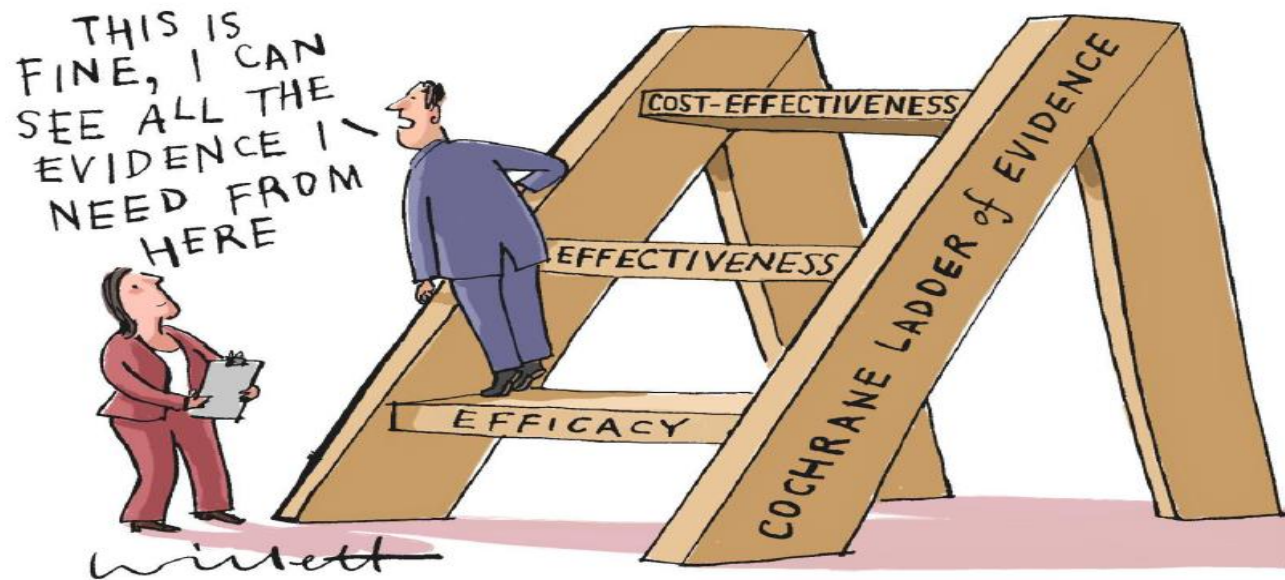
*Pr Robert Launois  
Réseau d'Evaluation en Economie de la Santé*

***La santé malade  
de ses coûts ?***

***Les systèmes, les réseaux  
et les établissements  
en quête de performance”***

# D'OÙ JE SUIS, JE SAIS TOUT, JE VOIS TOUT !

## Is there an efficacy-effectiveness gap?



# LES LIMITES DES ESSAIS RANDOMISÉS

## **Trop étriqués dans leurs effectifs**

Approx. 2000 patients par essai

## **Trop rigoristes dans leurs protocoles**

Pas ou peu de comorbidités

Pas de polymédication

## **Trop sélectifs dans leurs populations**

Pas de jeunes ou de vieux

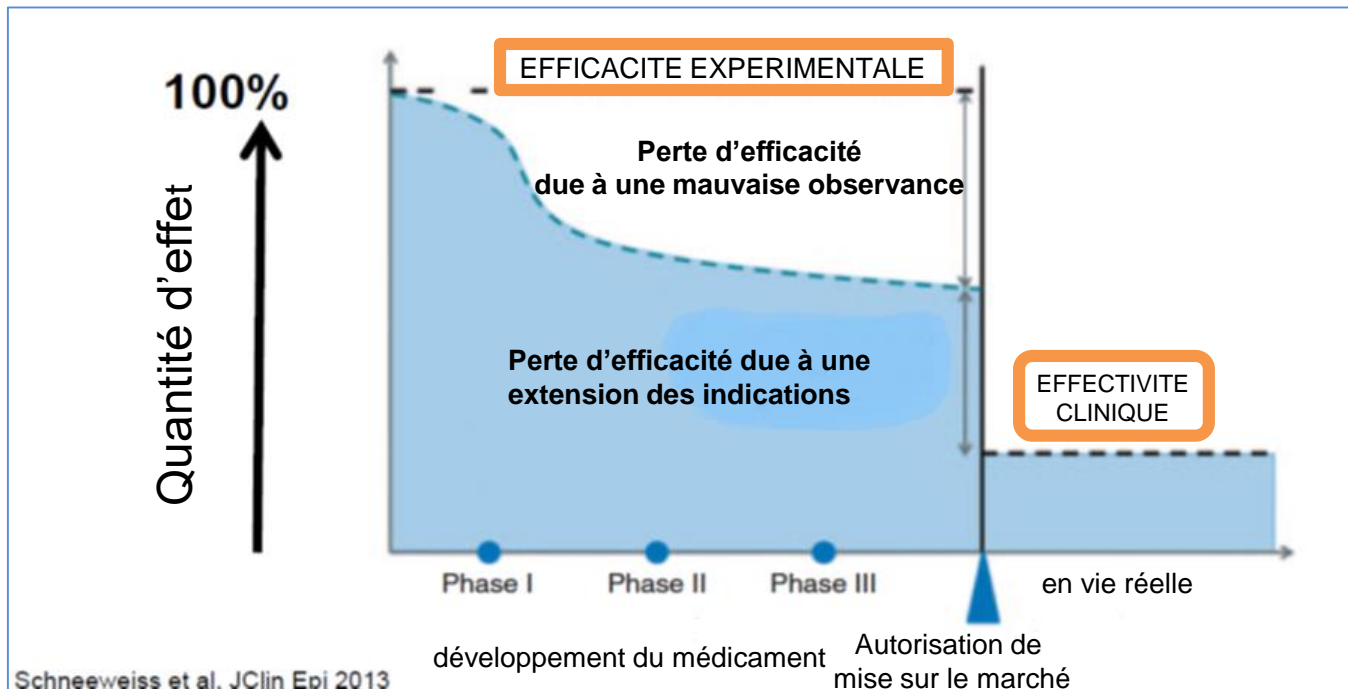
Pas de femmes

## **Trop restrictifs dans leurs indications**

Indications très étroites

## **Trop bref dans leurs durées**

# LES ORIGINES DU FOSSÉ ENTRE L'EFFICACITE IN VITRO ET L'EFFICACITE SUR LE TERRAIN

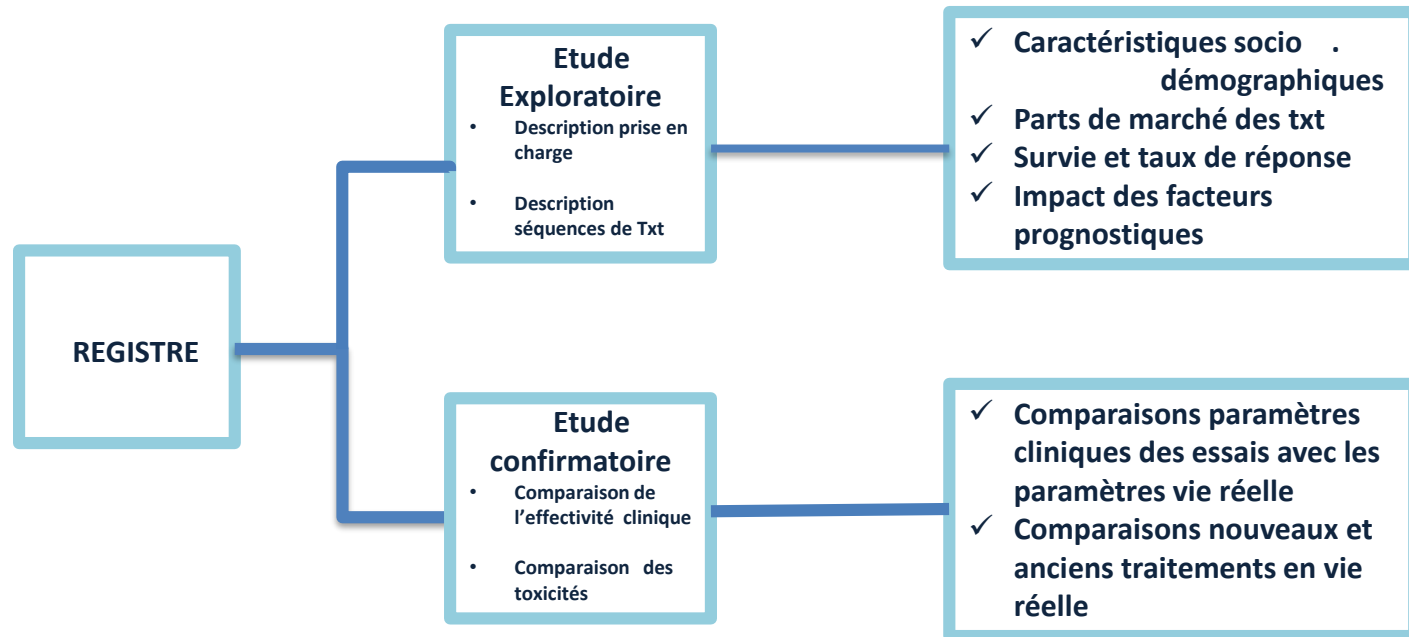


# VIE RÉELLE... DE QUOI PARLE -T-ON?

## TROIS DOMAINES DE DÉFINITION POSSIBLES

- **Données collectées en dehors d'un essai contrôlé randomisé de PHASE 3**
- **Données d'études non interventionnelles , non comparatives**
- **Données d'études rétrospectives non interventionnelles, comparatives**
  - ss aucune intervention # SOC ;
  - ss QDV, ss cm ressources
  - = BDMA

# ETUDE DESCRIPTIVE vs ETUDE COMPARATIVE



# **DES PLANS D'ANALYSE DIFFERENTS SELON LES CAS**

## **Etude exploratoire : étude non interventionnelle, non comparative**

- Pas d'hypothèse sur l'efficacité du traitement et sur sa taille;
- Etudie au mieux l'association : exposition et événement;
- Protocole modifiable en cours d'étude

## **Etude comparative : essai pragmatique ; dossier médical partagé, BDMA**

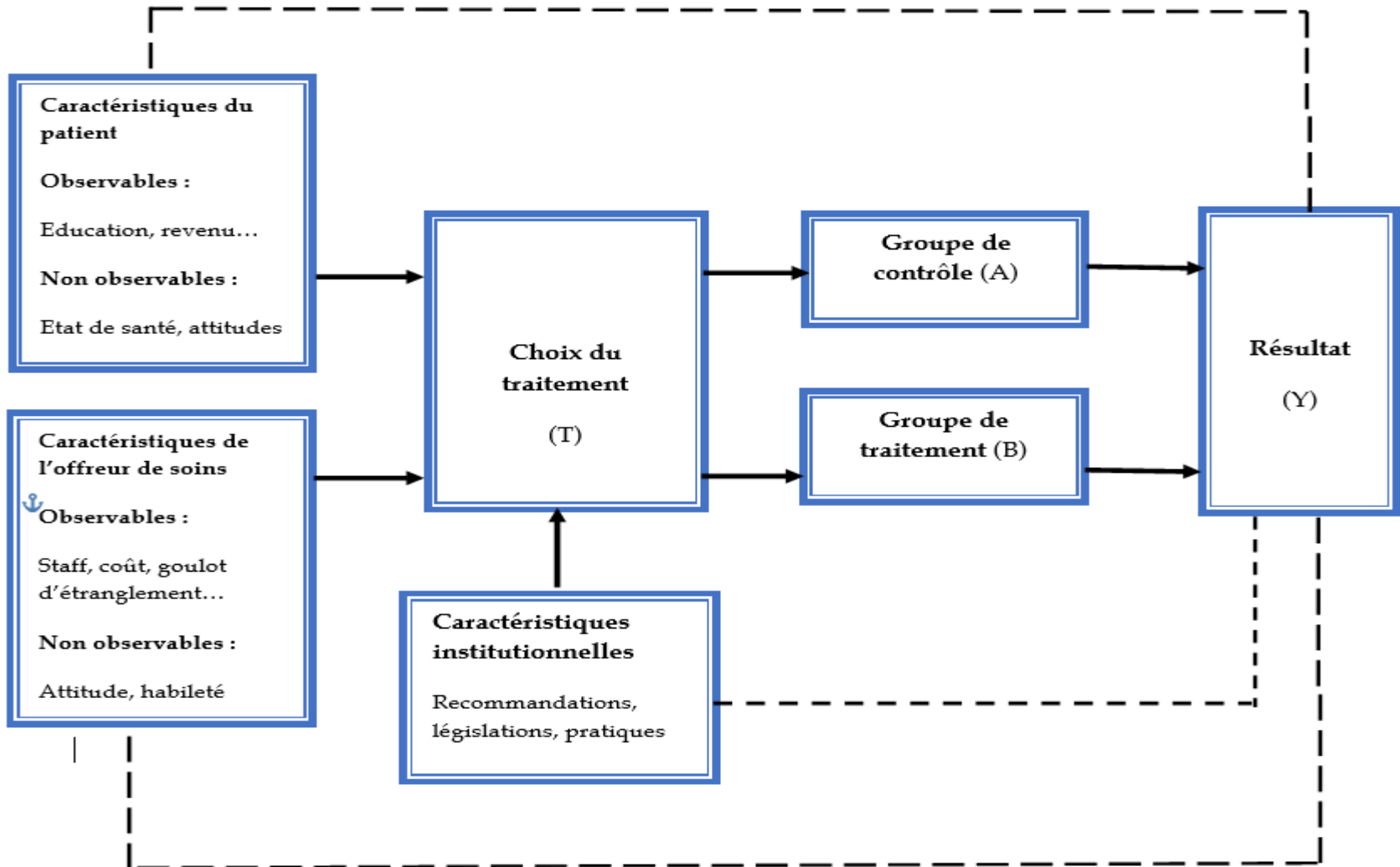
- Choix d'une hypothèse à tester sur un critère de jugement
- Mise en œuvre d'un modèle d'exposition et d'un modèle d'effet;
- Recommandations en fonction du résultat.

# ***ATTENTION : BIAIS, BIAIS, BIAIS***

- Les faits ne sont pas des preuves;
- Les performances ne sont pas des résultats,
- Les études de suivi et de surveillance ne sont pas des évaluations;
- Les corrélations n'indiquent pas des relations de cause à effet;
- Big data are not smart data;
- Real world data are not real world evidence



# IMPACT DES VARIABLES NON OBSERVABLES SUR LE CHOIX DU TRAITEMENT ET SUR LES RÉSULTATS



# TECHNIQUES ECONOMETRIQUES D'EXPLOITATION DES DONNEES EN VIE REELLE

## Facteurs de confusion

### Observables

### Non observables

#### Echantillon

#### Plan d'analyse

Non observables  
mais  
mesurables  
sur critères de  
substitution  
  
BDMA

Non observable et Non  
mesurable

#### Echantillon

#### Plan d'analyse

- Critères stricts inclusions
- Appariements
- Différence de différences
- Régression sur discontinuités
- Régressions multiples
- Stratifications

▪ Score de propension

- Données administratives
- Données enquêtes
- Variables instrumentales
- Analyses de sensibilité

# Les Recommandations de l'ISPOR de 2017

Received: 21 July 2017 | Revised: 26 July 2017 | Accepted: 28 July 2017  
DOI: 10.1002/pds.4297

ORIGINAL REPORT

WILEY

**Good practices for real-world data studies of treatment and/or comparative effectiveness: Recommendations from the joint ISPOR-ISPE Special Task Force on real-world evidence in health care decision making**

Marc L. Berger<sup>1</sup> | Harold Sox<sup>2</sup> | Richard J. Willke<sup>3</sup> | Diana L. Brixner<sup>4</sup> | Hans-Georg Eichler<sup>5</sup> | Wim Goettsch<sup>6</sup> | David Madigan<sup>7</sup> | Amr Makady<sup>6</sup> | Sebastian Schneeweiss<sup>8</sup> | Rosanna Tarricone<sup>9</sup> | Shirley V. Wang<sup>8</sup> | John Watkins<sup>10</sup> | C. Daniel Mullins<sup>11</sup>

ORIGINAL REPORT

WILEY

**Reporting to Improve Reproducibility and Facilitate Validity Assessment for Healthcare Database Studies V1.0**

Shirley V. Wang<sup>1,2</sup> | Sebastian Schneeweiss<sup>1,2</sup> | Marc L. Berger<sup>3</sup> | Jeffrey Brown<sup>4</sup> | Frank de Vries<sup>5</sup> | Ian Douglas<sup>6</sup> | Joshua J. Gagne<sup>1,2</sup> | Rosa Gini<sup>7</sup> | Olaf Klungel<sup>8</sup> | C. Daniel Mullins<sup>9</sup> | Michael D. Nguyen<sup>10</sup> | Jeremy A. Rassen<sup>11</sup> | Liam Smeeth<sup>6</sup> | Miriam Sturkenboom<sup>12</sup> |  
on behalf of the joint ISPE-ISPOR Special Task Force on Real World Evidence in Health Care Decision Making