

SOCIÉTÉ FRANÇAISE D'ÉCONOMIE DE LA SANTÉ
Big Data : Les Faits Sont Pas des Preuves
Paris 20 Juin 2018

« LES ENJEUX »

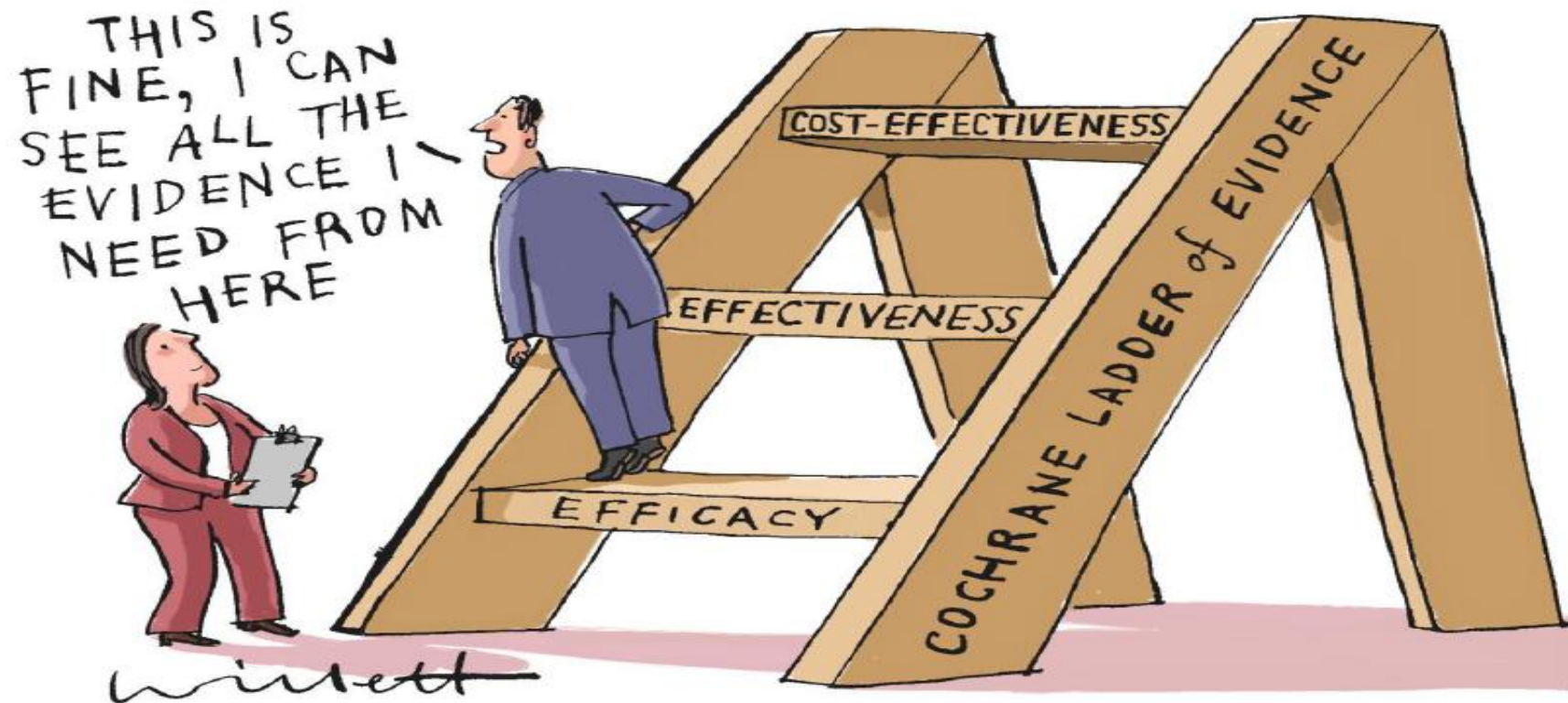
Pr Launois

28, rue d'Assas
75006 Paris – France
Tel. 01 44 39 16 90 – Fax 01 44 39 16 92
E-mail : launois.reesfrance@wanadoo.fr – Web : www.rees-france.com



D'où je suis, je sais tout !

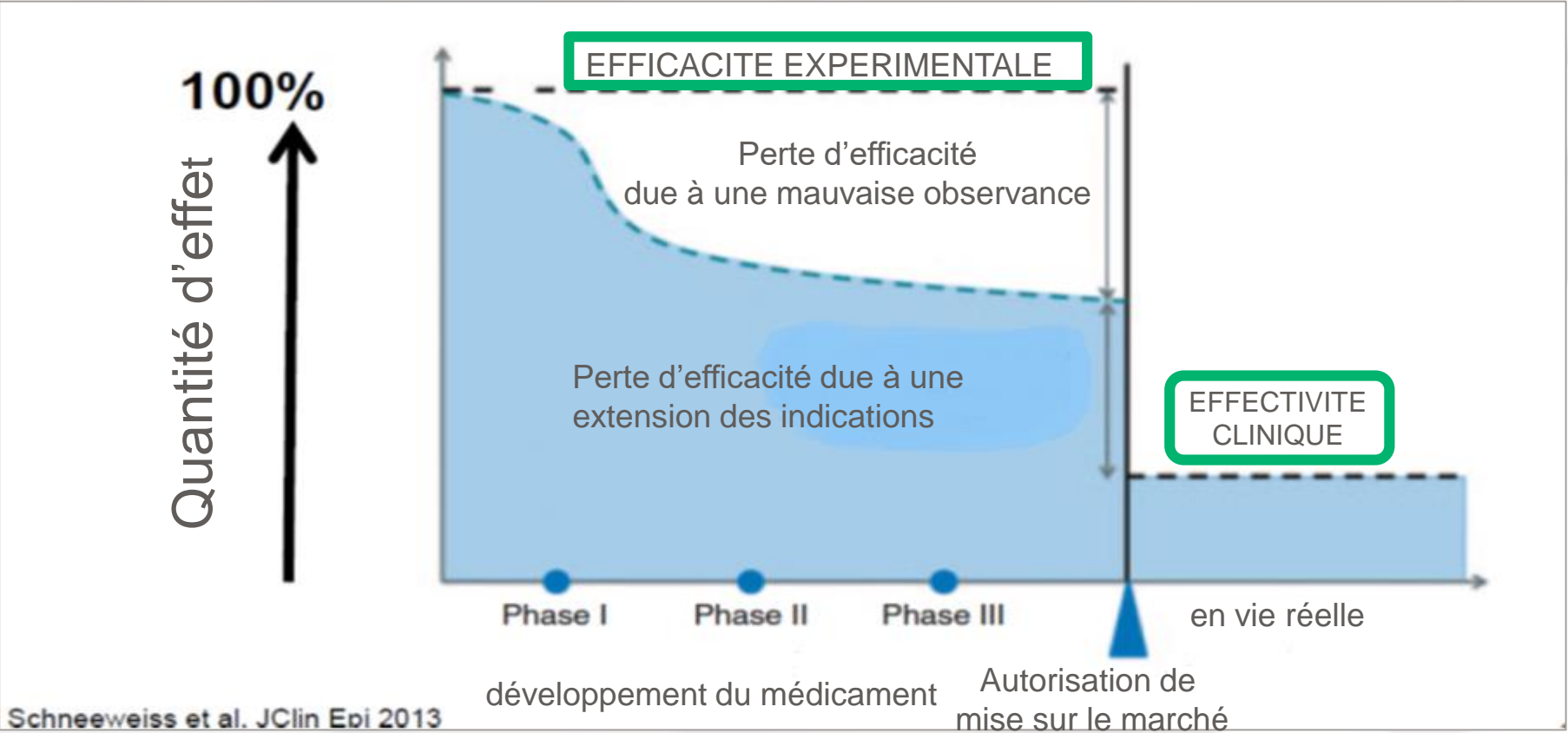
Is there an efficacy-effectiveness gap?



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**

Efficacité Expérimentale vs Effectivité Clinique



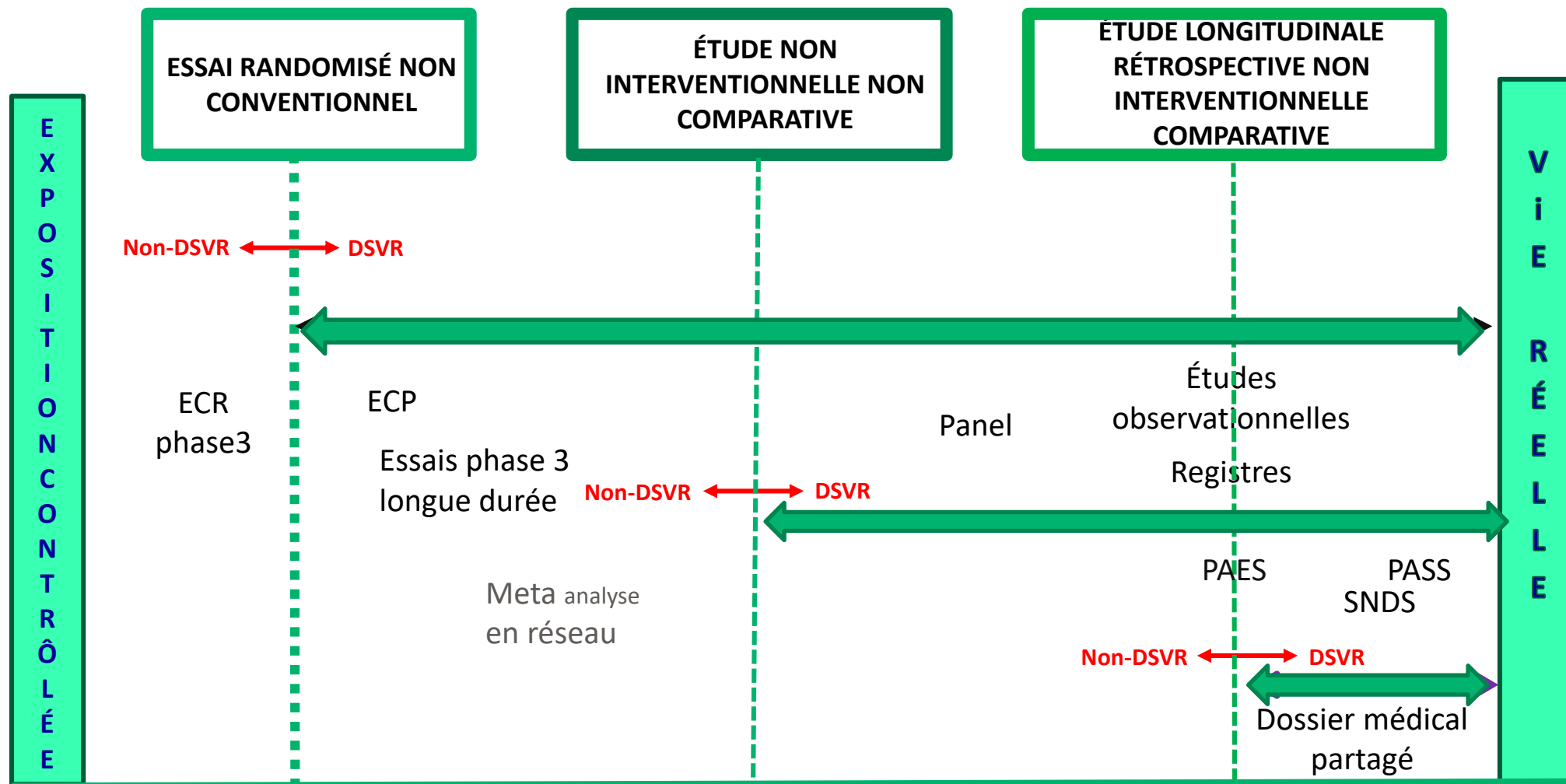
Schneeweiss et al. J Clin Epi 2013

Les vecteurs de collecte des données en vie réelle

5

- ❖ **Essais randomisés pragmatiques ou phase 3 de longue durée**
 - Cout important, nombre de sujets nécessaires élevés, prend beaucoup de temps
- ❖ **Etudes observationnelles**
 - Risques de biais de sélection
- ❖ **Etudes épidémiologiques**
 - Etudes longues, données manquantes
- ❖ **Base de données médico administratives**
 - Peu d'informations cliniques
- ❖ **Dossier médical partagé**
 - Données manquantes
- ❖ **Objets connectés**

Les schémas d'études possibles en vie réelle



DSVR : données de santé vie réelle; ECR: essais contrôlés randomisés Phase III; ECP : essais contrôlés pragmatiques ; PAES Post autorisation efficacy studies ; SNDS : système national des données de santé; PASS :post autorisation safety studies. Makaty Value in Health 2017

3 façons différentes d'appréhender la vraie vie

7

En collectant les données

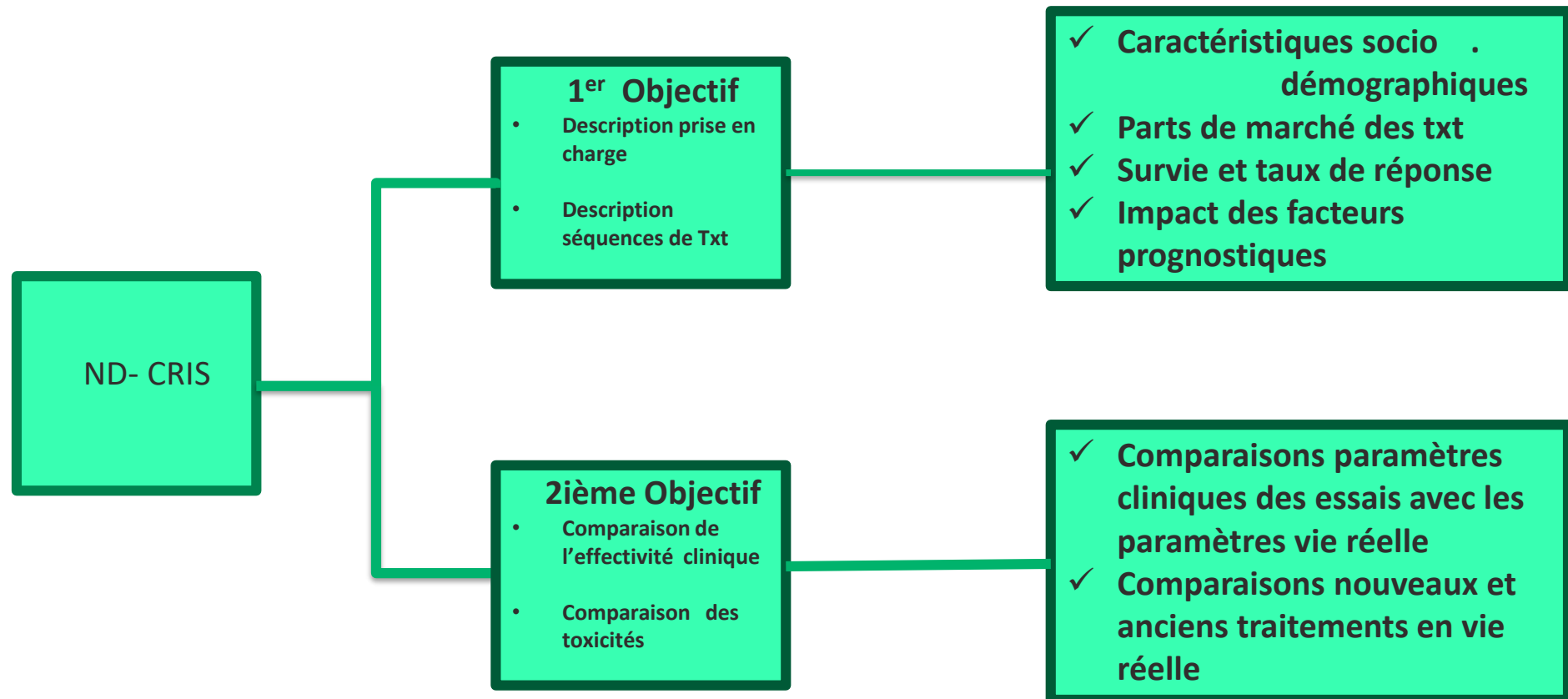
- ❖ **en dehors d'un essai randomisé conventionnel de phase III**
- ❖ **dans le cadre d'une étude non interventionnelle, non comparative**
- ❖ **dans le cadre d'une étude longitudinale rétrospective , non interventionnelle, comparative (comportant des groupes de comparaison)**
 - dans laquelle aucune intervention n'est mise en œuvre autre que celle requise par la prise en charge habituelle en pratique médicale quotidienne (BDMA, dossier médical partagé)
 - dans laquelle aucune procédure (acte, diagnostique ou txt) ou information supplémentaire (qualité de vie, consommation de ressources) n'est collectée

Des plans d'analyse statistique très différents selon les cas

- ❖ **Etude exploratoire : étude non interventionnelle, non comparative**
 - Pas d'hypothèse sur l'efficacité du traitement et son ampleur;
 - Se borne à étudier l'association entre l'exposition et la survenue d'un évènement;
 - Protocole modifiable en cours d'étude pour explorer de nouvelles hypothèses.

- ❖ **Etude comparative interventionnelle ou non : essai pragmatique ; dossier médical partagé, BDMA**
 - Choix d'une hypothèse à tester sur un critère de jugement principal;
 - Mise en œuvre d'un modèle d'exposition et d'un modèle d'effet dans le cas des BDMA;
 - Recommandations en fonction du résultat.

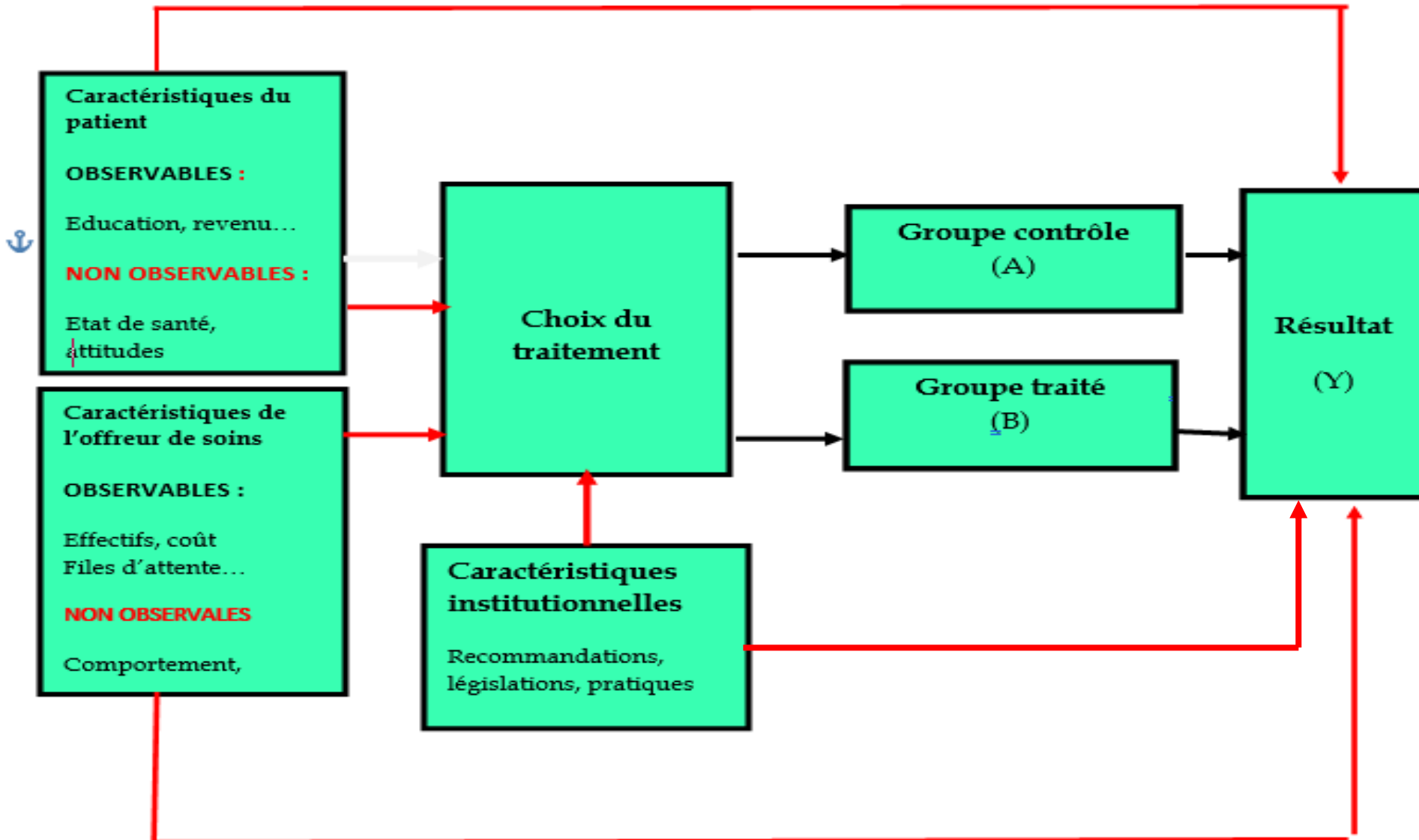
Etude descriptive vs Etude comparative



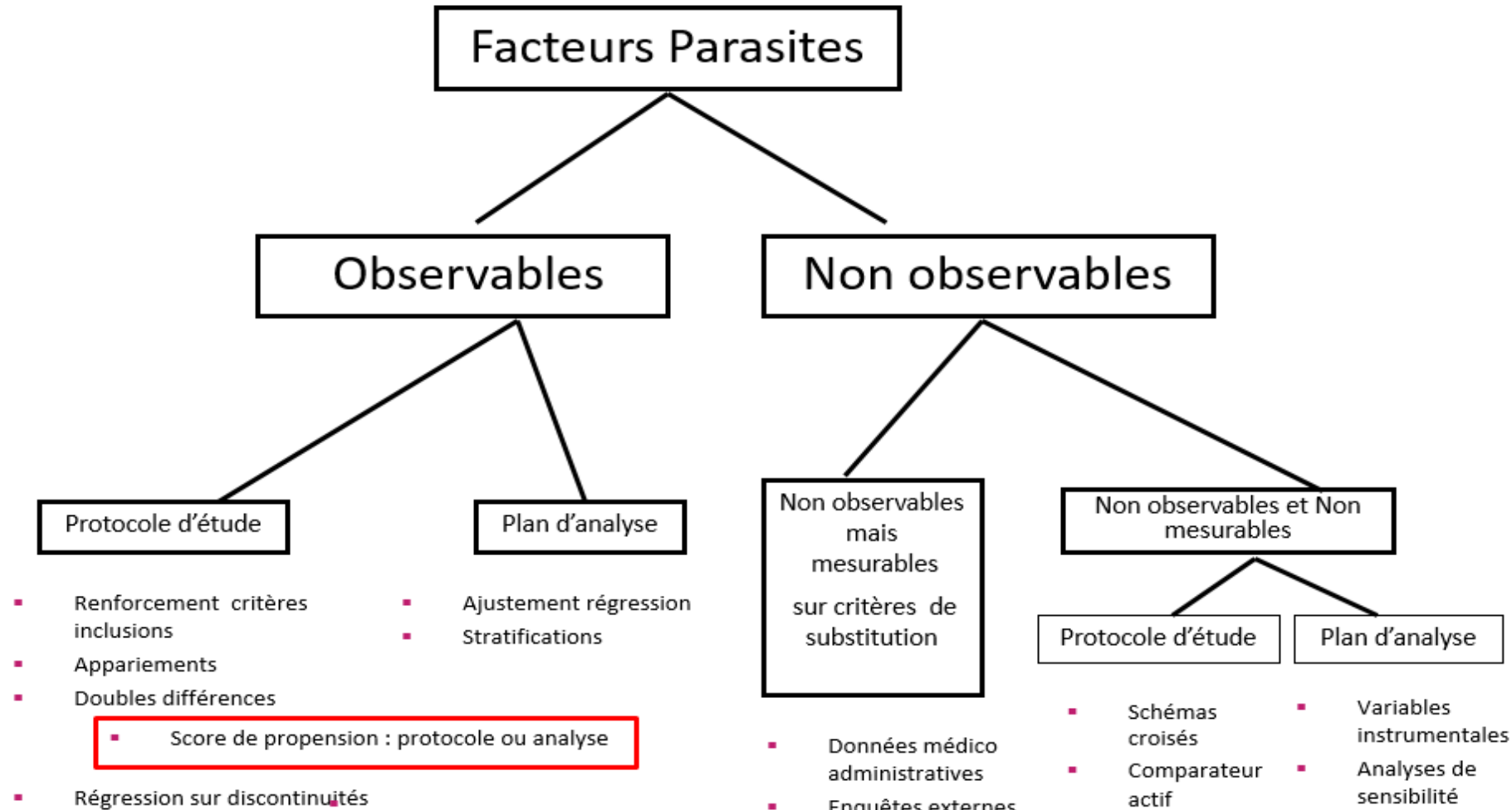
ATTENTION BIAIS ! BIAIS! BIAIS !

- ❖ 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 économétriques d'exploitation du SNDS



La prolifération des publications

Comparative Effectiveness:
Recommendations from the Joint
ISPOR-ISPE Special Task Force on
Real-World Evidence in Health Care
Decision Making

Value Health. 2017 Sep;20(8):1003-1008. doi: 10.1016/j.jval.2017.08.3019.

**Policies for Use of Real-World Data in
Health Technology Assessment (HTA):
A Comparative Study of Six HTA Agencies**

Value Health. 2017 Apr;20(4):520-532. doi: 10.1016/j.jval.2016.12.003.

**How Real-World Data Compensate for
Scarce Evidence in HTA**

Z Evid Fortbild Qual Gesundhwes. 2016;112 Suppl 1:S23-6. doi: 10.1016/j.zefq.2016.04.012.

**Network Meta-Analysis Incorporating
Randomized Controlled Trials and
Non-Randomized Comparative Cohort
Studies for Assessing the Safety and
Effectiveness of Medical Treatments:
Challenges and Opportunities**

Syst Rev. 2015 Nov 5;4:147. doi: 10.1186/s13643-015-0133-0.

**Quality Standards for
Real-World Research**
Focus on Observational Database
Studies of Comparative Effectiveness

Ann Am Thorac Soc. 2014 Feb;11 Suppl 2:S99-104. doi: 10.1513/AnnalsATS.201309-300RM.

**Real World Evidence:
A New Era for Health Care Innovation
Network for Excellence in Health Innovation**

(NEHI). 2015 Sept. Available at: <https://www.nehi.net/publications/66-real-world-evidence-a-new-era-for-health-care-innovation/view>. Accessed March 21, 2018.

Les Recommandations de l'ISPOR de 2017

14

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

WILEY

ORIGINAL REPORT

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. Berger¹ | Harold Sox² | Richard J. Willke³ | Diana L. Brixner⁴ |
Hans-Georg Eichler⁵ | Wim Goettsch⁶ | David Madigan⁷ | Amr Makady⁶ |
Sebastian Schneeweiss⁸ | Rosanna Tarricone⁹ | Shirley V. Wang⁸ | John Watkins¹⁰ |
C. Daniel Mullins¹¹

WILEY

ORIGINAL REPORT

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

Shirley V. Wang^{1,2} | Sebastian Schneeweiss^{1,2} | Marc L. Berger³ | Jeffrey Brown⁴ |
Frank de Vries⁵ | Ian Douglas⁶ | Joshua J. Gagne^{1,2} | Rosa Gini⁷ | Olaf Klungel⁸ |
C. Daniel Mullins⁹ | Michael D. Nguyen¹⁰ | Jeremy A. Rassen¹¹ | Liam Smeeth⁶ |
Miriam Sturkenboom¹² |
on behalf of the joint ISPE-ISPOR Special Task Force on Real World Evidence in Health Care
Decision Making

- » **Adresse:** REES France
28, rue d'Assas
75006 Paris, France
- » **Téléphone:** +33 (0)1 44 39 16 90
- » **Email:** launois.reesfrance@wanadoo.fr
- » **Web:** www.rees-france.com