

UNIVERSITE RENE DESCARTES PARIS V

Faculté de Pharmacie Mastère Sciences de la Vie et de la Santé – Droit, Économie et Marketing des Industries de Santé – Année universitaire 2012-2013



L'Evaluation Médico-Economique LES METRIQUES

Pr. Robert LAUNOIS

REES Réseau d'Evaluation en Economie de la Santé

28, rue d'Assas 75006 Paris – France

Tel . 01 44 39 16 90 - Fax 01 44 39 16 92

E-mail: reesfrance@wanadoo.fr - Web: www.rees-france.com

Plan du Cours

LES DESIGNS

- > Pour la CT...
- > Pour le CEPS...
- > Pour la HAS...

LES METRIQUES

- > Le traitement est-il efficace ?
- > Est il utile pour le patient ?
- Combien ça coûte ?

LES SIMULATIONS

- Construire une représentation stylisée
- > Modèle déterministe classique
- Analyse de sensibilité probabiliste ...

LA PRESENTATION DES RESULTATS

- > L'amélioration de la qualité des soins
- > Le retour sur investissement
- > L'intérêt net de santé publique
- COMMENT ECLAIRER LA DECISION POLITIQUE ?

1) LE TRAITEMENT EST-IL EFFICACE?

ESTIMATION PONCTUELLE

Types de Métriques

La quantité d'effet que l'on cherche à estimer dépends de la "nature" des variables qui ont été choisies comme "indices d'efficacité"

Variables continues

- > Exemples: poids, taille, changement du diamétre tumoral
- Indices les plus courants : moyenne, médiane

Variables dichotomiques

- Exemples: réponse OUI/NON; mort / vivant
- Indices les plus courants : différence absolue de risques, risques relatifs, rapport des côtes, rapport des risques instantannée

Variables de durée

- Exemples: temps jusqu'a progression, durée médiane de survie, temps jusqu'à récidive
- Indices les plus courants : survie globale, taux de survie à k ans, rapport de risques instantanés
- Variables qualitatives : nominales, ordinales, intervalles, rapports

Les Critères Binaires

Les plus souvent utilisés

On part de la fréquence de survenue d'un événement

dans de groupe contrôle
RA₀

dans le groupe traité
RA₁

On désigne les probabilités correspondantes RA₀, RA₁ sous le nom de risque absolu

Mesures de l'Efficacité

- Risque absolu [RA]
- Réduction Absolue du Risque [RAR]
- Augmentation Absolue du Risque [AAR]
- Risque Relatif [RR]
- Réduction Relative du Risque [RRR]
- Rapport des côtes [OR]
- Log OR = Différence d'efficacité relative
- Nombre de Sujets à Traiter [NST]
- Rapport de risques instantanés

Réduction Absolue de Risque (RAR)

	Evé	Effectif	Risque absolu
Grp Traité	45	180	45 / 180 = 0,25
Grp Contrôle	56	176	56 / 176 = 0,32

RAR = 0.25 - 0.32 = -0.07

Absence d'effet RAR = 0

Risque Relatif (RR)

$$RR = RA_T / RA_C$$

	Evé	Effectif	Risque absolu
Grp T	45	180	45 / 180 = 0,25
Grp C	56	176	56 / 176 = 0,32

$$RR = 0.25 / 0.32 = 0.79$$

Réduction du Risque Relatif

$$RRR = 1 - 0.79 = 21 \%$$

Risque Relatif, Interprétation

- $Arr RR < 1 (RA_T < AR_C)$
 - > le traitement réduit la fréquence de l'événement
 - effet bénéfique
- $Arr RR > 1 (RA_T > RA_C)$
 - > le traitement augmente la fréquence de l'événement
 - > effet délétère
- $Arr RR = 1 (RA_T = RA_C)$
 - > le traitement est sans effet

Rapport des Côtes (Odds Ratio)

$$OR = \frac{RA_{T}/(1-RA_{T})}{RA_{C}/(1-RA_{C})}$$

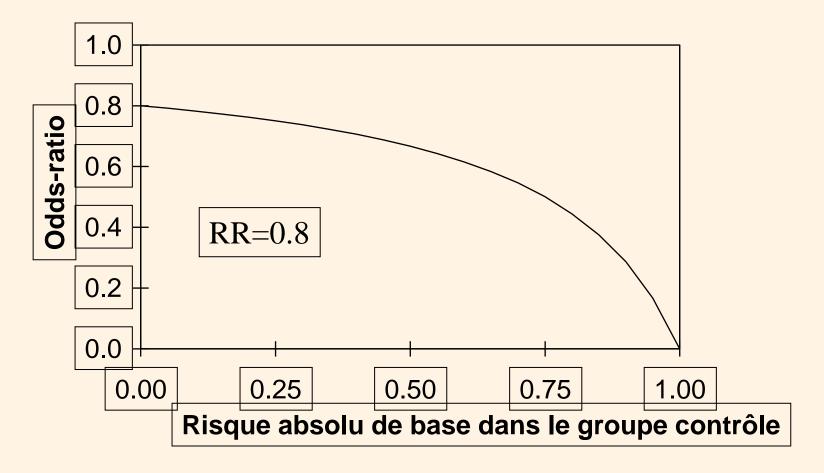
	Ev.	Effectif	Risque absolu
Grp T	45	180	45 / 180 = 0.25
Grp C	56	176	56 / 176 = 0.32

$$OR = (0.25/(1-0.25)/(0.32/(1-0.32)) = 0.71$$

L'odds ratio est une approximation du risque relatif

Relation entre Risque Relatif et Rapport de Cotes

Le rapport des côtes n'est proche du Risque Relatif que si le risque absolu de base est faible (< 0,4)



Nombre de Sujet à Traiter NST

- NST = Nombre de sujet à traiter pour éviter UN événement
- NST = 1 / RAR 1 / 0.07 = 14
- Intérêts
 - signification «clinique»
- Limites
 - personnalise trop le bénéfice
 - calcul de l'intervalle de confiance délicat

NST: Erreurs d'Interprétation

- 14 sujets à traiter pour éviter 1 événement
 - ≠ sur 14 patients un seul bénéficie du traitement
- NST = Nombre moyen
 - tous les patients bénéficient un peu du traitement
 - en moyenne cela équivaut à un événement évité pour N patients traiter

Rapport de Risques Instantanés

- Pré requis : le risque instantané est le risque de présenter un événement sur un temps infinitésimal conditionnellement au fait de ne pas l'avoir présenté auparavant [TrT expérimental au numérateur]
- La théorie : le modèle de Cox exprime la fonction de risque instantané d'un individu sous une forme multiplicative comme le produit d'une fonction de risque de base commune à tous les individus et d'une fonction de régression spécifiée sous une forme exponentielle

$$h(\tau) = \eta 0(\tau) \epsilon \xi \pi \psi \imath Z \iota$$

Le rapport :Les fonctions de risque de 2 individus sont proportionnelles pendant tout la durée du suivi et indépendantes du temps. Leur rapport est constant

$$HP = \eta \iota (\tau, Z \iota) / \eta \varphi (\tau, Z \varphi) = K$$

THEOREME DE LA LIMITE CENTRALE

Population Versus Echantillon

- Population la totalité du groupe sur lequel on souhaite disposer d'informations
 - Par exemple : les chiffres de la pression artérielle de tous les étudiants agés de 20 ans en France
- Echantillon la fraction de la population sur laquelle les informations ont été colligées et partir de laquelle nous en déduisons les caractéristiques de la population toute entiére.
 - Par exemple: un échantillon N=5 étudiants agés de 20 ans en France
- La moyenne de l'échantillon X n'est pas la moyenne de la population µ

Une Statistique Caractérise l'Echantillon

- Un nombre indice (ou une "statistique") est la valeur numérique qui résume les valeurs d'une caractéristique d'un échantillon
 - Un nombre indice est toujours le résultat d'un calcul
 - Très souvent le nombre indice est utilisé pour estimer la valeur inconnue d'un paramètre d'ou le nom d'estimateur qui est souvent utilisé pour le qualifier
 - > Exemple:

La moyenne de l'échantillon La proportion dans l'échantillon

Un Paramètre Caractèrise la Population

- Un paramètre est une valeur numérique qui résume les valeurs d'une caractéristique de la population
 - un paramètre est une donnée fixe, mais il caractérise une population infinie d'événements. On ne peut pas le calculer. On ne peut que l'estimer
 - > Exemple:

La moyenne dans la population La proportion dans la population

Le Raisonnement Inférentiel Fréquentiste

- On ne connait pas µ mais on aimerait la connaitre
- On extrait un échantillon de la population
- On calcule la moyenne de l'échantillon \overline{X}
- Quelle est la proximité de \overline{X} par rapport à μ ?
- L'analyse statistique quantifie l'importance de l'écart entre X et μ (Variance et Ecart-type de l'estimateur)
- L'inférence statistique désigne la démarche qui permet de tirer des conclusions au niveau de la population toute en entiére à partir des données observées de l'échantillon.

Moyenne et Variance

Sur l'échantillon :

- $\rightarrow X$: moyenne empirique $X = \frac{1}{n} \sum_{i=1}^{n} X_{i}$
- > n : taille de l'échantillon
- > s²: variance empirique s² = $\frac{1}{n-1}\sum_{i=1}^{n}(X_i \overline{X})^2$

Sur la population totale :

> μ : moyenne $\mu = \frac{1}{N} \sum_{i=1}^{N} \overline{X}$ > N : taille de la population

La moyenne d'un nombre infini de moyennes d'échantillons est égale à la moyenne de la population

> σ^2 : variance $\sigma^2 = \frac{1}{N} \sum_{i=1}^{N} (\overline{X} - \mu)^2$

Moyenne et variance théorique

$$Var(X) \equiv V(X) \equiv \mathbb{E}\left[(X - \mathbb{E}[X])^2 \right]$$
 $Var(X) \equiv \sigma_X^2$

En toute rigueur la variance est égale à l'espérance des carrés des écarts à l'espérance, vulgairement: Moyenne des carrés moins le carré des moyennes). Elle permet de caractériser la dispersion des valeurs par rapport à la moyenne. Ainsi, une distribution avec une même espérance et une variance plus grande apparaîtra comme plus étalée. Le fait que l'on prenne le carré de ces écarts à la moyenne évite que des écarts positifs et négatifs ne s'annulent.

Estimation Empirique de la Variabilité

- Ce sont des calculs menés sur les données receuillies d'ou leur nom.
- La variance empirique de l'échantillon (s²). est la somme du carré des écarts par rapport à la moyenne de l'échantillon divisé par le degré de liberté: **SCE/ddl**

$$s^{2} = \frac{\sum_{i=1}^{n} (X_{i} - \overline{X})^{2}}{n-1}$$

L'écart-type empirique de l'échantillon (s ou ET) est égal à la racine carré de la variance s²

$$s = \sqrt{\frac{\sum_{i=1}^{n} (X_i - \overline{X})^2}{n-1}}$$

Pourquoi diviser par n-1 au lieu de n?

En réalité on souhaiterait utiliser μ plutôt que X dans la formule permettant de calculer la variance empirique s²

$$s^2 = \frac{\sum (X_i - \overline{X})^2}{n-1}$$

- Puisque μ n'est pas connue, on utilise X
- Mais en général, $(X_i X)^2$ est plus petit que $(X_i \mu)^2$
 - Pour compenser, on divise par un nombre moins élevé: n-1 au lieu de n

- n−1 est appelé le degré de liberté de la variance empirique
- Pourquoi?
 - La somme des écarts par rapport à la moyenne est nulle
 - L'écart calculé en dernier est facile à trouver une fois que l'on connait les *n*–1 *précédents*
 - Il n'y a que n-1 écarts au carré qui puissent varier librement
- Le terme *degré de liberté* est d'un emploi courant dans d'autres domaines statistiques
- Il n'est pas toujours égale à n-1, mais ici c'est le cas

Loi de Distribution des Moyennes Empiriques d'un Nombre Infini d'Echantillons

Cette loi fait référence à la forme que prendrait la distribution des moyennes d'un nombre important d'échantillons de même taille qui pourraient être tirées d'une même population si l'opération était renouvellée à l'identique de nombreuses fois et si à chaque fois on calculait la moyenne des échantillons prélevés.

Distribution de L'Echantillonnage

- Dans la mesure ou on extrait des échantillons différents ayant à chaque fois la même taille n d'une même population, la moyenne de chacun d'entre eux X sera à chaque fois différente. La distribution de ces moyennes est appellée la distribution de l'échantillonnage de la moyenne.
- Dans la distribution d'échantillonnage l'unité de base n'est plus l'individu mais la moyenne
- Il reste à trouver à quelle loi de probabilité cette distribution obéit

Un Résultat Etonnant : le Théorème la Limite Centrale

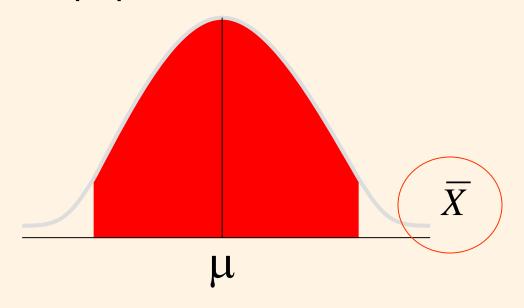
- Les statisticiens mathématiciens ont réussi à démontrer quelle pouvait être la forme de la loi de distribution de l'échantillonnage sans avoir à répéter l'opération de multiples fois en choisissant un nouvel échantillon à chaque fois.
- La distribution de l'échantillonnage d'une statistique calculée sur un échantillon suit souvent une loi normale.
 - C'est vrai pour les moyennes et les proportions ou les ratio d'un échantillon
 - C'est vrai pour les différences entre les moyennes et les différences entre les taux ou les proportions de deux échantillons

La Régle du **68-95-99.7** de $N(\mu, \sigma^2)$

- Pour une distribution normale_X ~ $N(\mu,\sigma^2)$ dont la moyenne est μ , la zone des valeurs comprises entre plus ou moins une erreur standard (μ - σ et μ + σ) contient 68% des observations. Autrement dit 68% échantillons tirés d'une même population, ne seront éloignés de la moyenne vraie que de plus ou moins une erreur—standard
- Pour une distribution normale dont la moyenne est μ, la zone des valeurs comprises entre μ-2σ et μ+2σ contient 95% des observations. Autrement dit 95% échantillons tirés d'une même population, ne seront éloignés de la moyenne vraie que de ± deux erreurs-standard
- Pour une distribution normale dont la moyenne est μ , la zone des valeurs comprises entre μ -2,58 σ et μ +2,58 σ contient 99.7% des observations.

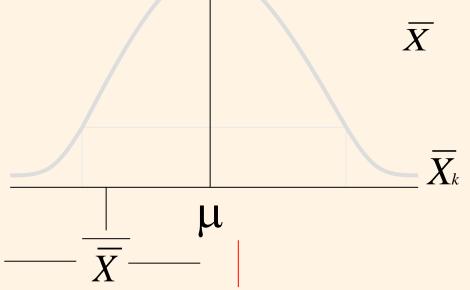
Du Théorème de la Limite Centrale...

95% des valeurs prises par les moyennes empiriques calculées \bar{X} sur chacun des échantillons tirés de la population seront situées à moins de 1.96 écarts type de la moyenne vraie μ . de la population



...à la Détermination de l'Intervalle de Confiance

L'inverse est également vrai: Si dans 95% des cas, les valeurs prises par la distribution des **moyennes empiriques** \overline{X} calculées sur chaque échantillon se situent \underline{a} moins de 1.96 erreurs-standard de la moyenne vraie de la population, alors, dans 95% des cas, la valeur de la **moyenne** vraie μ de la population ne sera jamais \underline{e} loignée de plus de 1.96 erreurs standard de l'une des réalisations \overline{X} de la moyenne empirique



Réarrangements des Inégalités

- En général si les échantillons sont de grande taille (n>60), la distribution d'échantillonnage est approximativement normale.
- 95% des valeurs prises par la distribution des moyennes des différents échantillons tirés de la même population se situent alors à ± 1.96 erreurs standard de la VRAIE valeur de la Moyenne dans la population.

$$\mu$$
-1.96 *ETM* $\leq \overline{X} \leq \mu$ +1.96 *ETM*

On soustrait X et μ des 3 Termes de l'inéquation et on isole μ au centre. On multiplie par (-1) en renversant les inégalités. On réécrit l'équation avec la plus petite valeur à gauche

$$-\bar{X}-1.96 \ ETM \le -\mu \le -\bar{X}+1.96 \ ETM$$

$$\bar{X}+1.96 \ ETM \ge \mu \ge \bar{X}-1.96 \ ETM$$

$$\bar{X}-1.96 \ ETM \le \mu \le \bar{X}+1.96 \ ETM$$

nous pouvons avoir confiance à 95% que la moyenne VRAIE sera inclue dans l'intervalle

L'Intervalle de Confiance au Risque de 5%

Dans 95% des cas , la moyenne de la population (μ) sera située dans l'intervalle aléatoire dont les limites sont définies par la valeur de l'estimateur augmentée ou diminuée de 1.96 erreurs-standard :

$$\overline{X} \pm 1.96 \frac{s}{\sqrt{n}}$$

- Pourquoi ?
 - A cause du théorème de la limite centrale
- Interprétation:
 - Nous pouvons avoir confiance que dans l'ensemble des intervalles possibles, 95% d'entre eux inclueront la vraie valeur du paramètre étudié

Ecart-Type vs. Erreur-standard

L'erreur-standard au niveau de la population *n'est pas* l'écart- type de l'échantillon!

- L'écart-type (standard deviation :sd) mesure la dispersion des observations dans un l'échantillon
- L'erreur-standard (standard error :se) est l'écart type de la distribution d'échantillonnage d'un estimateur; elle mesure la précision avec laquelle on peut appréhender la valeur du paramètre d'intérêt au niveau de la population tout entière.
 - Sa valeur est égale à la moyenne de toutes les erreurs qui pourraient être commises pour estimer la moyenne vraie dans la population lorsqu'on raisonne à partir de la moyenne des différents échantillons qui sont susceptibles d'en être tirés
 - L'erreur-standard d'un estimateur peut être calculée pour toute statistique: moyenne, proportion, variance

Recap: les Enseignements du TLC

- Le théorème de la limite centrale nous enseigne que :
 - ▶ la distribution des moyennes X des différents échantillons suit approximativement une loi normale lorsque le nombre d'observations n de l'échantillon est suffisament grand
 - cette distribution des moyennes est centrée autour de la vraie valeur de la moyenne μ au niveau de la population tout entiére
 - $ightharpoonup L'ESM (l'erreur standard_de la moyenne appellée erreur-standard par les anglo-saxons) de <math>X$ quantifie l'incertitude sur l'estimation de la vraie valeur de moyenne compte tenu de la variabilité de la moyenne des différents échantillons par rapport à la moyenne de la population
- On peut donc utiliser les propriétés de la loi normale pour estimer ses chances de trouver la vraie valeur de μ. Cette loi mathématique découle du théorème de la limite centrale. Pour que ce théorème soit applicable n doit être suffisament grand
- Lorqu'on estime la moyenne de la population (μ) en tirant parti des propriétés de la distribution de la moyenne \overline{X} des échantillons, quel est le risque de manquer sa cible?
 - L'érreur standard de la moyenne (ESM) nous l'indique!

INTERVALLE DE CONFIANCE

Niveau de Confiance

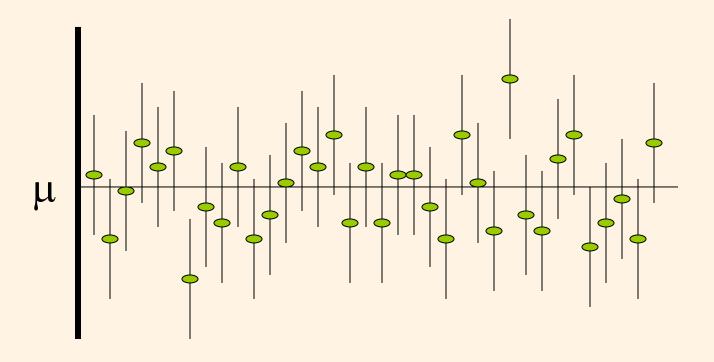
- On veut estimer un paramètre relatif à un caractère X définit sur une population. Une estimation ponctuelle ne renseigne pas sur la précision de l'estimation
- On définit la qualité de l'estimation en définissant un intervalle à partir de l'échantillon qui a une forte probabilité de contenir la vraie valeur du paramètre recherché. Cet intervalle est appelée l'intervalle de confiance.
- L'analyste fixe lui même le degré de confiance qu'il accorde à son estimation en choisissant le risque α de se tromper qu'il accepte d'assumer, lorsqu'il affirme que la valeur d'un paramètre se situe à dans un intervalle donné. La probabilité P = 1 α désigne le niveau de confiance
- Le NIVEAU de confiance est **associé à l'intervalle** qui a été calculé dans l'espoir qu'il recouvrira la vraie valeur du paramètre et non à la valeur elle même de ce paramètre qui demeure inconnue
- Les valeurs les plus souvent choisies pour quantifier le risque (α) de sélectionner un intervalle particulier qui ne contienne pas la vraie valeur sont: 0,05 et 0,01 correspondantes aux niveaux de confiance de 95% et 99%...

Définition d'un Intervalle de Confiance

- θ : paramètre que l'on cherche à estimer
- α : probabilité arbitrairement choisie par l'analyste que l'intervalle calculé ne contienne pas θ
- On appelle intervalle de confiance de niveau 1- α du paramètre θ , tout intervalle IC tel que P(IC \square θ) = 1- α

Les bornes de l'intervalle IC dépendent de l'échantillon : elles sont donc aléatoires

Les Bornes de l'Intervalle Dépendent de l'Echantillon



Chaque trait représente un I C à 95% construit à partir d'échantillons différents de taille identique n

Lecture de l'Intervalle de Confiance

Si l'on effectue de nombreux tirages d'échantillons de même taille, et si l'on construit un intervalle autour de la moyenne de chaque échantillon, alors on peut s'attendre à ce que 95% des bornes ainsi construites contiennent la vraie valeur de μ

Est-ce que tous les IC sont à 95%?

- > Non
- C'est celui qui est le plus souvent utilisé
- Un IC à 99% est plus large
- ➤ Un IC à 90% est plus étroit

Interprétation de L'Intervalle de Confiance

- Permet d'apprécier la précision d'une estimation faite à partir d'un échantillon. Exemples:
 - paramètre d'interêt: la survie sans progression: "L'intervalle de confiance à 95% de la survie sans progression est compris entre 13 et 26 semaines."
 - paramètre d'interêt: le taux de réponse "L'intervalle de confiance à 95% du taux de réponse indique que le taux de réponse VRAI se situe dans le domaine (0.20; 0.40)."

Autres Formulations de l'IC

- "Nous sommes sur que la VRAIE valeur du paramètre appartienne à un intervalle de confiance choisi de telle façon que la valeur inconnue soit égale à un nombre fixé à l'avance "
- "Lorsque le tirage est répété de nombreuses fois chaque échantillon à son propre intervalle de confiance, et en moyenne x% de ces intervalles incluront la valeur VRAIE du paramétre estimé"
- "Sur la base d'une valeur observée,un intervalle peut être construit à l'avance de telle sorte qu'il contienne la vraie valeur du paramètre dans x% des cas, si n est grand."

Mais il n'y pas que des IC à 95%....

■ Intervalle de confiance à 90%:

L'étendue de l'intervalle est plus étroite que pour un IC à 95%

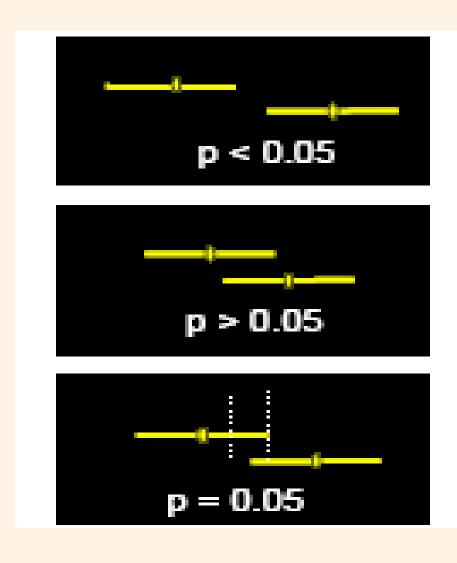
$$\overline{X} \pm 1.65 ETM$$

Intervalle de confiance à 99%:

L'étendue de l'intervalle est plus large que pour un IC à 95%

$$\overline{X} \pm 2.58 ETM$$

Intervalle de Confiance sur la Valeur Absolue des Moyennes et Valeur du «p»



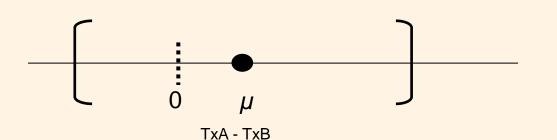
- Lorsque les intervalles de confiance ne se chevauchent pas, le test statistique indique une différence significative
- Lorsque les intervalles de confiance se chevauchent nettement, le test statistique n'indique pas de différence significative
- Lorsque les intervalles de confiance se chevauchent légèrement, le test statistique indique ou n'indique pas une différence significative

DISTRIBUTION DE PROBABILITE

Appréciation Quantitative Stochastique du Risque

- A chaque variable aléatoire utilisée, on associe non pas une probabilité moyenne mais une distribution de valeurs possibles associées à leur probabilité appelée loi de probabilité
- Après spécification de la loi de distribution pour chacun des paramètres, l'incertitude est incorporée et se propage dans tout le modèle. Le résultat de l'analyse est une courbe de probabilité
- Alors que le résultat d'une analyse ponctuelle est une estimation ponctuelle du risque, le résultat d'une analyse quantitative stochastique ou probabiliste des risques est une distribution de probabilité qui reflète la totalité de l'incertitude liée à son estimation.

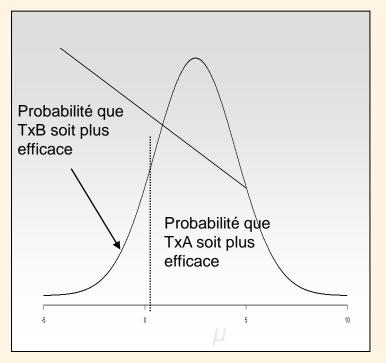
Règle Décisionnelle Bayésienne



Conclusion Fréquentiste:

Estimateur ponctuel (avec IC à 95 %)

« Pas de différence significative entre TxA et TxB »



TxA - TxB

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

Conclusion Bayésienne:

Estimation par une distribution de Probabilité

Prochain cours :2) LE TRAITEMENT EST-IL UTILE (QdV) ?



UNIVERSITE RENE DESCARTES PARIS V



Faculté de Pharmacie Mastère Sciences de la Vie et de la Santé

– Droit, Économie et Marketing des Industries de Santé –

Année universitaire 2011-2012

L'EVALUATION MÉDICO-ECONOMIQUE : LES METRIQUES

Pr Robert LAUNOIS

REES Réseau d'Evaluation en Economie de la Santé

28, rue d'Assas 75006 Paris – France

Tel . 01 44 39 16 90 - Fax 01 44 39 16 92

E-mail: reesfrance@wanadoo.fr - Web: www.rees-france.com

Plan du Cours

LES DESIGNS

- > Pour la CT...
- > Pour le CEPS...
- > Pour la HAS...

LES METRIQUES

- > Le traitement est-il efficace?
- Est il utile pour le patient ?
- Combien ça coûte ?

LES SIMULATIONS

- Construire une représentation stylisée
- > Modèle déterministe classique
- > Analyse de sensibilité probabiliste ...

LA PRESENTATION DES RESULTATS

- > L'amélioration de la qualité des soins
- > Le retour sur investissement
- > L'intérêt de santé publique
- COMMENT ECLAIRER LA DECISION POLITIQUE ?

APPROCHE UTILITE PREFERENCE

Les Deux Versants de la Qualité de Vie

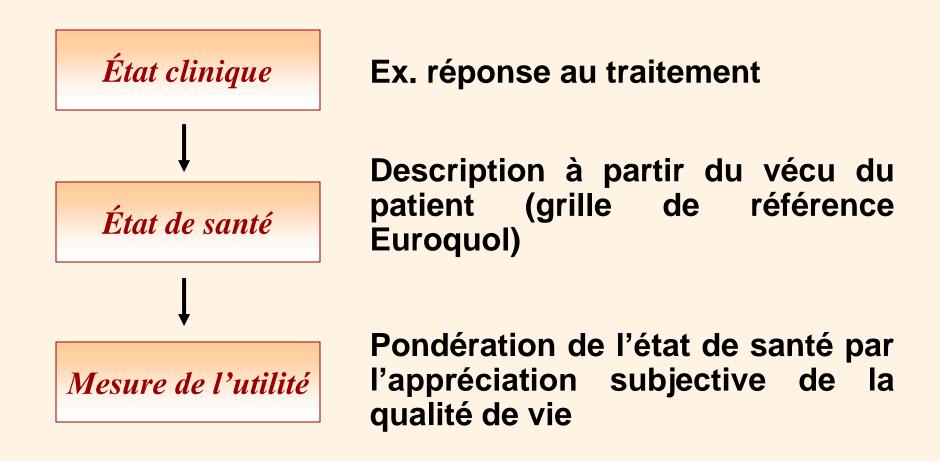
Aspect Descriptif

Aspect Normatif

Les plaintes du malade et leur intensité Le jugement du sujet sur ce dont il a fait l'expérience

Launois R. Revue d'Epidémiologie et de Santé Publique 1994; 42: 246-262

Ajouter de la Vie aux Années : Les QALY's



La Description des Plaintes :

Le Questionnaire EQ-5D

5 dimensions :

- mobilité, autonomie personnelle, activités courantes, douleur/gêne, anxiété/dépression
- 3 niveaux d'atteinte / dimension
 - aucune atteinte, atteinte modérée, atteinte sévère
- 243 stéréotypes d'états de santé + «Inconscient» + «Mort»

EuroQol

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)

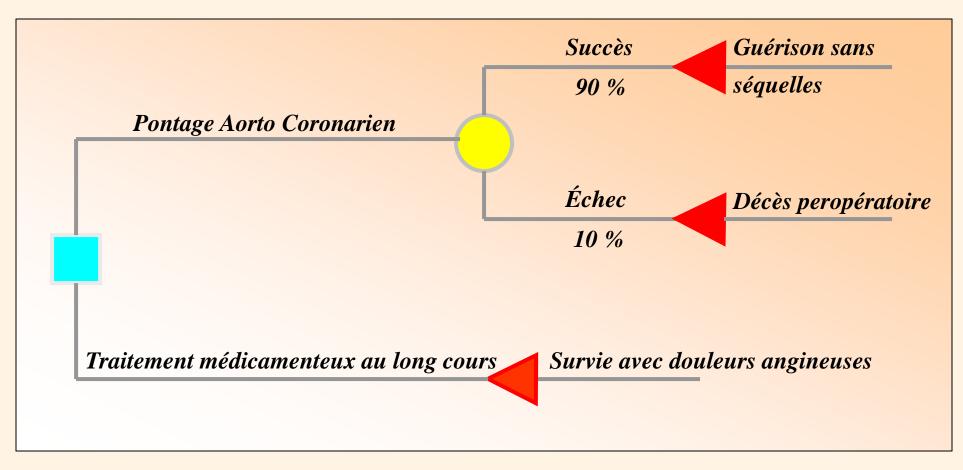
Anxiété / Dépression

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)

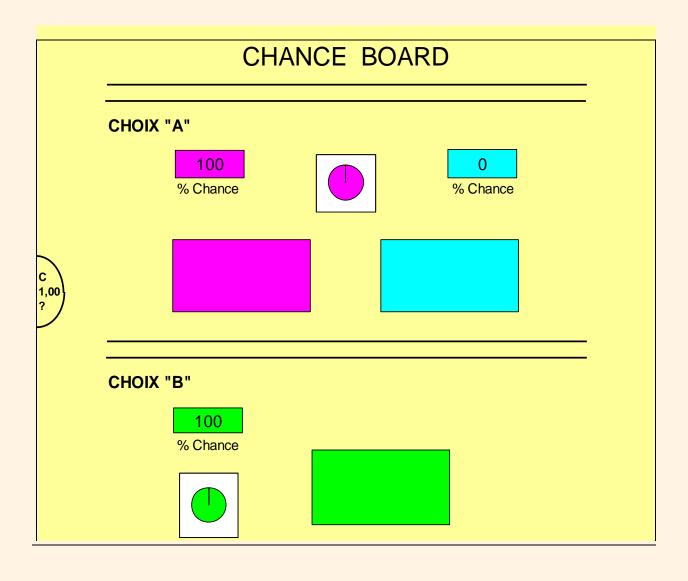
L'Explicitation des Jugements de Valeurs : Le Principe

Le dilemme du coronarien



La Révélation des Jugements de Valeurs en Pratique (1)

Probabilités de la situation à risques : 100-0



Une Application dans le Cancer du Sein

Etats de Santé	Cx de Qualité de Vie
Avant le début de la chimiothérapie (ES1)	0,86
Toxicités mineures (ES2)	0,76
Neurotropénie fébrile sans hospitalisation (ES4)	0,66
Progression précoce (ES20)	0,52
Réponse confirmée (ES5)	0.81
Réponse confirmée avec oedèmes graves (ES14)	(0,74)
Réponse confirmée et neuropathie sévère (ES8)	0,57
Stabilité (ES6)	0,75
Progression (ES7)	0,65
Progression et oedèmes graves (ES16)	(0,53)
Soins terminaux (ES21)	0,25

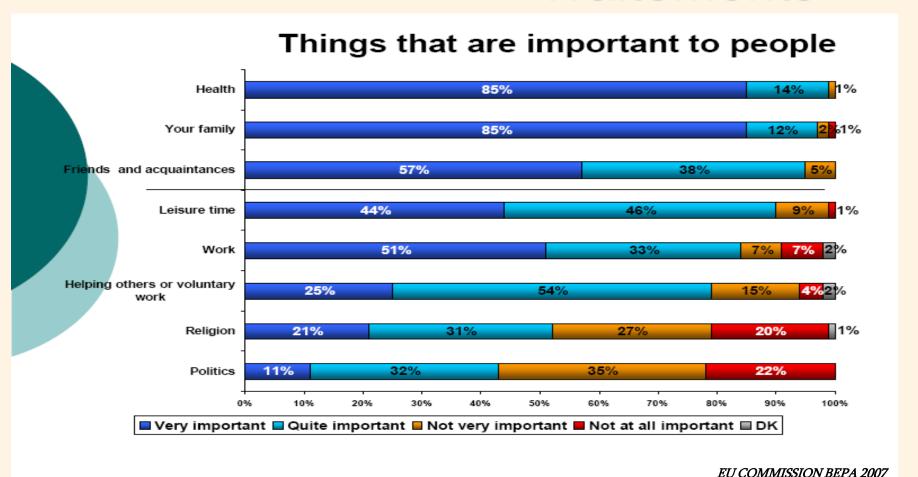
Launois R. Bulletin du Cancer. 1997; 84 (7): 709-21

Analyse des Scores de Qualité de Vie Par Etat de Santé

- 1. Le classement des utilités reflète bien la hiérarchie des états cliniques
- 2. La réponse aide à supporter les toxicités : (exemple : oedème sévère, 0,74 chez un répondeur, 0,53 chez le malade en progression)
- 3. Les neurotoxicités sont plus pénalisantes que les oedèmes (exemple d'un répondeur : 0.57 versus 0.74)

Launois R. Bulletin du Cancer. 1997; 84 (7): 709-21

A Propos de l'Utilité Sociale des Traitements



Utilité Multicritères : Étude DEQUASUD [REES 2008]

- Une décision à prendre : doit-on soigner les usagers de drogues en médecine générale conventionnelle (option A) ou en réseau RMS (option B) ?
- Plusieurs objectifs à atteindre dans la démarche de soins : gérer le sevrage, responsabiliser le patient, l'inscrire dans une démarche de soins...
- Il faut hiérarchiser les objectifs.

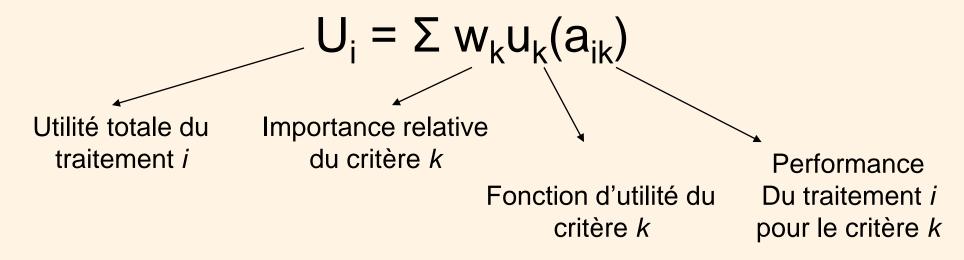
L'Évaluation Multi-Attributs

- 1. Définir le(s) problème(s)
- 2. Choisir les comparateurs
- 3. Identifier les parties prenantes
- 4. Identifier les critères (qu'est ce qui est important ?)
- Définir l'importance relative des critères (quel critère compte plus que quel autre ?)
- 6. Estimer la performance des comparateurs

Identification des Critères

- Leur nombre est limité (charge cognitive)
 - Recommandations: 8 maximum
- Identification par entretiens qualitatifs avec les parties prenantes :
 - A. Accessibilité du médecin,
 - B. Accès à des professionnels non médicaux,
 - C. Maîtrise par l'usager de sa consommation,
 - D. Négociation avec le médecin de la prescription des produits substitution,
 - E. Continuité de l'alliance thérapeutique,
 - F. Réactivité du médecin,
 - G. Mis en oeuvre du dépistage du VHC,
 - H. Changement de style de vie.

Modèle d'Utilité Additive



Implique de déterminer :

- L'importance relative de chaque critère, w_k
- La fonction d'utilité associée aux outcomes possibles du critère, u_k()
- Les performances de chaque traitement i pour chaque critère k, a_{ik}

Calcul de l'Utilité

w_k: 7 comparaisons des 8 critères 2 à 2 :

Q38. Cochez d'abord le critère qui est plus important que l'autre à vos yeux. Ensuite, indiquez combien de fois ce critère est plus important. S'il est plus que 5 fois plus important que l'autre, précisez de combien.

	b. Combien de fois ce critère est-il plus important que l'autre?
l'expérience des addictions et des questions de substitution Avoir accès à un psychologue ou à un travailleur social	1 2 3 4 5 >5: Aussi fois plus important (que l'autre critère) important

u_k(): Échelles VAS:

Q45. À quel point ces situations sont satisfaisantes à vos yeux ?

Mettez un trait oblique sur chaque échelle, pour indiquer le degré de satisfaction que vous auriez dans chacune des situations suivantes (0 : pas du tout satisfait ; 10 : satisfaction maximum).

Exemple: 10
Cet exemple traduit une faible satisfaction (proche de zéro).

a. Je peux très facilement avoir accès à un médecin généraliste ayant l'expérience des addictions et des questions de substitution.

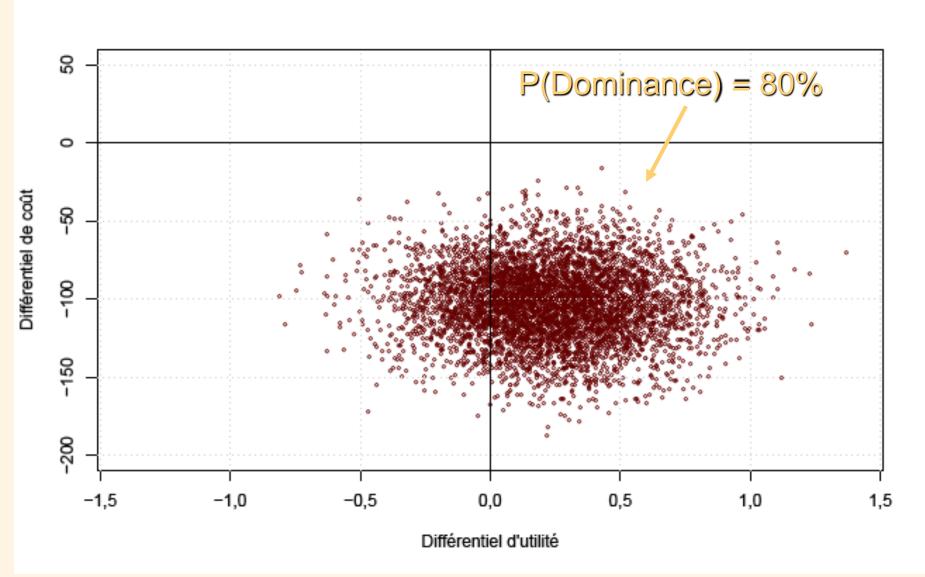


Performances Brutes

		RMS		Conventionnel	
Critère	W_k	$u_k(a_{ik})$	$w_k u_k (a_{ik})$	$u_k(a_{ik})$	$w_k u_k(a_{ik})$
Accès Pros	6%	8.88	0.56	7.12	0.45
Continuité	7%	9.15	0.63	9.00	0.62
Négociation	10%	7.98	0.81	7.45	0.75
Dépistage	10%	6.96	0.71	7.15	0.73
Réactivité	14%	9.09	1.29	8.68	1.24
Maîtrise	15%	5.28	0.79	4.89	0.73
Accès Méd	16%	6.67	1.05	6.83	1.07
Changer vie	22%	9.06	1.95	8.39	1.81
Total* Σ	100%	-	7.76	-	7.35

^{*} La somme finale prend en compte le fait que certains patients ne sont pas concernés par le dépistage ou la réactivité (et les valeurs manquantes).

Évaluation Coût-Utilité



APPROCHE PSYCHOMETRIQUE

De Quoi S'Agit-il?

Les échelles de qualité de vie se proposent d'élargir la définition du service médical rendu en y intégrant le retentissement fonctionnel, psychique et social de la maladie et de son traitement.

Catégories d'Échelles

- Les Échelles génériques sont des instruments trans-nosologiques qui s'appliquent à toutes les pathologies. Les plus connus sont le Sickness Impact Profile (SIP), le Nottingham Health Profile (NHP) et le SF-36.
- Les Échelles spécifiques se focalisent sur les domaines pour lesquels le retentissement de la maladie est important, ceci afin d'accroître la sensibilité de l'indicateur, c'est-à-dire le pouvoir de détecter les différences de faible amplitude, mais qui peuvent être significatives sur le plan clinique.

QUELLE ECHELLE CHOISIR PARMI CELLES QUI EXISTENT ?

12 Affections Invalidantes Non Mortelles

- Anxiété
- Arthrose
- Bronchite chronique
- Constipation
- Douleur abdominale chronique
- Glaucome
- Hypertrophie bénigne de la prostate
- Insuffisance veineuse chronique
- Ménopause / bouffées de chaleur
- Ostéoporose
- Reflux gastro-oesophagien
- Vertiges

Recherche Medline

Interface « Internet Grateful Med » sur le site de la « National Library of Medecine »

Recherche par mots clés et fusion de séries de recherche

Recherche Internet

A partir des sites spécialisés :

- Instruments for Quality of life in Medecine
- Canadian Health
- Rod O'Connor and associates
- Health outcome institute

Dénombrement par Pathologie

	Nombre de références sélectionnées	
Anxiété	11	
Glaucome	8	
Arthrose	15	
Bronchite chronique 9		
Constipation	3	
Douleur abdominale chronique	1	
HBP	19	
IVC	5	
Ménaupose	4	
Ostéoporose	11	
RGO	2	
Vertiges	4	
TOTAL	92	

Grille de Lecture

Caractéristiques recherchées

- Référence de l'article original
- Finalité de l'instrument et autres utilisations répertoriées
- Nombre de dimension et nombre d'items
- Mode d 'administration
- Longueur du questionnaire et temps de remplissage
- Score proposé
- Acceptabilité
- Propriétés psychométriques

Douleurs Abdominales : IBS QOL

Fiche d'Identification

	Patrick DI, Drossman DA, Frederick IO et al.	
Article original	Quality of life in persons with irritable bowel syndrome : development and validation of a new measure. Dig Dis Sci 1998 ; 43 : 400-411.	
Indication	Echelle spécifique de mesure de la qualité de vie dans les douleurs abdominales chroniques	
Nombre de dimensions	8 sous échelles	
Nombre d'items	34 items	
Mode de construction	Interrogatoire des patients et pondération des items identifiés en fonction de la gène qu'ils procurent.	
Mode d'administration	Auto administré	
Temps de remplissage	Approximativement 10 minutes pour remplir le questionnaire	
Score proposé	Les items sont cotés sur une échelle ordinale à 5 modalités. Un score global peut être calculé par la somme des scores des items	
Utilisation répertoriée		
Acceptabilité	Le questionnaire a été adapté culturellement dans plusieurs pays européens : Grande Bretagne, Allemagne, Italie et France. Ces versions européennes avec 41 items ont été validées avant la version présentée dans l'article. Au cours de la validation, aucun problème de compréhension des questions n'a été rencontré.	

Arthrose

- The Arthritis Impact Measurement Scale AIMS (Meenan 1980)
- The Health Assessment Questionnaire HAQ (Fries 1980)
- The Western Ontario and Mc Master university osteoarthritis Index WOMAC (Bellamy 1988)
- The SF-36 Arthritis Specific Health Index ASHI (Keller 1999)
- The Mc Master Toronto Arthritis Patients Preference disability questionnaire MACTAR (Tugwell 1987)
- The Knee injury and Osteoarthritis Outcome Score KOOS (Roos 1998)
- Les indices fonctionnels de Lequesne (Lequesne 1987)

HAQ + Indices de Lesquesne

- Association échelle de handicap et échelle fonctionnelle
- AIMS français peu maniable

DÉVELOPPER UN NOUVEL OUTIL, POURQUOI ET COMMENT?

Comment Construit-On une Échelle?

- ⇒ Phase 2 : Enquête quantitative Réduction du questionnaire Identification des dimensions
- ⇒ Phase 3 : Enquête de validation

Enquête Qualitative

- Elaboration d'un guide d'entretien par thèmes
- Recueil des verbatims : entretiens semi-structurés
- Classement des verbatims par dimension
- Choix d'un mode de questionnement
- Rédaction des libellés
- Etalonnage des Items



Enquête Quantitative

- Réduction du questionnaire : Élimination des variables
 - Non documentées

Non discriminantes : effet Plancher effet

plafond

Redondantes : cx de corrélation > 0,7

Identification des dimensions ACP

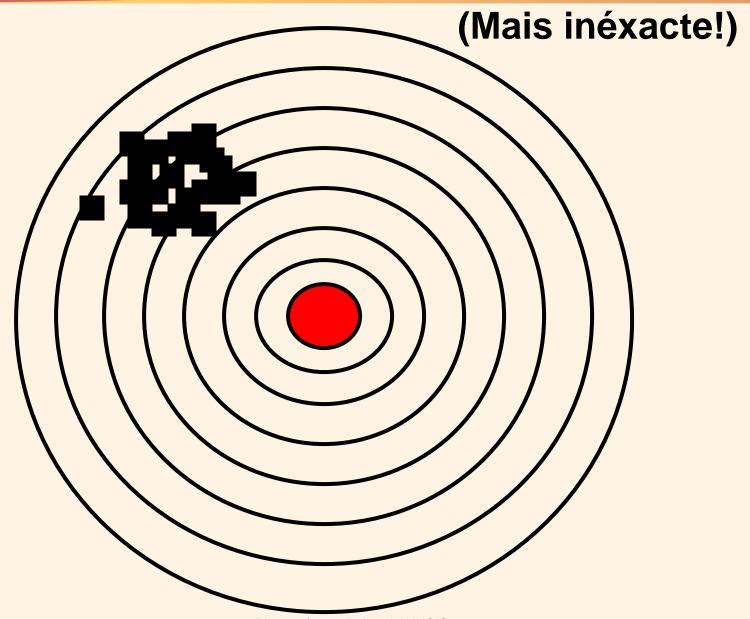
Enquête de Validation

- Vérification de la précision
- Vérification de l'exactitude
 - Bien fondé de la structure
 - Homogénéité interne des dimensions
 - Pouvoir discriminant des questions
 - Validité clinique: Convergence à J0 avec les stades de sévérité et les signes cliniques
 - Convergence des dimensions: Convergence à J0 avec d'autres échelles de qualité de vie
- Vérification de la sensibilité : Mesure de la taille standardisée des effets entre J0 et JN

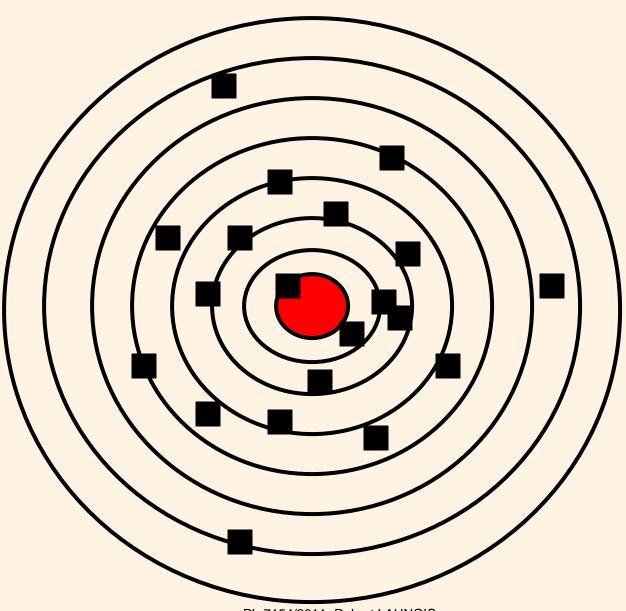
Procédures de Validation

- Lisibilité
- Pertinence
- Précision
- Exactitude
- Sensibilité
- Acceptabilité

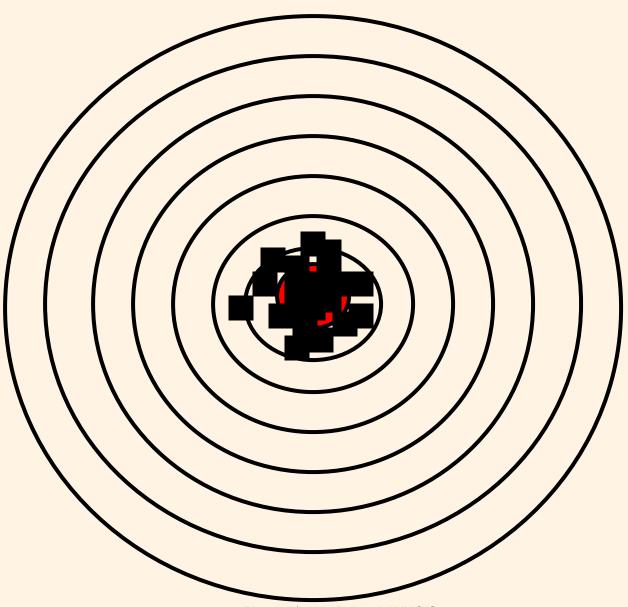
Précision



Exactitude



Exact et Précis



Normes Psychométriques à Respecter

CARACTERISTIQUES	TESTS STATISTIQUES	SEUIL DE VALIDITE
Précision I	Coefficient de corrélation Intraclasse (ICC) sur des patients stables sur une période	> 0,80
	de temps limitée Coefficient ∞ de Cronbach	> 0,70
Exactitude : Validité de la structure	Coefficient de corrélation item échelle	> 0,40
Exactitude : Validité clinique	Corrélation à la visite d'inclusion avec les critères cliniques	P < 0,05
Exactitude : Convergence des traits	Corrélation à la visite d'inclusion avec les items des échelles de qualité de vie explorant les mêmes domaines	
Sensibilité	Effet de taille	> 0,40

VOCABULAIRE PSYCHOMETRIQUE

Exactitude

Bien-fondé de la structure

- validité convergente : corrélations entre items et dimensions selon la dimension à laquelle appartient l'item
- validité discriminante corrélations faibles avec les autres dimensions de l'échelle

Validité clinique

 validité discriminante : niveaux différents des scores dimensionnels selon des stades de sévérité ou des groupes de malades différents)

Convergence des traits

- validité convergente : recherche des convergences entre dimensions semblables de l'échelle et d'autres échelles validées
- validité divergente : corrélations faibles entre entre dimensions dissemblables de l'échelle et d'autres échelles validées

Précision : Le Coefficient de Corrélation Intraclasse

- Le coefficient de corrélation intraclasse est une fonction non linéaire de la variabilité entre patients, (entre juges) et de la variabilité résiduelle ou erreur de mesure aléatoire
- X= T + r + e, où T la vraie valeur de la mesure (de variance σ_T^2), r est l'erreur de mesure entre les patients (de moyenne 0 et de variance σ_r^2), et e l'erreur aléatoire entre la vraie valeur et la mesure si celleci a été menée par le même "juge" (de moyenne 0 et de variance σ_e^2). La variance d'une mesure est $\sigma_X^2 = \sigma_T^2 + \sigma_r^2 + \sigma_e^2$, les variables X, T, r et e étant indépendantes. Le coefficient de corrélation intraclasse R = σ_T^2 / ($\sigma_T^2 + \sigma_r^2 + \sigma_e^2$)
- Les valeurs du coefficient de corrélation intra-classes s'échelonnent entre -1 et +1; une valeur négative ou nulle correspond à l'absence d'accord entre "juges" alors que la valeur +1 correspond à l'accord parfait.

Sensibilité

- Comparaison de la moyenne des scores « avant » et « après » évolution clinique.
- Quotient de la moyenne des différences observés sur les scores individuels et de l'écart-type de la moyenne : ("standardized response mean")
- Rapport entre la moyenne des différences des scores individuels et l'écart-type de la moyenne des scores à J0 : ("effect size")

Prochain cours:3) COMBIEN « ÇA » COÛTE ?



UNIVERSITE RENE DESCARTES PARIS V



Faculté de Pharmacie Mastère Sciences de la Vie et de la Santé

– Droit, Économie et Marketing des Industries de Santé –

Année universitaire 2011-2012

L'EVALUATION MEDICO-ECONOMIQUE : LES METRIQUES

Pr. Robert LAUNOIS

REES Réseau d'Evaluation en Economie de la Santé

28, rue d'Assas 75006 Paris – France

Tel . 01 44 39 16 90 - Fax 01 44 39 16 92

E-mail: reesfrance@wanadoo.fr - Web: www.rees-france.com

Plan du Cours

LES DESIGNS

- > Pour la CT...
- > Pour le CEPS...
- > Pour la HAS...

LES METRIQUES

- > Le traitement est-il efficace?
- Est il utile pour le patient ?
- Combien ça coûte ?

LES SIMULATIONS

- > Construire une représentation stylisée...
- > Modèle déterministe classique
- Analyse de sensibilité probabiliste

■ LE RENDU DES RESULTATS

- > L'amélioration de la qualité des soins
- > Le retour sur investissement
- > Le surplus collectif

3) COMBIEN « ÇA » COÛTE?

Plan du Cours

- DEFINITION DU PÉRIMETRE D'ANALYSE : « Un Art de la Découpe »
- OU TROUVER L'ARGENT
- LA CONFRONTATION DES TARIFS ET DES PRIX DE REVIENT
- VOCABULAIRE DES COÛTS
- RAISONNEMENT DE BASE EN MATIÈRE D'ACTUALISATION
- ANALYSE STATISTIQUE

DEFINITION DU PERIMETRE D'ANALYSE « Un Art de la Découpe »

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	
Analyse d'Impact remboursement médicament FRANCE	Dépenses de médicaments supplémentaires par catégorie pharmaco-thérapeutique	
Analyse d'Impact Budgétaire	Deux scénarii alternatifs du coût de la prise en charge de la population cible	
Minimisation des besoins de financement (BDF) OBSOLETE	Équivalence d'efficacité scientifiquement démontrée	
Besoins de financement (BDF) / Efficacité	Un indicateur clinique dominant : (Décès évités, années de vie gagnées)	
Besoins de financement (BDF) / Valorisation monétaire des bénéfices bénéfices		

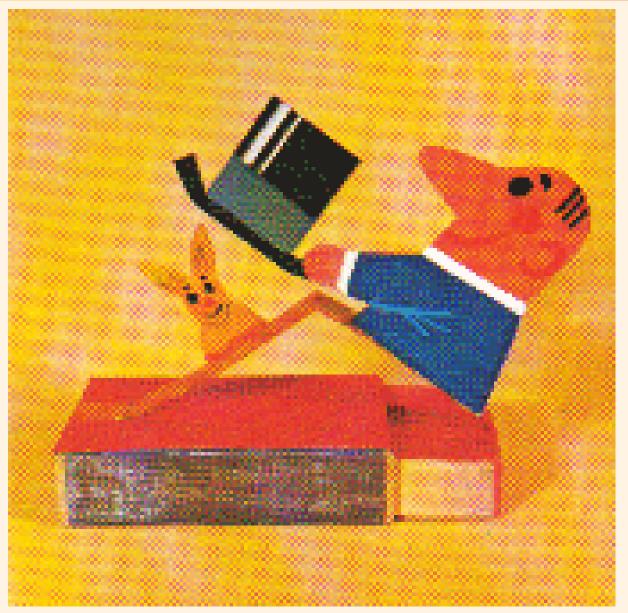
Les Postes à Retenir en Fonction du Point de Vue Choisi

	Point de vue choisi				
Coûts à colliger	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 familiaux	Oui	Non	Non	Non	Oui
Pertes de production	Pertes de revenus non compensées	Non	Non	Non	Non Si QALY's
Coût des Risques socialisés	Revenus de substitution	Non	Indemnités journalières	Non	Frais gestion

[∘]R. Launois. Guide méthodologique pour l'évaluation des actions de santé, recommandations méthodologiques – CES Paris 2003. Annexe I.

OU TROUVER L'ARGENT?

La T2A



Passer d'une Logique de Postes Budgétaires à Une Logique de Recettes

La Dotation globale : une logique de moyens

Les étapes :

- 1- Dépenses « encadrées » par rapport au budget précédant
- 2- Dotation calculée à l'euro près pour couvrir les dépenses
- 3- Financement des moyens (personnel, consommables)
- 4- L'activité possible est limitée par le volume des moyens disponibles

La T2A : une logique financière

Les étapes :

- 1- Activité réelle effectuée
- 2- Ressources encaissées
- 3- Dépenses gagées à concurrence des recettes
 - 4- Moyens affectés

Vers un Compte de Résultats Analytiques Par Pôle (CREA)

CHARGES HOSPITALISATION **GHM 2008**(Coûts par GHM ENC) Dépenses Journées..... Personnel médical..... Personnel non médical...... Dépenses patients Molécules onéreuses Total hospitalisation= € **SOINS EXTERNES** Charges directes + quote part logistique TOTAL...€

RECETTES facturées HOSPITALISATION
GHS (Tarifs 2008)
→ H >48h
→ H ≤ 48h (CM24)
Total hospitalisation=€
SOINS EXTERNES
Activité produite
Tarifs CCAM€
Coefficients NGAP €
TOTAL
DEFICIT€

104

Cinq Vecteurs de Financement Possibles

Financements directement liés à l'activité

TARIFS PAR
SEJOURS
(GHS et
suppléments)

TARIFS PAR
PRESTATIONS
(CONSULTATIONS ET ACTES
EXTERNES, ATU URGENCE, PO,

PAIEMENTS EN SUS (MEDICAMENTS, DM)

Autres financements (dotation)

MISSIONS D'INTERET
GENERAL
ET D'AIDE A LA
CONTRACTUALISATION
(MIGAC)

FORFAITS ANNUELS

Financements liés à la permanence des soins (FAU URGENCES, CPO)

Trois Financements Liés à l'Activité

TARIFS PAR SEJOURS (GHS et facturation des séjours extrêmes)

TARIFS PAR
PRESTATIONS
(REA, STF, STC, CAE, ATU, PO, HAD)

PAIEMENTS EN SUS (MEDICAMENTS, DM)

(A)
Tarifs des GHS + suppléments

(B)

Tarifs des prestations des activités non liées intrinsèquement au GHS

Tarifs de responsabilité des consommables payés en sus

Le Paiement au Forfait par Séjour 7 GHS AVC En 2007

GHS	GHM	Libellé du GHS	Tarif €
173	01M16Z	AIT et occlusion des artères précérébrales < 81 ans	2 652,05
172	01M15Z	AIT et occlusion des artères précérébrales > 80 ans	3 063,04
163	01M10V	Autres affections cérébrovasculaires sans CMA	3 781,93
164	01M10W	Autres affections cérébrovasculaires avec CMA	5 784,35
170	01M14V	AVC non transitoires sans CMA	3 990,29
171	01M14W	AVC non transitoires avec CMA	5 153,08
150	01M01S	Affection du système nerveux avec IMAS	7 049,42

Tarif supplément journalier USI (STF) 419,58 €

T2A - GHS + Séjours extrêmes

Séjours extrêmes : séjours dont la durée est < ou > à un seuil

- Si séjour + long : durée de séjour > borne haute du GHS facturation en + du GHS de chacune des journées au delà de la borne avec application d'1 coefficient réducteur = 0,75 Coût du séjour = GHS + 0,75 x n x (GHS/ADMS)
- Si séjour + court : durée de séjour < borne basse du GHS minoration du tarif GHS de 0,5</p>
- Possibilités de niveaux bornes « privé » ≠ bornes « public »

T2A - GHS + Forfaits Journaliers REA [2007]

PTCA et AMI avec co morbidités

GHS 1682

4 533,22 €

Transfert en réanimation

10 Jours en réanimation + Coût de l'Hospitalisation
824,91 €
X 10

T2A – GHS + Forfait Journalier USI [2007]

Accidents cérébraux vasculaires non transitoires avec CMA-UNV hors USI (indicateur de reconnaissance spécifique 17)

5 153,08 €

Accueil soins intensifs en UNV (unité médicale18)

3 jours

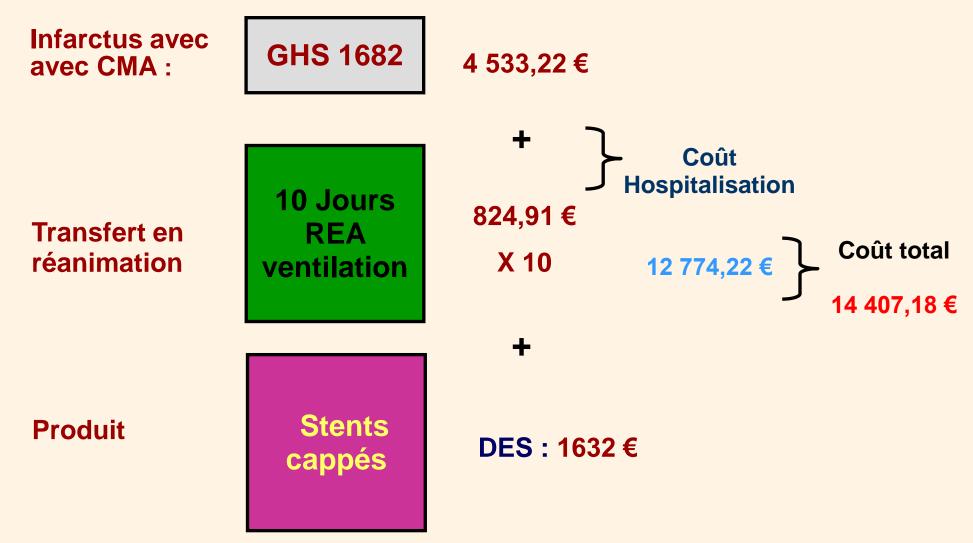
GHS 171

global facturé
par
+ l'établissement
419,58 € 6 411,82 €

Montant

X3

T2A – GHS + Paiements en Sus : Produits Médicaux Implantables [2006]



T2A – GHS+ paiement en sus – Médicaments : exemple chimiothérapie ambulatoire [2006]

- 1 séance de chimiothérapie ambulatoire: GHS
 8300 (∀ le produit utilisé) ⇔ 419,93 €[2006]/ séance
- Exemple du CBNPC en 1ère ligne:
- Prix du pemetrexed 1 cure tout les 21 jours 2144 € [2006]



Coût du produit > 419,93 €, donc non couvert par la rémunération de l'activité de chimiothérapie

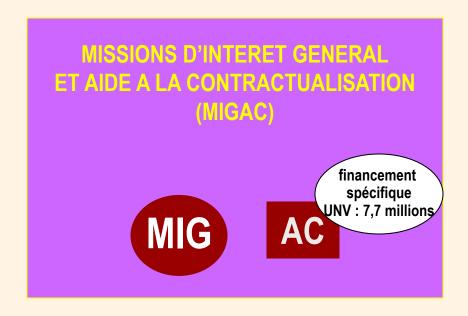


Ce produit est donc remboursé en plus

T2A - Un Financement sur Dotation Annuelle

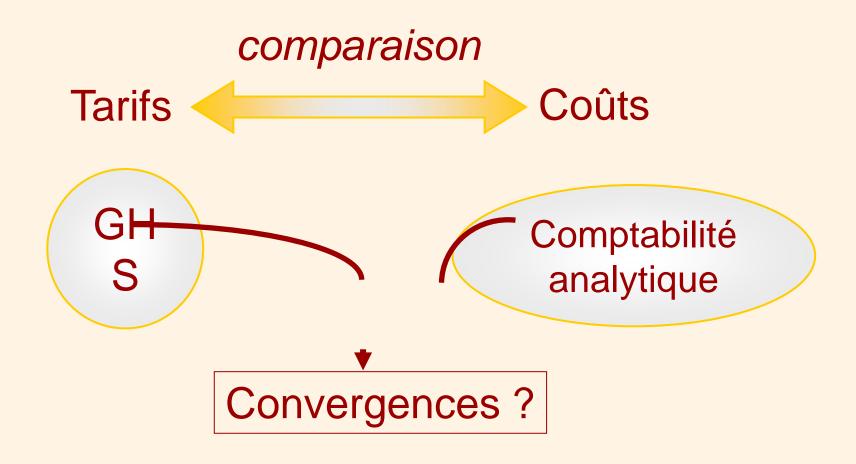
UNE MODALITE DE FINANCEMENT NE RELEVANT PAS D'UNE TARIFICATION A L'ACTIVITE : L'ENVELOPPE « MIGAC »

(Missions d'Intérêt Général et Aide à la Contractualisation)



LA CONFRONTATION DES TARIFS ET COÛTS DE REVIENT

T2A – Application à la Comptabilité Hospitalière



"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 : Le coût de quoi ?

Son contenu : Des 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:



Directeur financier :



Agence Régionale de Santé



Sécurité sociale :



Système de soins :



Coût d'acquisition ou d'usage du médicament

Groupes homogènes de malades (Comptabilité analytique-GHM-ENC)

Groupes homogènes de séjour (GHS)+ Forfaits + MO

Groupe homogénes de séjours +Forfaits+MO +Ville + ID journalières

Dépenses remboursées +Reste à charge

R Launois. « Un coût, des coûts, quels coûts ? » Journal d'Economie Médicale 1999; 17, (1): 77-82.

Le Coût de Quoi?

- Médicaments :
 - Molécules onéreuses facturées en sus
 - Traitement concomittants
- Soins hospitaliers :
 - Administration Chimiothérapie
 - Autres hospitalisations
 - Examens et consultations externes
- Soins ambulatoires :
 - Consultations médicales
 - Auxiliaires
 - Autres prescriptions
- Transports sanitaires

Consommation totale de soins et biens médicaux: CSBM

Le Coût de Quoi ? (suite)

- Un ACTE : une journée ,une entrée , un examen
- Une FONCTION : la délivrance du médicament, la restauration, le personnel
- Une ACTIVITE : celle des services médico-technique ou cliniques
- Un PRODUIT : un séjour GHS
- Un ÉTAT CLINIQUE : induction, OR, SD, PD à l'hôpital et en ville
- Une INDICATION THÉRAPEUTIQUE : traitement administré, traitements des complications thérapeutiques, traitements des complications pathologiques à l'hôpital et en ville
- Une PRISE EN CHARGE : suivi de tous les groupes thérapeutiques à l'hôpital et en ville pour tout les états cliniques

Un Coût avec Quel Contenu?

Le choix d'un contenu dépend de la finalité de l'étude Pourquoi cherche-t-on à mesurer le coût ? 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

120

Des Composants à Géométrie Variable

Dépenses directement attribuables au patient

- Consommables, prothèses, implants
- Médicaments (nominatifs)
- Sang
- Molécules onéreuses + DMI

Dépenses semi-directement attribuables

- Laboratoires, imagerie, explorations fonctionnelles
- Actes extérieurs
- Anesthésie, bloc
- Urgence, SMUR
- Radiothérapie

121

Des Composants à Géométrie Variable

Dépenses ventilées à la journée

- Salaires (médecins, soignants, autres)
- Consommables médicaux
- Médicaments (reliquats)
- Amortissement, maintenance
- Logistique médicale
- Logistique générale
- Restauration, blanchisserie

Coût Différentiel de la Décision : Accepter de Raisonner en Coûts Partiels

- L'analyse des répercussions financières d'une décision enregistre les dépenses nouvelles qui apparaissent après que celle-ci ait été prise par rapport aux charges qui auraient été constatées si elle ne l'avait pas été
- De telles répercussions concernent aussi bien des coûts directs ou des coûts indirects, des charges variables ou des charges fixes.

Analyser Les GHMs En Utilisant la Comptabilité Analytique

Consommables
Médicaux
Médicaments
Labo, imagerie

Postes Directement attribuables

Logistique générale Blanchisserie

Ventilation à la journée

Personnels Médicaments

Ventilation à la journée

Master Faculté de Pharmacie Paris V

PL-7158/09-Robert Launois

124

VOCABULAIRE DES COÛTS

Coût Direct

Le coût direct est constitué des charges qui étant propres à un protocole ou à un centre de responsabilité, peuvent lui être affectées directement sans arbitraire ni ambiguïté.

Par opposition, sont considérées comme indirectes les consommations qui sont communes à plusieurs protocoles ou à plusieurs centres de responsabilité et qui restent indivises au niveau de la saisie.

Coût Variable

Le coût variable total d'un protocole thérapeutique est égal à la variation des charges que provoque son introduction dans les différents centres de responsabilité concernés par sa mise en œuvre.

Les autres charges qui ne varient pas directement en fonction du protocole choisi sont qualifiées de coûts fixes.

Coût Complet

Le coût complet est indifféremment égale à la somme des coûts directs et indirects ou des coûts quasi-complets (frais de structure exclus) et des dépenses d'immobilisation.

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.

129

Des Coûts Estimés à Quel Horizon?

- 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

REVALORISATION / ACTUALISATION

Inflation

- L'inflation est un processus cumulatif d'augmentation du niveau moyen des prix. Le taux d'inflation est le pourcentage d'augmentation des prix d'une année sur l'autre
- Pour les prix qui augmentent au même rythme que l'indice général des prix à la consommation, on peut utiliser les tables de l'INSEE
- Pour les prix qui augmentent plus vite que l'indice général des prix à la consommation, notamment en milieu hospitalier, on utilisera l'indice d'évolution du coût des facteurs à l'hôpital
- Pour les salaires on utilisera l'indice d'évolution des salaires horaires ou mensualisés

Revalorisation: Un Exemple

Supposez que vous disposiez d'une information publiée en 1993 au terme de laquelle le coût d'une neutropénie fébrile sévére hospitalisée s'élevait en euros 93 à €1,531. Comment peut on revaloriser cette somme pour calculer son coût en euros 2010 ?

Index:

```
> 1993 (année de base) =100
```

≥ 2010 = 242,7

C(2010) = €1,531 * 242,7 / 100 = € 3,716

Actualisation

- Beaucoup de décisions prises aujourd'hui, n'entraînent des conséquences qu'à terme.
- Il est donc nécessaire de disposer d'un outil qui permette de comparer les conséquences d'une décision lorsque celles-ci apparaissent à des moments différents du temps, même en l'absence de dépréciation monétaire.

Les Fondements de l'Actualisation

- La justification de l'actualisation repose sur deux principes :
 - La préférence pour le temps : la plupart des gens sont disposer 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 des interêts correspondants

Valeur Actuelle d'un Paiment Futur

Soit un échéancier de dépenses prévisionnelles C₁, C₂, ..., 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)

Intérêt comparatif de Deux Projets

ANNEE	PROGRAMME PREVENTIF (A)	PROGRAMME CURATIF (B)
1	5	15
2	10	10
3	15	4
BénéficeTotal sans actualisation	30	29

Programme A > Programme B

Valeur Actualisée

La comparaison des Programmes A and B, fondée sur la valeur actuelle de leurs bénéfices actualisés inverse le classement :

$$VA_A = 5/(1,05) + 10/(1,05)^2 + 15/(1,05)^3 = 26,79$$

$$VA_B = 15/(1,05) + 10/(1,05)^2 + 4/(1,05)^3 = 26,81$$

$$VA_B > VA_A$$

Controverses

Il est impératif d'actualiser, MAIS:

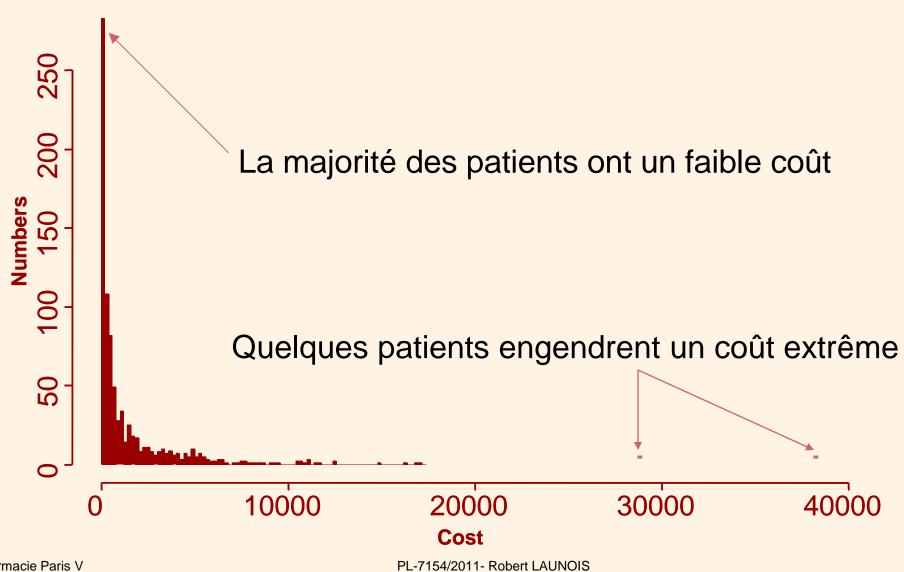
- Quel taux d'actualisation faut-il choisir ?
- Doit-on actualiser à la fois les coûts et l'efficacité ?
- Faut-il actualiser les coûts et l'efficacité en utilisant le même taux d'actualisation ?
- Réponses: Il convient d'actualiser au même taux de 4% [lebègue 2005] les coûts et les résultats si horizon temporel < à 30 ans</p>

DU Faculté de Pharmacie Paris V PL-11 137-Robert Launois 139

ANALYSE STATISTIQUE

Méthode de Comparaison des Coûts

La particularité de la distribution des coûts



Master Faculté de Pharmacie Paris V

Quels Sont les Tests à Utiliser en Première Intention?

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	

ACE sur Données Individuelles

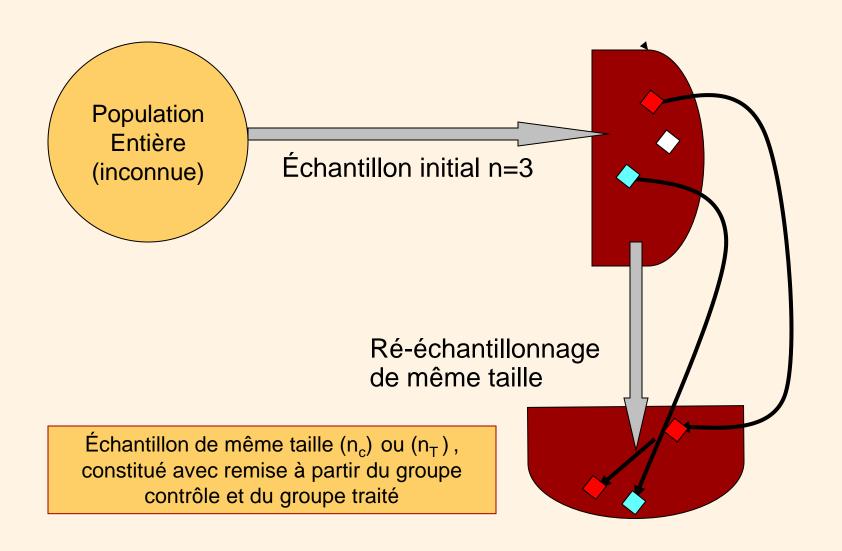
Deux groupes indépendants



Groupe Traité

Patient	(Coût, Effet)	Patient	(Coût, Effet)
1	(C_c^1, E_c^1)	1	(C_T^1, E_T^1)
2	(C_c^2, E_c^2)	2	(C_T^2, E_T^2)
3	(C_c^3, E_c^3)	3	(C_T^3, E_T^3)
•		•	
n _c	(C_c^n, E_c^n)	n _T	(C_T^n, E_T^n)
Moyenne de l'échantillon :	$(\overline{C}_{c'}, \overline{E}_{c})$	Moyenne de l'échantillon	$(\overline{C}_{T}^{T},\overline{E}_{T})$

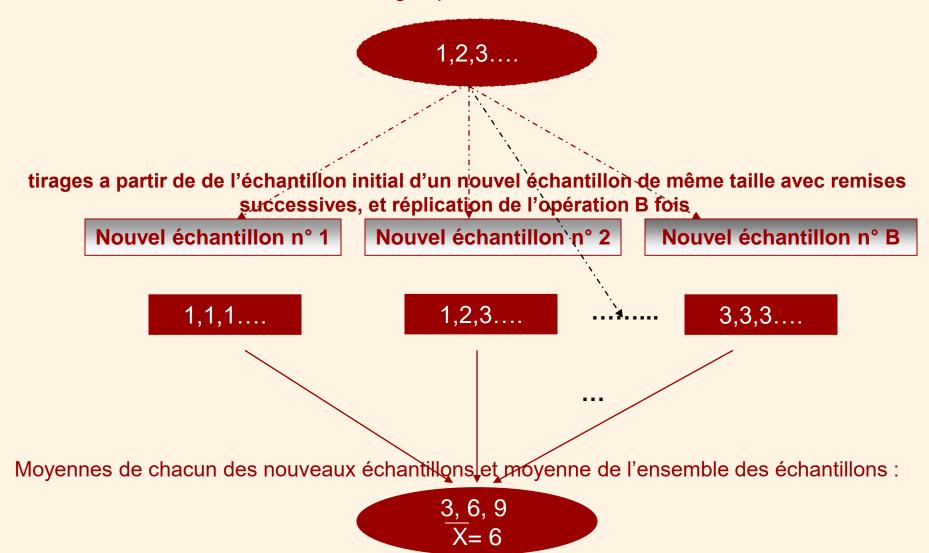
Principe du Ré-échantillonnage



145

Illustration Numérique n=3

Nb Observations dans l'échantillon initial groupe contrôle :



Intervalle de Confiance : le Bootstrap

La technique comporte quatre étapes :

- 1. Tirages aléatoires avec remises successives de n individus appartenant au groupe contrôle (C) et calcul du coût moyen et de l'efficacité moyenne de ce premier échantillon reconstitué
- Tirages aléatoires avec remises successives de n individus appartenant au groupe traité (T) et calcul du coût moyen et de l'efficacité moyenne de ce deuxième échantillon reconstitué
- 3. Calcul par différence du ratio coût efficacité différentiel entre les deux groupes ré-échantillonnés
- Répétition de l'opération B fois pour obtenir une estimation de la distribution de C_c et C_T; E_c et E_T de leur différences avec leur IC

Les Acteurs de la Démarche d'Efficience



Chef d'orchestre des établissements de soins.

Ne peut rien faire sans ses deux fidèles lieutenants, le Pharmacien Hospitalier et le médecin DIM.

Pharmacien



Responsable des achats des produits de santé: négociation des prix et des remises, CMP ...

A la tête du COMEDIM : référencement des produits, le contrat de bon usage, molécules onéreuses, rétrocession ...



Responsable de l'interaction avec les payeurs / financeurs. Il est à l'origine des recettes de l'établissement et des évaluations économiques des traitements.

Lien essentiel avec le corps médical ...

Les Acteurs de Démarche d'Efficience

Le prescripteur A l'origine des éléments suivants :

- ☐ la durée du séjour du malade,
- les prescriptions de médicaments inclus dans la GHS (et surtout les produits chers mais non onéreux et donc non remboursés en sus du GHS),
 - les prescriptions d'examens complémentaires (radiologiques et biochimiques inclus dans les GHS),
- les prescriptions d'explorations fonctionnelles (considérées dans le GHS),
- la codification au lit du malade (et donc les recettes),

devrait travailler en très grande collaboration avec le pharmacien et le DIM.

Prochain cours: Les simulations