

39èmes Journées des Economistes de la Santé Français (JESF)

30 novembre 2017

Most important barriers and facilitators of HTA usage in decision-making in Europe

Cheung, K.L.^{1,2,6}, Evers, S.M.A.A.¹, de Vries, H.², Levy, P.³, Pokhrel, S.⁴, Jones, T.⁴,
Danner, M.⁵, Wentlandt, J.⁵, Knufinke, L.⁵, Mayer, S.⁶, Hiligsmann, M.¹

Discutant Robert LAUNOIS, PhD.
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 : launois.reesfrance@wanadoo.fr – Web : www.rees-france.com



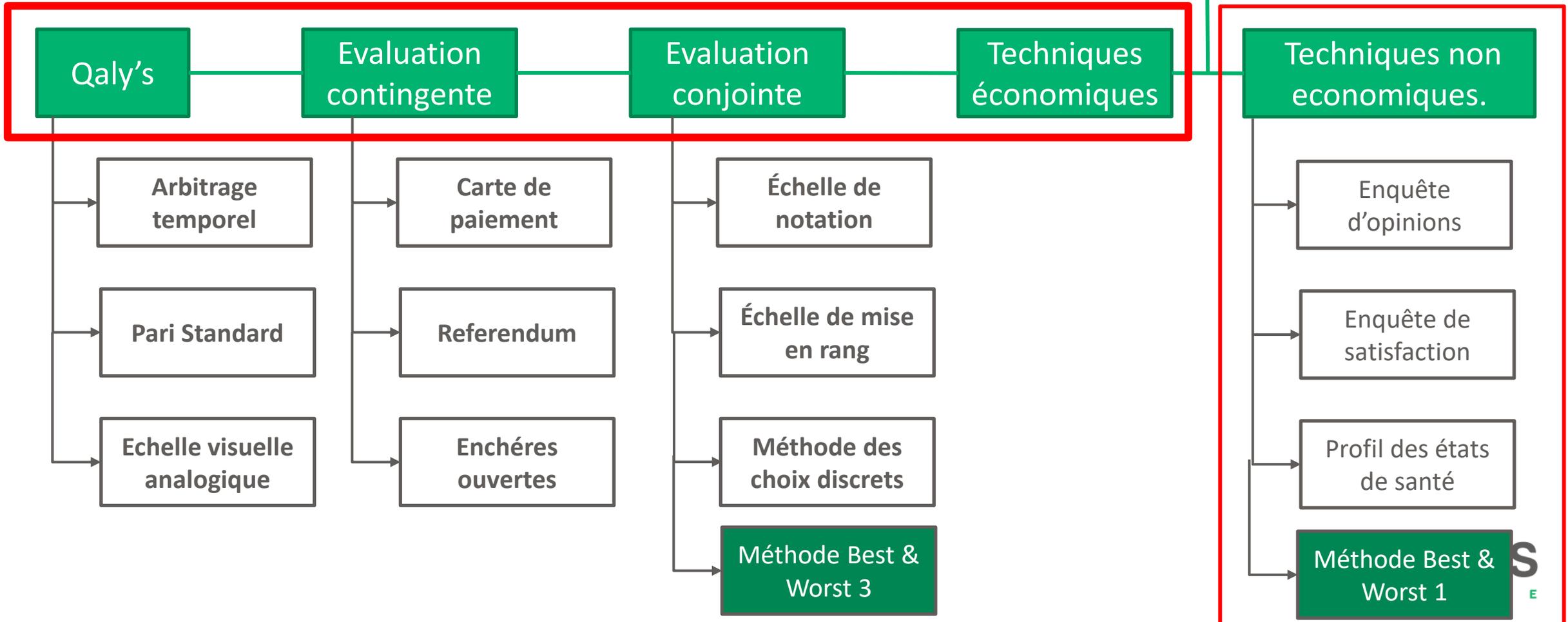


METHODES

Quelle Méthode choisir pour Identifier les obstacles et les éléments favorables à la diffusion de l'ETS

3

Objectif : savoir quels sont les éléments clés pour les décideurs et les chercheurs



Quelques éléments de révision.....

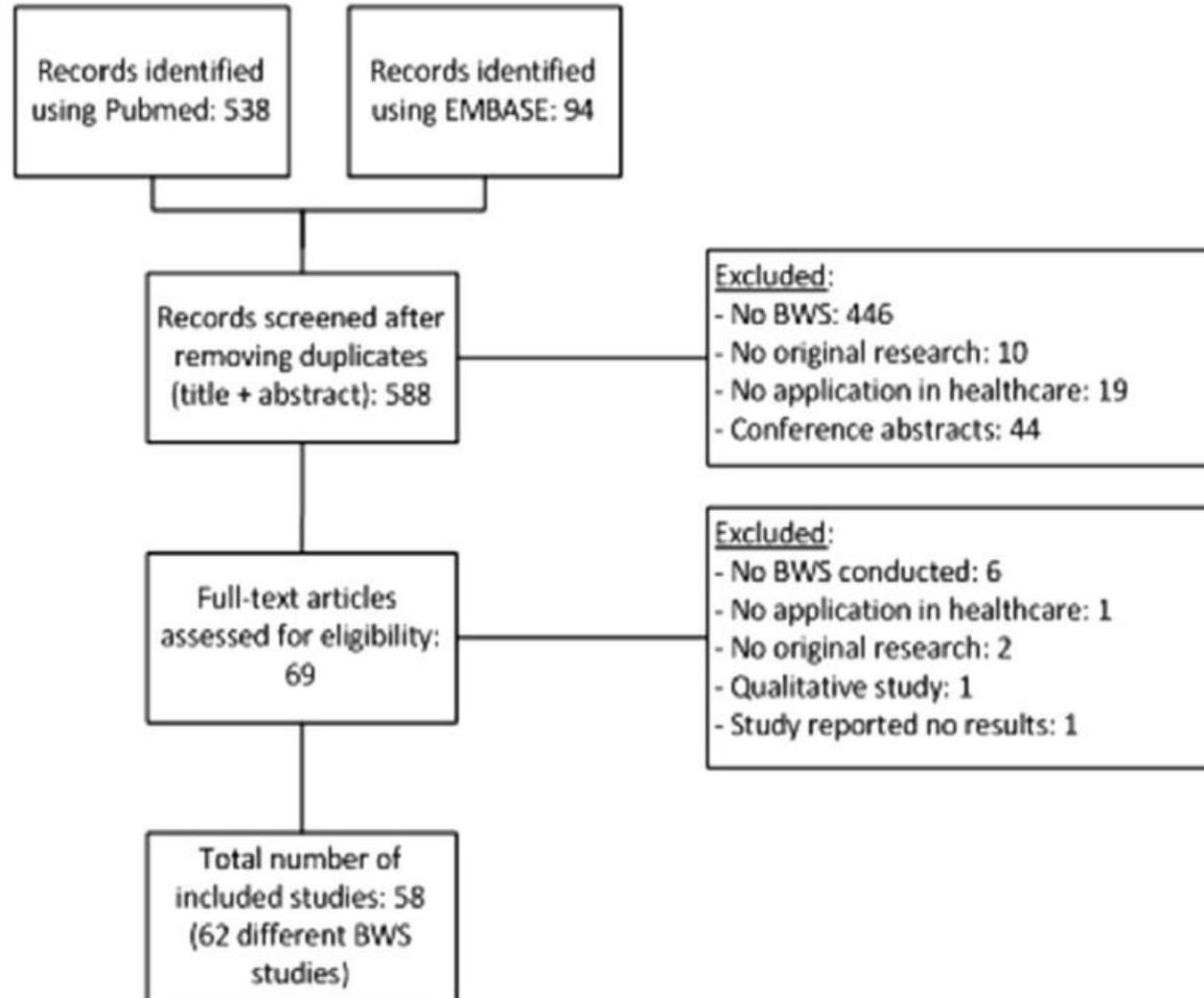
- ❖ **La méthode d'évaluation contingente (MEC).** La révélation des préférences des enquêtés est obtenue sur un marché **contingent c'est-à-dire un marché fictif**, construit grâce aux réponses à un questionnaire permettant d'identifier les **consentements globaux** à payer/à recevoir (CAP ou CAR).
- ❖ **L'analyse conjointe (AC)**, une technique marketing, **décompose** chaque bien en une somme de caractéristiques. Cette technique cherche à explorer les préférences des acteurs impliqués dans les décisions en leur demandant d'attribuer aux caractéristiques qui les définissent une **note** ou un **rang** beaucoup plus qu'à mesurer l'utilité partielle accordée à chacune d'entre elles.
- ❖ **La méthode des choix discrets (MCD)**, comme dans l'analyse conjointe, considère que l'utilité d'une intervention est liée non pas à la nature même de celle-ci, mais aux caractéristiques qui la définissent. Les enquêtés doivent alors **choisir** entre divers scénarios qui les combinent différemment.
- ❖ **La méthode de classement du meilleur au pire (CMP)** L'enquêté reçoit une série d'épreuves de choix similaires auxquelles il doit répondre, qui comporte à chaque fois une série d'attributs. Parmi ces listes successives d'attributs, le répondant doit choisir celui qui est le **plus important** pour lui et celui qui est le **moins important**.

Le Best Worst Scaling :

Un couteau suisse multifonctions

- La méthode se propose d'appréhender le système de valeurs qui sous-tend les choix individuels afin d'identifier les priorités des acteurs du système de soins [patients, professionnels de santé, décideurs, chercheurs]
- Des épreuves à questions multiples, tirées d'une liste préalablement établies, sont présentées aux personnes enquêtées qui doivent y répondre en indiquant selon le format adopté, :
 - Cas 1 (cas objet):** Le critère de jugement qui leur semble le plus ou le moins important pour se prononcer sur un objet de choix, [obstacles ou facteurs facilitants, noms de marque ou nature des enjeux sociétaux]
 - Cas 2 (cas profil):** le profil des niveaux de réponses qui leur semblent le plus ou le moins importants d'évoquer dans le cadre d'un critère de jugement (d'un attribut) pré-déterminé
 - Cas 3 (cas multi-profil):** la combinaison des critères de jugement et des niveaux de réponses qui leur semblent le plus ou le moins importants de retenir [choix multi attributs multi niveaux]
- En pratique, toutes les épreuves à questions multiples générées ne peuvent pas être intégrées dans le questionnaire d'où la nécessité d'élaborer un plan d'expérience.

Cheminement du processus de sélection des articles consacrés à la technique Best and Worst



* Kei Long Cheung et al., 2016, Using Best–Worst Scaling to Investigate Preferences in Health Care

Tableau résumé des données colligées

| Studies ^a | Country/ region | Year | N | Number of factors | Number of choice tasks | Number of factors per choice task | PREFS checklist scores ^b | | | | | Total PREFS score |
|--------------------------|-------------------------|------|-----|----------------------|---------------------------|---|--|---|---|---|---|-------------------------|
| | | | | | | | P | R | E | F | S | |
| BWS object case | | | | | | | | | | | | |
| Louviere and Flynn [32] | Australia | 2010 | 204 | 15 | 15 | 8 | 1 | 0 | 1 | 1 | 1 | 4 |
| Kurkjian et al. (1) [33] | USA | 2011 | 204 | 11 | NR | 4 | 1 | 0 | 0 | 1 | 0 | 2 |
| Kurkjian et al. (2) [33] | USA | 2011 | 164 | 11 | NR | 4 | 1 | 0 | 0 | 1 | 0 | 2 |
| Gallego et al. [34] | International | 2012 | 120 | 11 | 11 | 5 | 1 | 0 | 1 | 0 | 1 | 3 |
| Marti [35] | Switzerland | 2012 | 376 | 15 | 16 | 11 | 1 | 0 | 1 | 0 | 1 | 4 |
| Mazanov et al. [36] | Australia | 2012 | 168 | 11 | 11 | 5 | 1 | 0 | 1 | 1 | 1 | 3 |
| Silverman et al. [37] | USA | 2013 | 367 | 39 | NR | NR | 1 | 0 | 0 | 1 | 1 | 3 |
| Cozmuta et al. [38] | USA | 2014 | 118 | 23 | 20 | 5 | 1 | 0 | 1 | 1 | 1 | 4 |
| Ejaz et al. [39] | USA | 2014 | 214 | 16 | 16 | 6 | 1 | 0 | 1 | 1 | 1 | 4 |
| Hauber et al. [40] | USA, Germany | 2014 | 803 | 10 | 5 | 5 | 1 | 0 | 1 | 1 | 1 | 4 |
| Hofstede et al. (1) [41] | Netherlands | 2014 | 246 | 53 | NR | 6 | 1 | 0 | 0 | 0 | 1 | 4 |
| Hofstede et al. (2) [41] | Netherlands | 2014 | 155 | 35 | NR | 6 | 1 | 0 | 0 | 0 | 1 | 4 |
| Torbica et al. [42] | West Africa | 2014 | 89 | 11 | 11 | 6 | 1 | 0 | 1 | 1 | 1 | 4 |
| van Til et al. [43] | Netherlands, Germany | 2014 | 15 | 14 | 12 | 4 | 1 | 1 | 0 | 1 | 0 | 3 |

Un cas type : estimation de l'obstacle le moins et le plus important au développement de l'ETS en France

8

| OBSTACLE LE MOINS IMPORTANT | | OBSTACLE PLUS IMPORTANT |
|-----------------------------|---|-------------------------|
| X | L'absence de mesures incitatives appropriées, pour la mise en œuvre d'interventions coût-efficaces | |
| | Un manque de soutien, au sein des organismes de décision, pour l'utilisation de la HTA | |
| | 'Une qualité insuffisante, des résultats des études de HTA : qualité ne répondant pas aux exigences scientifiques | X |
| | Le manque de ressources financières, pour réaliser des études pertinentes de HTA | |
| | Un soutien juridique insuffisant. Absence de cadre juridique ou législatif pour l'utilisation du HTA | |

Instruments d'analyse

| Item | Category | BWS object case | | BWS profile case | | BWS multi-profile case | |
|--------------------------------|---|-----------------|----|------------------|----|------------------------|----|
| | | <i>N</i> | % | <i>N</i> | % | <i>N</i> | % |
| Analytical method ^a | Hierarchical Bayes | 7 | 21 | 1 | 3 | 0 | 0 |
| | Simple summary statistics (best-minus-worst summary statistics) | 11 | 32 | 8 | 24 | 0 | 0 |
| | MNL model | 4 | 12 | 16 | 47 | 5 | 63 |
| | Weighted least squares | 2 | 6 | 5 | 15 | 1 | 0 |
| | Latent class analysis | 3 | 9 | 1 | 3 | 0 | 13 |
| | Max diff scaling | 2 | 6 | 0 | 0 | 2 | 0 |
| | Ordered logit | 3 | 9 | 0 | 0 | 0 | 25 |
| | Random parameter logit model | 0 | 0 | 1 | 3 | 0 | 0 |
| | Qualitative; thinking aloud procedure | 2 | 6 | 0 | 0 | 0 | 0 |
| NR | 7 | 21 | 1 | 3 | 0 | 0 | |

Algorithme de scorage

- ❖ Un « **score simple** » peut être calculé en faisant la différence entre le nombre de fois où un attribut est jugé comme étant le plus important moins le nombre de fois où les répondants le jugent comme étant le moins important divisé par le total des réponses obtenus sur l'ensemble des répondants * le nombre d'attributs sur lesquels ils ont fait l'objet d'une interrogation.
- ❖ Un **score « d'importance relative »** des attributs les uns par rapports aux autres relatif » est obtenue en transformant l'échelle d'intervalle précédente en échelle de rapport grâce à une standardisation par rapport au score le moins élevé (Marley & Louviere, 2005).



RESULTATS

Classement des obstacles au développement de l'ETS en France par ordre d'importance

| | RIS (SD) | Ranking | | RIS (SD) | Ranking |
|--|-------------|---------|--|-------------|---------|
| No explicit framework for decision making process | 8.02 (4.67) | 1 | Lack of credibility | 4.31 (3.73) | 12 |
| No availability of relevant HTA research* Games-Howell: DE,FR,UK>NL | 7.56 (4.55) | 2 | Lack of support, within the organisation* Tukey HSD: NL>DE | 4.17 (3.92) | 13 |
| Limited generalizability | 7.50 (3.54) | 3 | No guidelines | 3.66 (3.44) | 14 |
| Lack of consensus between HTA findings | 6.15 (3.78) | 4 | Insufficient legal support* Games-Howell: NL>UK | 3.26 (3.91) | 15 |
| No access to relevant HTA research* Games-Howell: DE,FR,UK>NL | 6.12 (4.51) | 5 | Lack of financial resources | 3.25 (3.71) | 16 |
| Uncertainty | 6.08 (4.33) | 6 | Absence of appropriate incentives* Tukey HSD: NL>DE,FR,UK | 3.24 (3.27) | 17 |
| Insufficient quality* Games-Howell: DE>NL | 6.00 (4.16) | 7 | Inadequate presentation format | 2.93 (3.55) | 18 |
| Lack of qualified human resources | 5.93 (4.52) | 8 | Insufficient support by stakeholders* Games-Howell: NL > UK,DE,FR | 2.70 (3.22) | 19 |
| Lack of awareness | 5.34 (4.08) | 9 | Lack of contact and interaction* Games-Howell: NL,UK,DE>FR | 1.72 (2.27) | 20 |
| Lack of transparency of HTA research findings | 5.29 (3.20) | 10 | Lack of longstanding relation* Games-Howell: NL,UK>FR | 1.25 (2.23) | 21 |
| Lack of timeliness* Games-Howell: UK>DE | 4.55 (4.21) | 11 | Absence of policy networks* Games-Howell: NL>FR | 0.98 (1.47) | 22 |

Classement des éléments moteurs favorisant le développement de L'ETS en France

| | RIS (SD) | Ranking | | RIS (SD) | Ranking |
|--|-----------------|---------|---|----------------|---------|
| Availability of explicit framework for decision making process | 10.72 (5.68) | 1 | Sufficient support, within the organisation | 5.06 (4.36) | 11 |
| Sufficient quality* Tukey HSD: DE>NL | 9.94 (4.37) | 2 | Appropriate incentives* Tukey HSD:NL>DE | 4.22 (4.69) | 12 |
| Availability to relevant HTA research* Tukey HSD: DE,UK,FR>NL | 8.61 (4.49) | 3 | Sufficient legal support* Games-Howell:NL,DE>UK | 4.21 (5.58) | 13 |
| Higher transparency of HTA research findings | 7.25 (4.23) | 4 | Clear presentation format | 3.86 (3.82) | 14 |
| Access to relevant HTA research* Tukey HSD: DE,UK,FR>NL | 6.76 (3.71) | 5 | Sufficient financial resources | 3.75 (3.85) | 15 |
| Sufficient qualified human resources | 6.56 (4.74) | 6 | Sufficient support by stakeholders* Games-Howell:NL>DE,UK,FR | 1.90 (2.80) | 16 |
| Sufficient awareness | 6.49 (4.45) | 7 | Creation of policy networks * Games-Howell:NL,DE>UK | 1.31 (1.59) | 17 |
| Availability of guidelines* Tukey HSD: FR>NL,DE | 6.32 (4.11) | 8 | Improving longstanding relation* Games-Howell:NL,DE,UK>FR | 1.29 (2.65) | 18 |
| Sufficient credibility | 5.30 (5.05) | 9 | More personal contact and interaction* Games-Howell:NL,DE,UK>FR | 1.21 (3.14) | 19 |
| Appropriate timing | 5.23 (5.86) | 10 | | | |

Quels enseignements ?

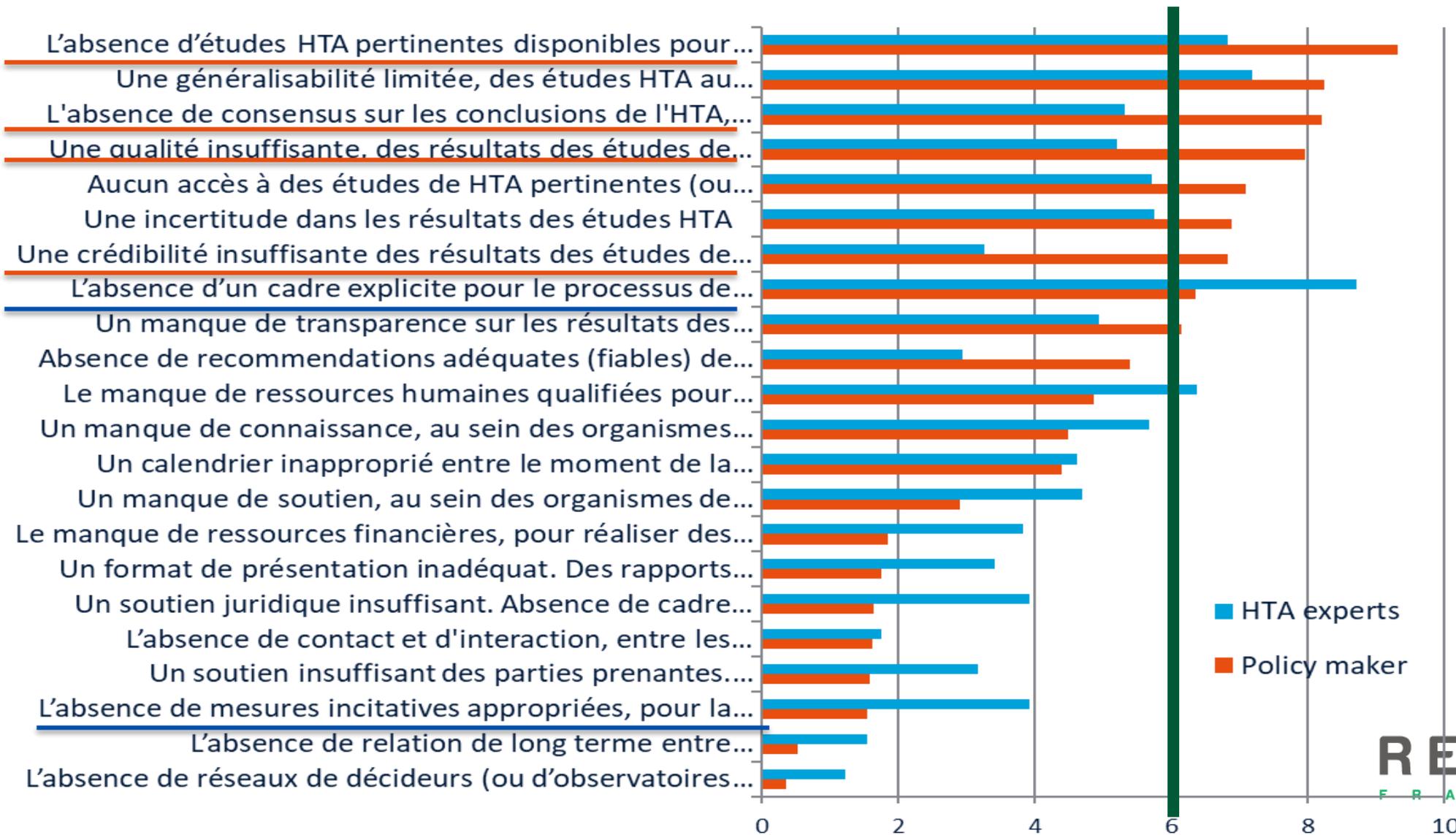
❖ Méthodologiques:

- Un outil d'élicitation très important pour comprendre les attentes des acteurs afin de pouvoir mieux y répondre;
- L'objet de recherche est insuffisamment défini: HTA=ASMR ou HTA =ICER?
- Le choix des attributs n'ayant pas fait l'objet d'un consensus international, rien ne dit qu'ils reflètent la réalité des contextes locaux

❖ Stratégiques et politiques:

- « Explicite framework » en N° 1 des éléments favorables, se réfère probablement aux niveaux d'ASMR: « guidelines » en N°7 se réfère probablement aux avis d'efficience. A défaut le classement de ces 2 items pourrait apparaître contradictoire. Il est cohérent que l'item « Explicite framework » soit considéré à la fois comme un élément moteur lorsqu'il existe et comme un des principaux freins lorsqu'il n'existe pas.
- L'isolement de la HAS par rapport à son environnement est considéré à fois comme un des facteurs facilitants qui soit le moins important dans le développement de l'ETS en France mais en même temps comme l'un des obstacles dont l'influence négative sur le développement de l'ETS est le moins important. Est-ce à dire que son influence dans l'un et l'autre sens est très marginale?

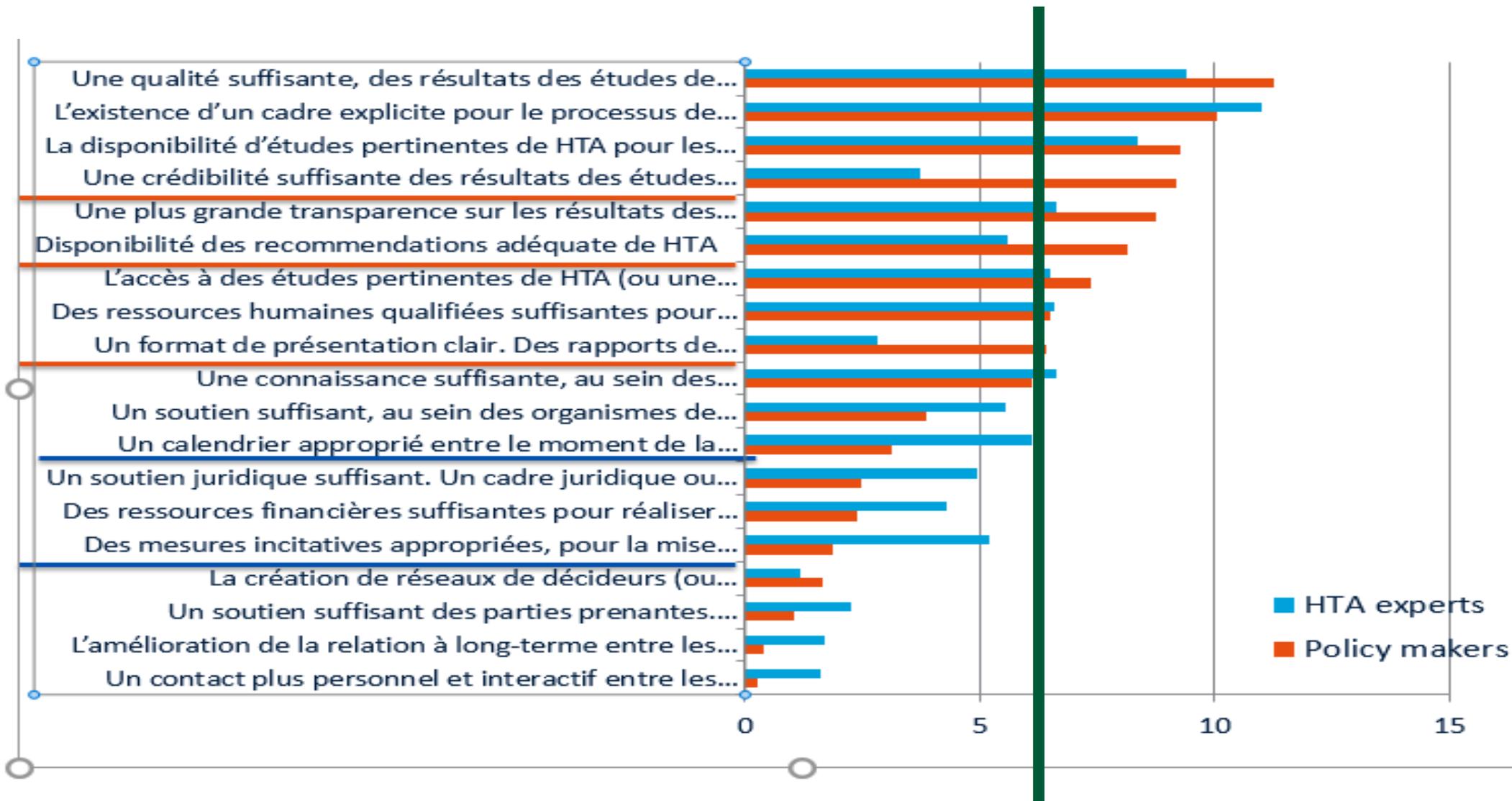
Les points de vue des pouvoirs publics et des chercheurs sur les facteurs qui freinent l'emploi de L'ETS



Une méfiance incontestable des pouvoirs publics vis-à-vis des études

- ❖ **Du côté des pouvoirs publics** : on relève une méfiance généralisée 7 items sur 22 ont un score d'importance relative qui dépasse 6 :
 - les études pertinentes disponibles sont rares(1),
 - leurs conclusions ne sont pas généralisables (2)
 - leurs conclusions font débat (3),
 - leur qualité laisse à désirer (4),
 - y avoir accès est toujours difficile (5),
 - la façon dont les résultats ont été obtenus (6) manque de transparence,
 - au total la crédibilité des études présentées (7) suscite un énorme doute
- ❖ **A l'inverse les experts** font preuve de beaucoup plus d'optimisme : 4 items sur 22 seulement, ont un score d'importance relative qui dépasse 6. Le plus élevé d'entre eux pour lequel l'absence d'un cadre explicite dans le processus de décision constitue un obstacle important n'est que le reflet des regrets que suscite chez les chercheurs, l'absence de doctrine du CEPS quand au rôle des AME dans la fixation du prix avec notamment l'absence d'un seuil (8)

Les points de vue des pouvoirs publics et des chercheurs sur les facteurs qui favorisent l'emploi de L'ETS



Le narcissisme assumé des experts qui ressentent malgré tout le besoin d'améliorer leur communication

18

Les experts ETS insistent

- (1), sur la qualité l'existence de travaux disponibles
- (2) l'existence d'un cadre explicite pour la prise de décision
- (3), la crédibilité des résultats
- (4), une plus grande clarté dans les conclusions des rapports HTA
- (5) la rédaction explicite de recommandations
- (6) l'accès à des travaux HTA pertinents
- (7), un format de présentation clair (8)

Les administratifs paradoxalement attachent

- un moindre poids à l'item « crédibilité suffisante des études » (moins participation des industriels à leur mise en place [mais de quoi parle-t-on des essais ou des études AME?]) (4)
- ils privilégient avant tout l'existence « d'un cadre juridique approprié » à la prise de décision (2)
- la mise à disposition de « rapports HTA pertinents » (3) qui répondent au problème posé sans que l'on sache comment ils doivent le faire (choix du comparateur?, choix du schéma d'étude?)

Le besoin d'un cadre explicite à la prise de décision est ressenti par tous

- » **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