

# EVALUATION MEDICO-ECONOMIQUE :

## *PRESENTATION DES RESULTATS*

*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](mailto:reesfrance@wanadoo.fr) - Web : [www.rees-france.com](http://www.rees-france.com)

# Plan du Cours

- LES DESIGNS
  - Pour la CT...
  - Pour le CEPS
  - Pour la CEESP
- 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) L'AMÉLIORATION DE LA QUALITE DES SOINS

# A la Recherche de l'Efficacité Populationnelle

L'exercice d'une médecine plus globale  
repose sur la constitution de

***Recueils d'Informations Cliniques,  
Humaines, Économiques et Sociales  
en Santé***

Dans le cadre de la **pratique médicale quotidienne**

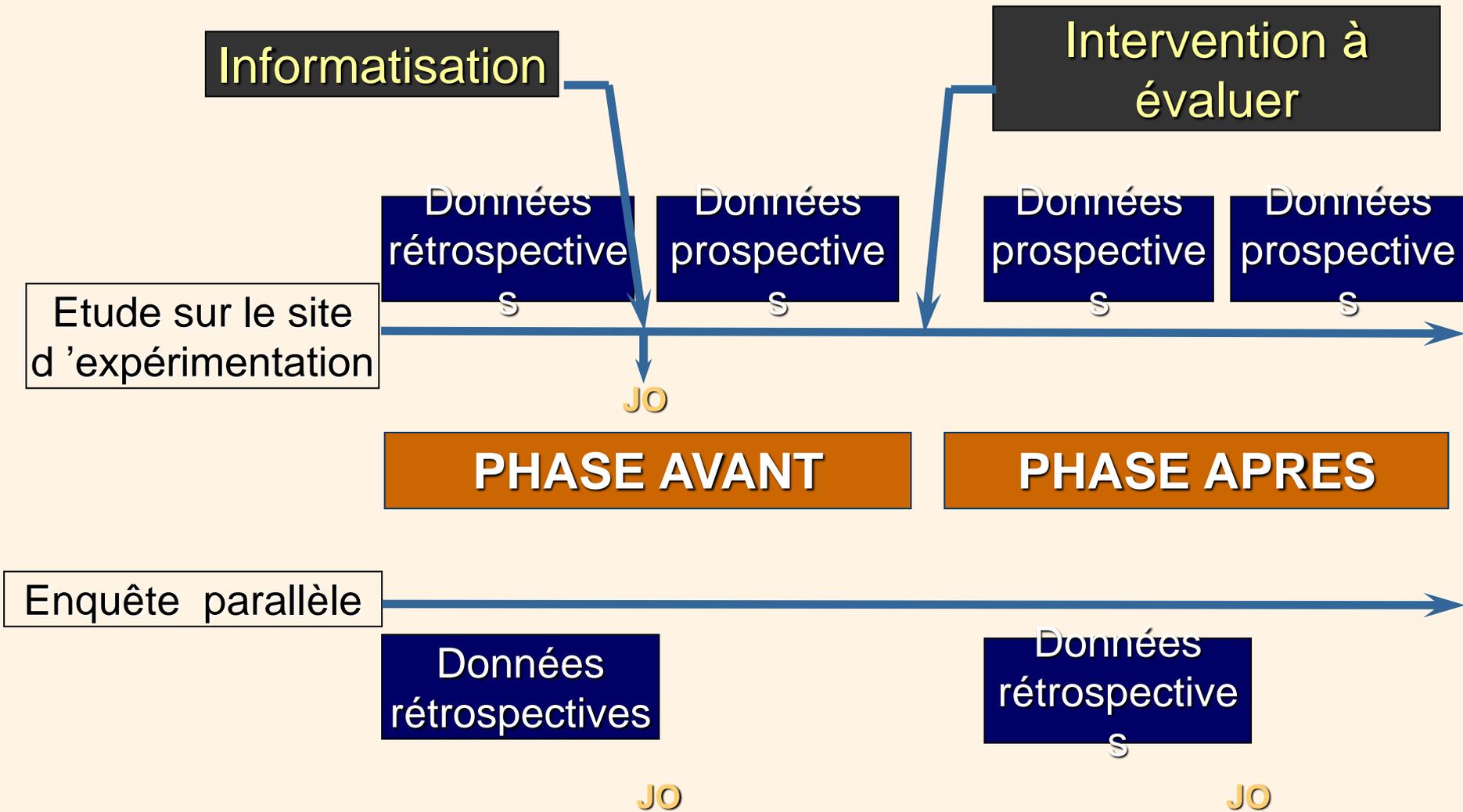
# Qualité de la Preuve dans les Études Quasi-Expérimentales

<b>TYPES D'ETUDES</b>	<b>Contrôle des facteurs de confusion</b>
Etude Après sans groupe contrôle	NON
Etude Après avec groupe contrôle	NON
Etude Avant Après sans groupe contrôle	NON
Etude Avant Après avec groupe contrôle	PARTIEL
Mesures répétées Avant Après*	PARTIEL
Séries temporelles Interrompues** sans série appariée	PARTIEL
Séries temporelles Interrompues ** avec séries appariées	OUI

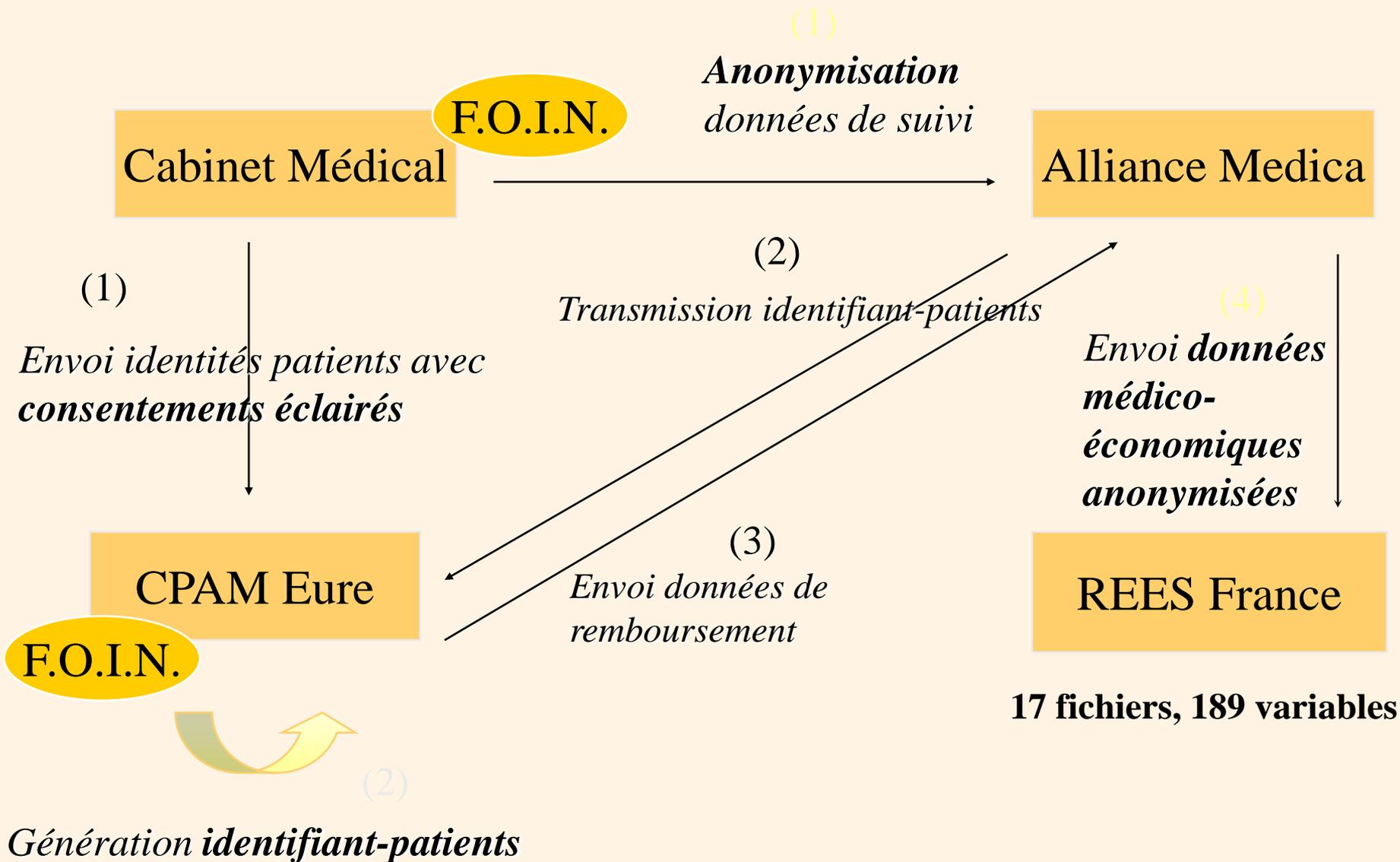
*\*moins de 6 observations Avant Après*

*\*\* plus de 6 observations Avant Après*

# Un Exemple : *Le Schéma Avant-Après Ici-Ailleurs de l'Etude RESALIS*

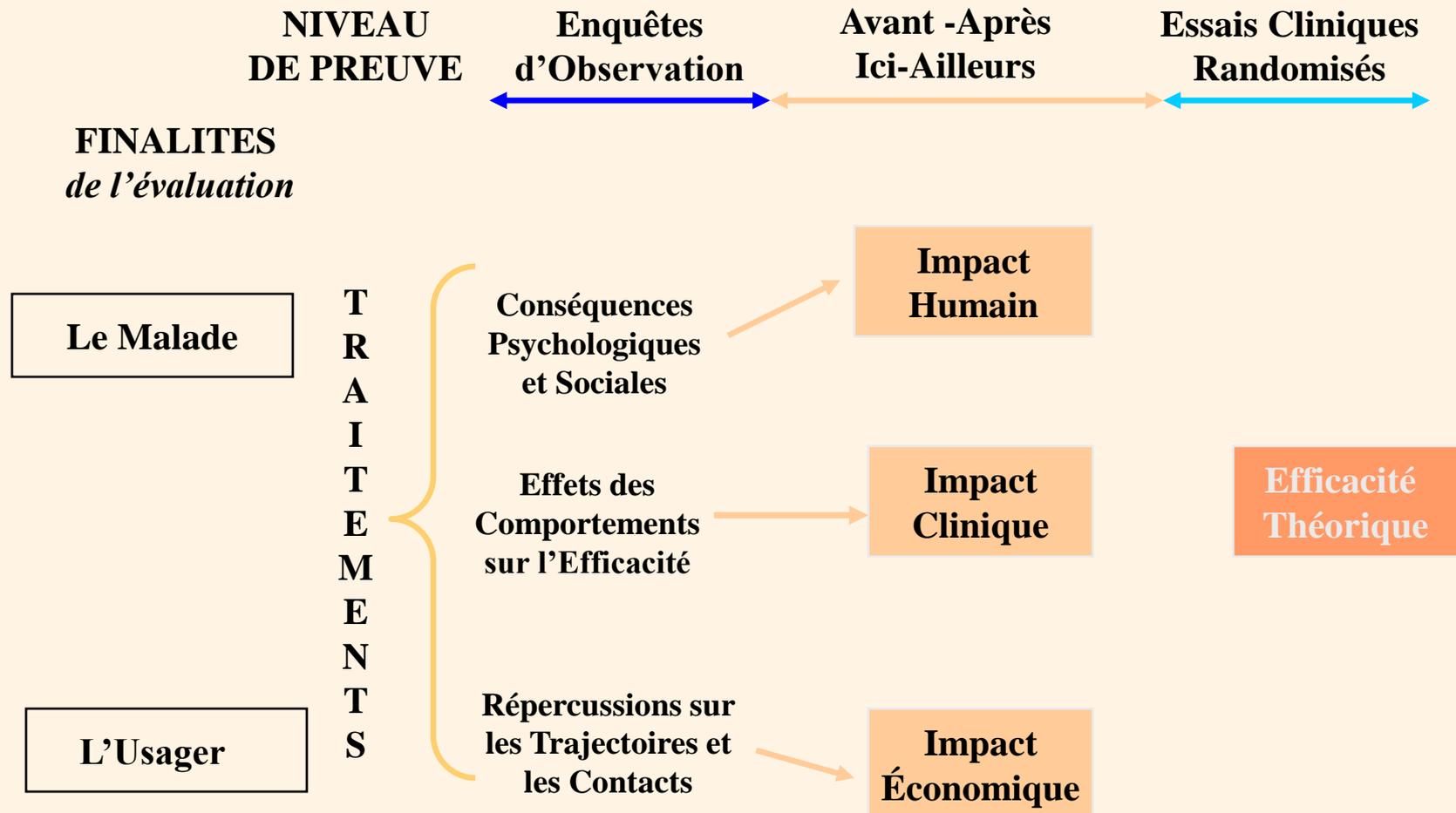


# Partager l'Information





# Privilégier le Malade et l'Usager Plutôt que la Maladie



# Sévérité de l'Asthme

## Stadification des Patients



**Stades médicamenteux**



**Stades symptomatiques**

Stades définis au moment de la consultation, en fonction des médicaments anti-asthmatiques prescrits de façon prospective

# Stades de Sévérité Médicamenteux

## Gina 1995

<b>Stade 1</b> Intermittent	Pas de traitement de fond
<b>Stade 2</b> Persistant léger	<b>Corticoïdes inhalés</b> ( $\leq 500$ $\mu\text{g}$ ) <b>ou</b> Cromone <b>ou</b> Théophylline retard <b>Si nécessaire</b> , pousser les corticoïdes jusqu'à <b>800</b> $\mu\text{g}$ <b>OU</b> Soit Beta2 LA, inhalé <b>ou</b> oral, <b>soit</b> Théophylline retard
<b>Stade 3</b> Persistant modéré	<b>Corticoïdes inhalés</b> ( <b>800</b> – <b>1 600</b> $\mu\text{g}$ ) <b>ET</b> Soit Beta2 LA, inhalé <b>ou</b> oral, <b>soit</b> Théophylline retard
<b>Stade 4</b> Persistant sévère	<b>Corticoïdes inhalés</b> ( <b>1 600</b> – <b>2 000</b> $\mu\text{g}$ ) <b>ET</b> Beta2 LA inhalé <b>et/ou</b> Beta2 LA oral <b>et/ou</b> Théophylline retard

# Stades de Symptômes

-  Les symptômes sont récupérés à chaque consultation de suivi
-  Les fréquences ont été relevées au cours du mois précédant la consultation de suivi

# Stades de Symptômes GINA 1995

Stade	Fréquence des gênes respiratoires diurnes	Fréquence des réveils nocturnes	Fréquence d'utilisation des bronchodilatateurs
Intermittent	Moins d'une fois par semaine	Moins de 2 fois par mois	Une fois par mois
Persistant léger	Plus d'une fois par semaine, moins d'une fois par jour	Plus de 2 fois par mois	Une fois par semaine
Persistant modéré	Quotidien	Plus d'une fois par semaine	Une fois par jour
Persistant sévère	Permanent	Symptômes nocturnes très fréquents	Plusieurs fois par jour
Non renseigné	Non renseignée	Non renseignée	Non renseignée

# S'assurer du Bien Fondé des Pratiques

(Première consultation de suivi)

	Stade symptomatique					
Stade médicamenteux	Non renseigné	Intermittent	Persistant léger	Persistant modéré	Persistant sévère	Tous confondus
Non renseigné	19	26	8	8	2	63
Hors recommandations	4	8	7	3	3	
Intermittent	6	9	6	-	3	45
Persistant léger	4	17	9	6	8	
Persistant modéré	5	8	3	5	1	25
Persistant sévère	2	2	2	-	2	32
		<b>Total stade symptomatique et médicamenteux connus</b>				<b>102</b>
Tous confondus	40	70	35	22	19	186

# Données Cliniques du Contrôle de l'Asthme

Critère composite basé sur les critères du consensus canadien\* :

- Symptômes diurnes
- Symptômes nocturnes
- Exacerbations de l'asthme
- Consommation de Beta2 mimétiques
- Débit expiratoire de pointe
- Arrêts de travail et absences scolaires

\* *Boulet et al.*

# Seuils de Non-Contrôle

<b>CRITÈRES</b>	<b>CONSENSUS CANADIEN</b>
Symptômes diurnes	> 6j /7 j
Symptômes nocturnes	> 1 nuit / s
Exacerbations	1 depuis la dernière consultation ou ayant motivé la consultation du jour
B <sub>2</sub> CA	> 6j /7 j
DEP	< 80 %
Arrêts de travail	Oui

# Suivi de 3 Mois Avec ou Sans Contrôle de l'Asthme

- Définition de l'état de contrôle/non-contrôle pour chacune des consultations
- Dénombrement du nombre de consultations contrôlées et non contrôlées par trimestre
- Si le nombre de consultations non contrôlées > nombre de consultations contrôlées  $\Rightarrow$  le patient est réputé non contrôlé sur le trimestre

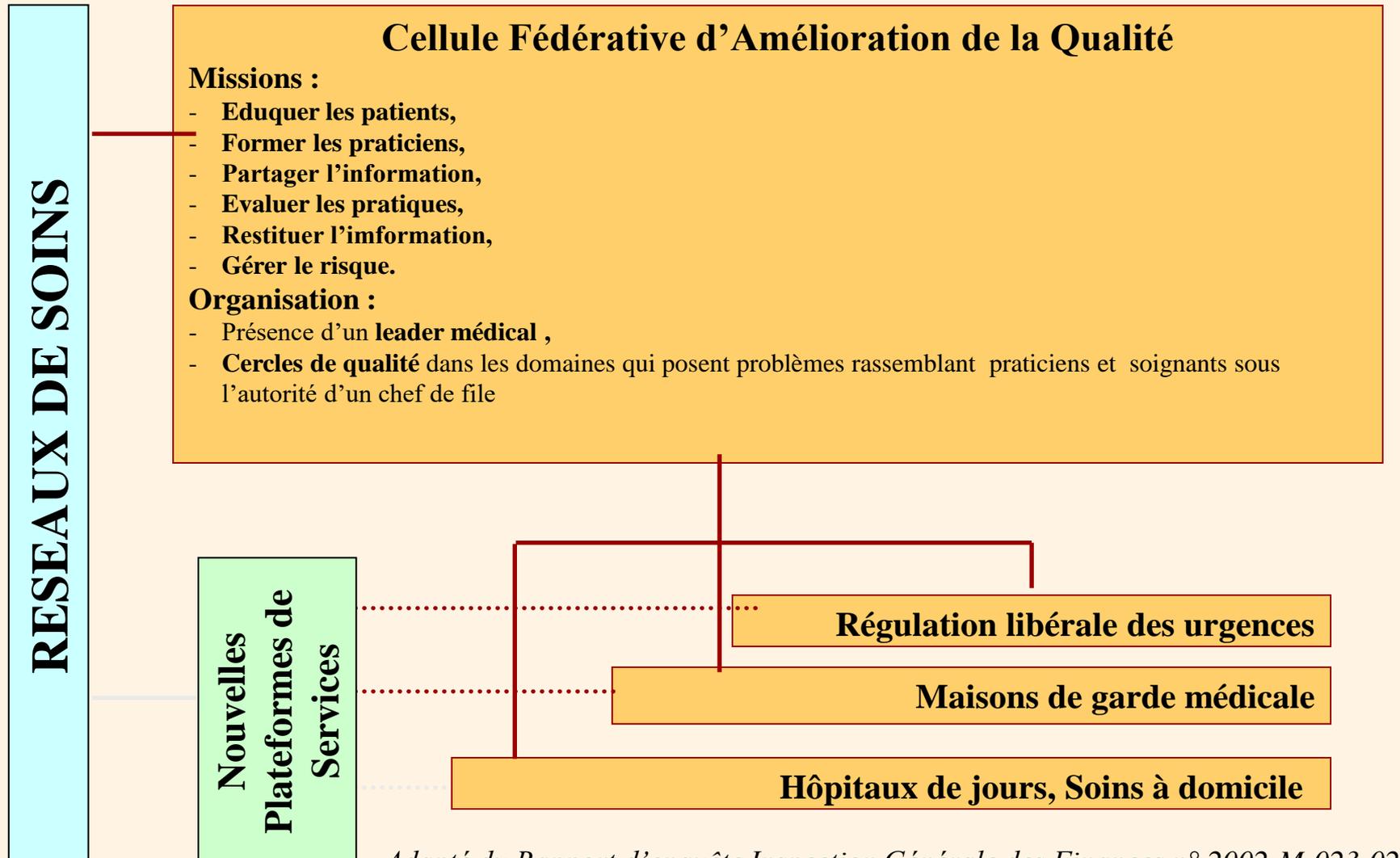
# Évaluer l'Éducation Thérapeutique

	Logique d'enseignement	Logique d'apprentissage
<b>Contenu de la démarche éducative</b>	Transmettre un savoir <b>ex cathedra</b> sur la maladie, et ses modalités de traitement	Développer les <b>capacités</b> des patients à gérer leur maladie
<b>Comment le problème est-il posé ?</b>	Les problèmes reconnus se limitent au <b>mauvais contrôle</b> de la maladie, du ou non à l'existence de comportements pathogènes	Identification personnalisée des <b>facteurs psycho-sociaux favorisant ou limitant</b> la mise en place de stratégies d'éducation
<b>Quel est le rôle de l'éducation thérapeutique ?</b>	Elle ne porte que sur une <b>pathologie spécifique</b>	Elle définit des <b>compétences que le patient doit acquérir</b> :-résolution des problèmes <b>concrets</b> -mobilisation des <b>ressources mentales</b>
<b>Quelle est la théorie explicative sous-jacente ?</b>	Mieux informé, le patient change de comportement et recouvre la santé	Ayant retrouvée la confiance, le patient sait qu'il est <b>capable</b> de <b>peser sur le cours des choses</b>

# Une Autre Idée du Soin et des Aides

Les enjeux	Colloque singulier	Alliance thérapeutique
<b>Nature de la relation médecin malade</b>	Relation principal agent	Le malade partenaire
<b>Qui sont les principaux acteurs du soin ?</b>	Les professionnels de santé exclusivement	Le malade est un des acteurs du soin au coté des professionnels
<b>Quel est l'objectif ?</b>	Le patient fait ce qu'on lui dit de faire, Si il agit à sa guise, c'est à ses risques et périls	Le patient développe ses propres capacités d'action sur son état de santé
<b>Comment changer les comportements ?</b>	Motivation externe	Implication personnelle
<b>Qui identifie les problèmes ?</b>	Les professionnels diagnostiquent les comportements préjudiciables	Le malade et son médecin appréhende la nature du problème de façon interactive
<b>Qui les résout ?</b>	Les professionnels apportent une solution	Le malade sujet actif du projet thérapeutique

# La Démarche Qualité : Au cœur de la Prise en Charge en Réseaux



*Adapté du Rapport d'enquête Inspection Générale des Finances n° 2002-M-023-02*

**Prochain cours: LE RETOUR SUR  
INVESTISSEMENT**

# ***EVALUATION MEDICO-ECONOMIQUE : PRESENTATION DES RESULTATS***

*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](mailto:reesfrance@wanadoo.fr) - Web : [www.rees-france.com](http://www.rees-france.com)

# Plan du Cours

## ■ LES SCHEMAS D'ETUDES

- *Pour la CT...*
- Pour le CEPS
- Pour la Réévaluation et la CEESP

## ■ LES METRIQUES

- Le traitement est-il cliniquement 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**
- Courbe d'acceptabilité sociale et intérêt de santé publique

## ■ COMMENT ECLAIRER LA DECISION POLITIQUE ?

## **2) LE RETOUR SUR INVESTISSEMENT**

# La Question Économique :

**Où Faut-il Placer son Argent  
pour Mieux Prendre en Charge La Maladie ?**

**Traitement Conventionnel ou Traitement innovant ?**

# Réponse :

**Privilégier la mise en œuvre du traitement qui  
offre**

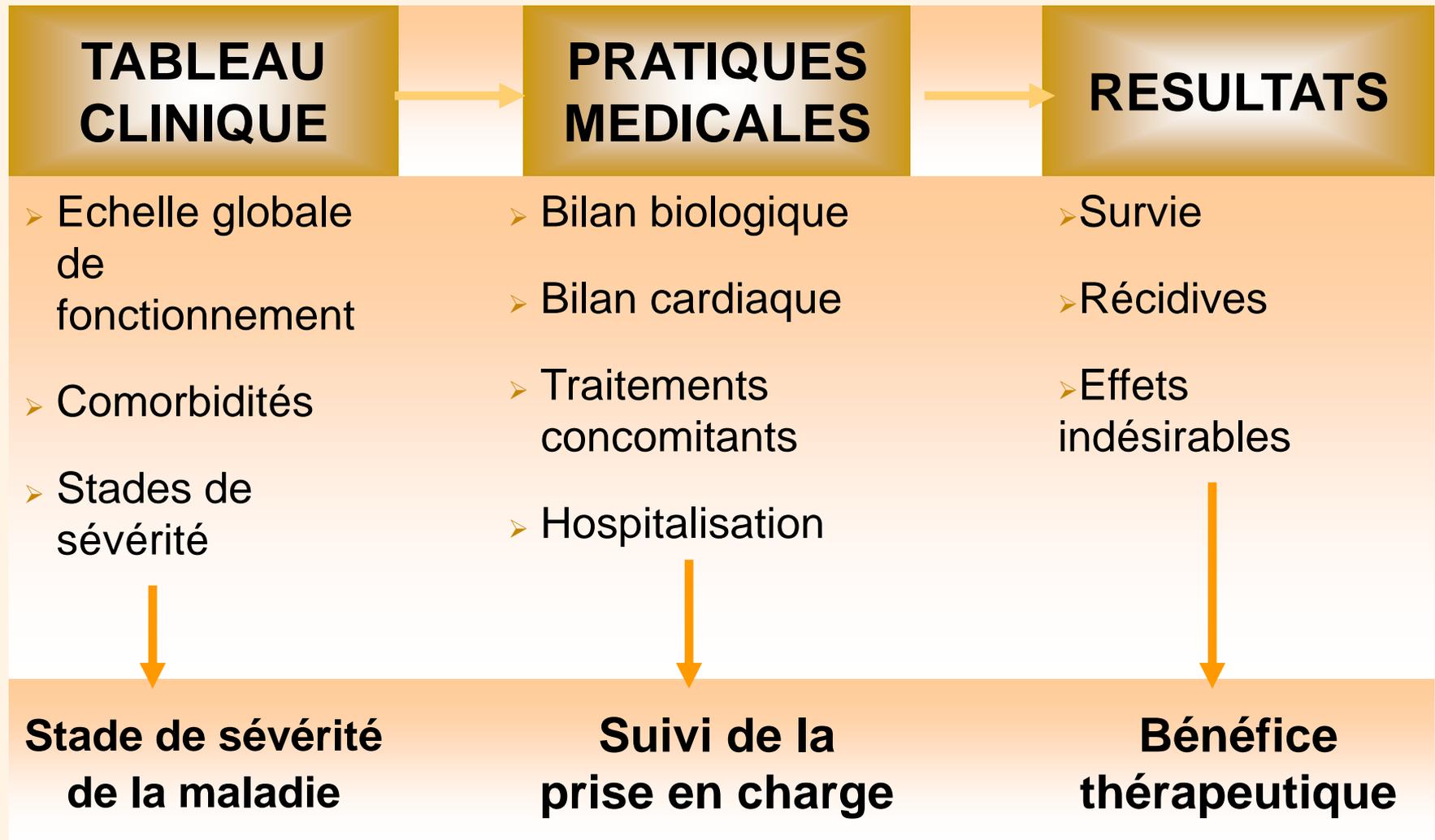
***les meilleurs bénéfices thérapeutiques,  
humains et financiers  
par unité monétaire investie***

# L'Analyse Médico-Économique

**est une Discipline d'Aval de la Prise en Charge Médicale**

- Elle prend les empreintes de la démarche clinique
- Elle en fait un moulage
- Elle y coule des Euros

# Les Données Cliniques sont des Données Individuelles et Aléatoires



# Les Tarifs et les Coûts sont des Données Publiques, Exogènes et Déterministes

Ils sont disponibles sur les étagères des bibliothèques administratives et extérieures par nature à un CRF

# Collecte de Données Individuelles « Bottom Up » en Volume, ou ...

	Dossiers Informatiques	Valorisation	Source
<b>Coûts directs</b>	Soins ambulatoires : <ul style="list-style-type: none"> <li>■ Médecins</li> <li>■ Auxiliaires médicaux</li> <li>■ Analyses (biologie)</li> </ul>	Tarifs conventionnels	CCAM, NGAP, NABM (CNAMTS)
	Médicaments	Prix public	Vidal
	Hospitalisations	Coût GHS	PMSI –GHS, PSY
<b>Coûts indirects</b>	Arrêts de travail (et absences professionnelles)	Salaire brut moyen * Nombre de jours	INSEE

# Recueil « Top Down » de Données Administratives en Valeur

- **Dépenses de soins ambulatoires** reconnues et remboursées par **malade consommant** et par an au titre **des** assurances santé avant et après intervention
- Dépenses de **consultations MG, SP** avant et après intervention dans le groupe témoin et dans le groupe expérimental
- Dépenses de **prescriptions** avant et après intervention dans le groupe témoin et dans le groupe expérimental
- **Structure des dépenses de prescriptions** avant et après intervention dans le groupe témoin et dans le groupe expérimental

# Cadre Analytique de l'ACE

■ Deux traitements (ttx) : un nouveau (A) vs. Un ancien (B)

■ Coûts :

➤ Pts dans le groupe nouveau ttx :  $C_{a1}, C_{a2}, \dots, C_{aK} \rightarrow \overline{C_A}$

➤ Pts dans le groupe ancien ttx :  $C_{b1}, C_{b2}, \dots, C_{bJ} \rightarrow \overline{C_B}$

■ Efficacité :

➤ Exemples de mesures:

- Quality-adjusted life years (QALYs)
- Années de vie gagnées

➤ Pts dans le groupe nouveau ttx :  $E_{a1}, E_{a2}, \dots, E_{aK} \rightarrow \overline{E_A}$

➤ Pts dans le groupe ancien ttx :  $E_{b1}, E_{b2}, \dots, E_{bJ} \rightarrow \overline{E_B}$

« *ESTIMER AVEC CONFIANCE  
L'EFFICIENCE DES SOINS* » :

*La courbe d'efficience socialement  
acceptable*

# Le Rapport Différentiel Coût Efficacité (RDCE)

$$RDCE = \frac{\mu_{CA} - \mu_{CB}}{\mu_{EA} - \mu_{EB}} = \frac{\mu_{\Delta C}}{\mu_{\Delta E}}$$

Inférer sur la valeur vraie (mais inobservable) du ratio RCE-D dans la population à partir de la valeur du ratio observé dans une simulation

$$RDCE = \frac{Ca - Cb}{Ea - Eb} = \frac{\Delta C}{\Delta E}$$

# Simulation de Monte Carlo et Bootstrap

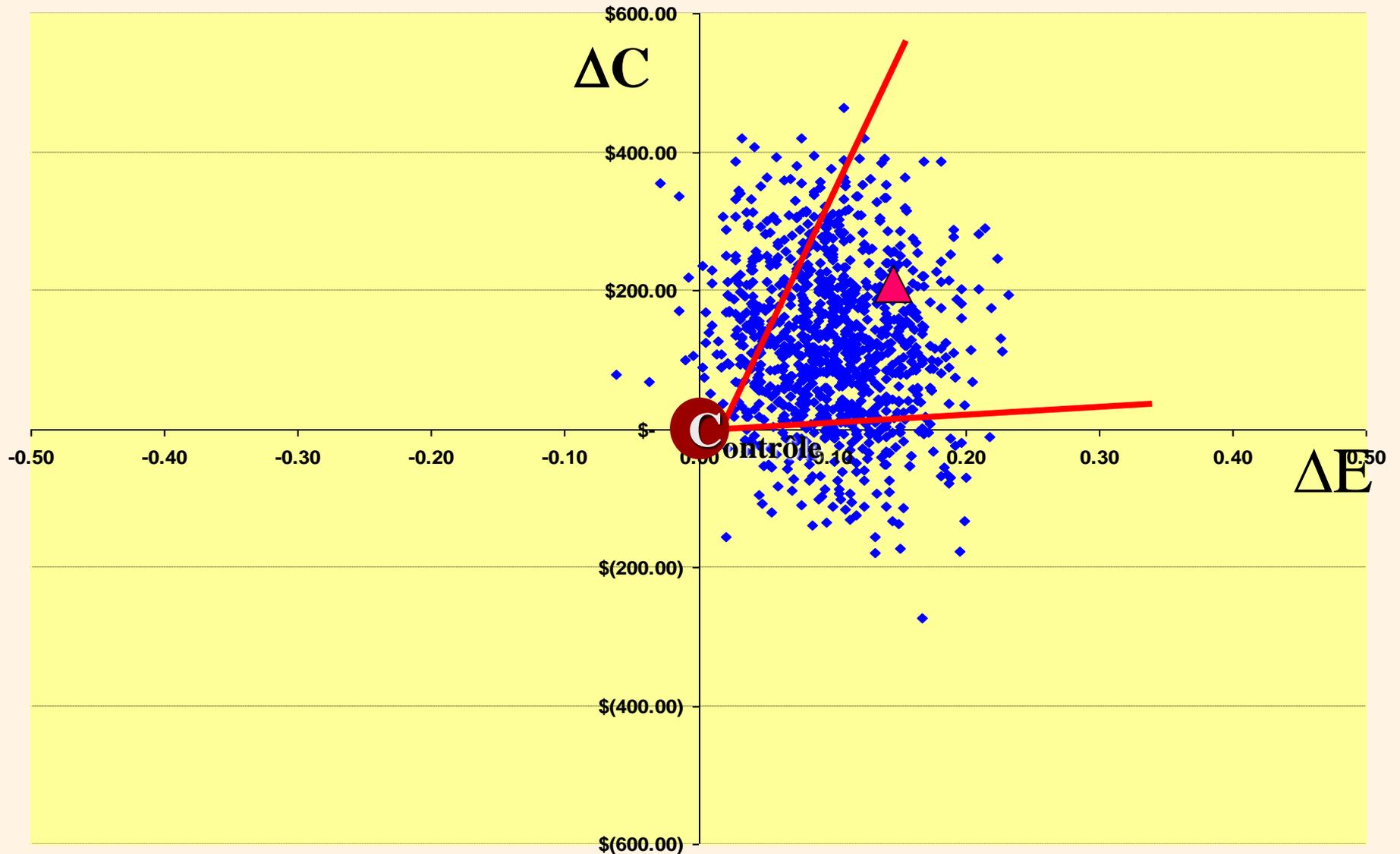
- Pour construire l'intervalle de confiance d'une statistique  $T$ , on a besoin de connaître sa distribution d'échantillonnage.
- Théorème de la limite centrale :
  - $\Delta C, \Delta E \rightarrow$  Loi Normale
- Ratio de 2 lois normales  $\neq$  loi normale
  - $RDCE = \Delta C / \Delta E$
- Monte Carlo : obtenir la distribution d'échantillonnage de  $T$  à partir de la distribution *a priori* / ou empirique des paramètres du modèle.
- Bootstrap : obtenir la distribution d'échantillonnage de  $T$  à partir de la distribution empirique des observations.

# Estimation du RDCE par Mise en Oeuvre d'une Simulation paramétrique de Monte Carlo

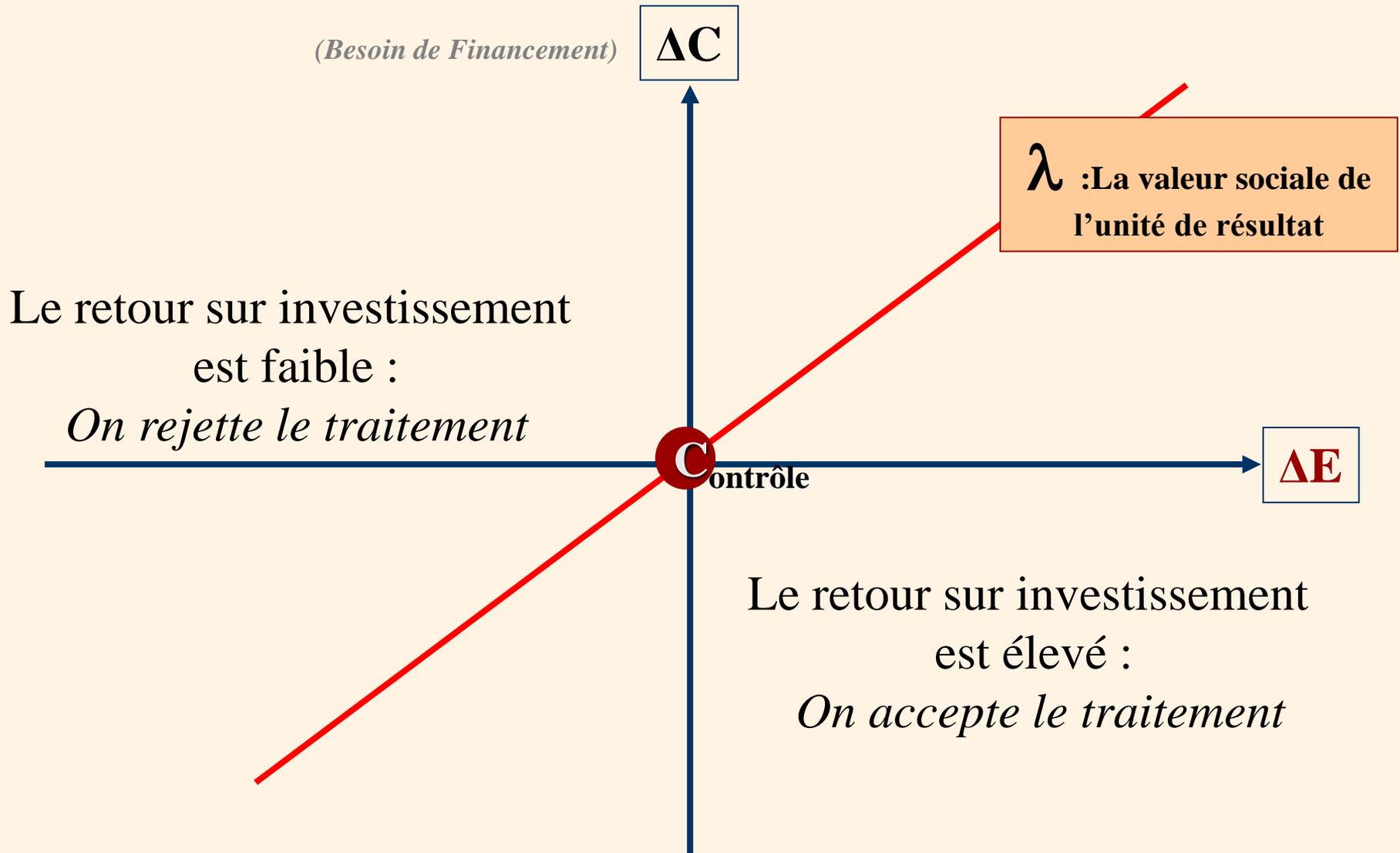
La technique du Monte Carlo est opérationnalisée en quatre étapes :

1. Tirage aléatoire à partir des distributions de probabilité d'une valeur pour chaque paramètre caractéristique du groupe contrôle et calcul du coût total moyen et de l'efficacité totale moyenne
2. Tirage aléatoire à partir des distributions de probabilité d'une valeur pour chaque paramètre caractéristique du groupe TTX innovant et calcul du coût total moyen et de l'efficacité totale moyenne correspondantes
3. Calcul par différence du ratio coût efficacité différentiel entre les deux échantillons
4. Répétition de l'opération B fois pour obtenir une estimation de la distribution du RCED dans le plan ACE

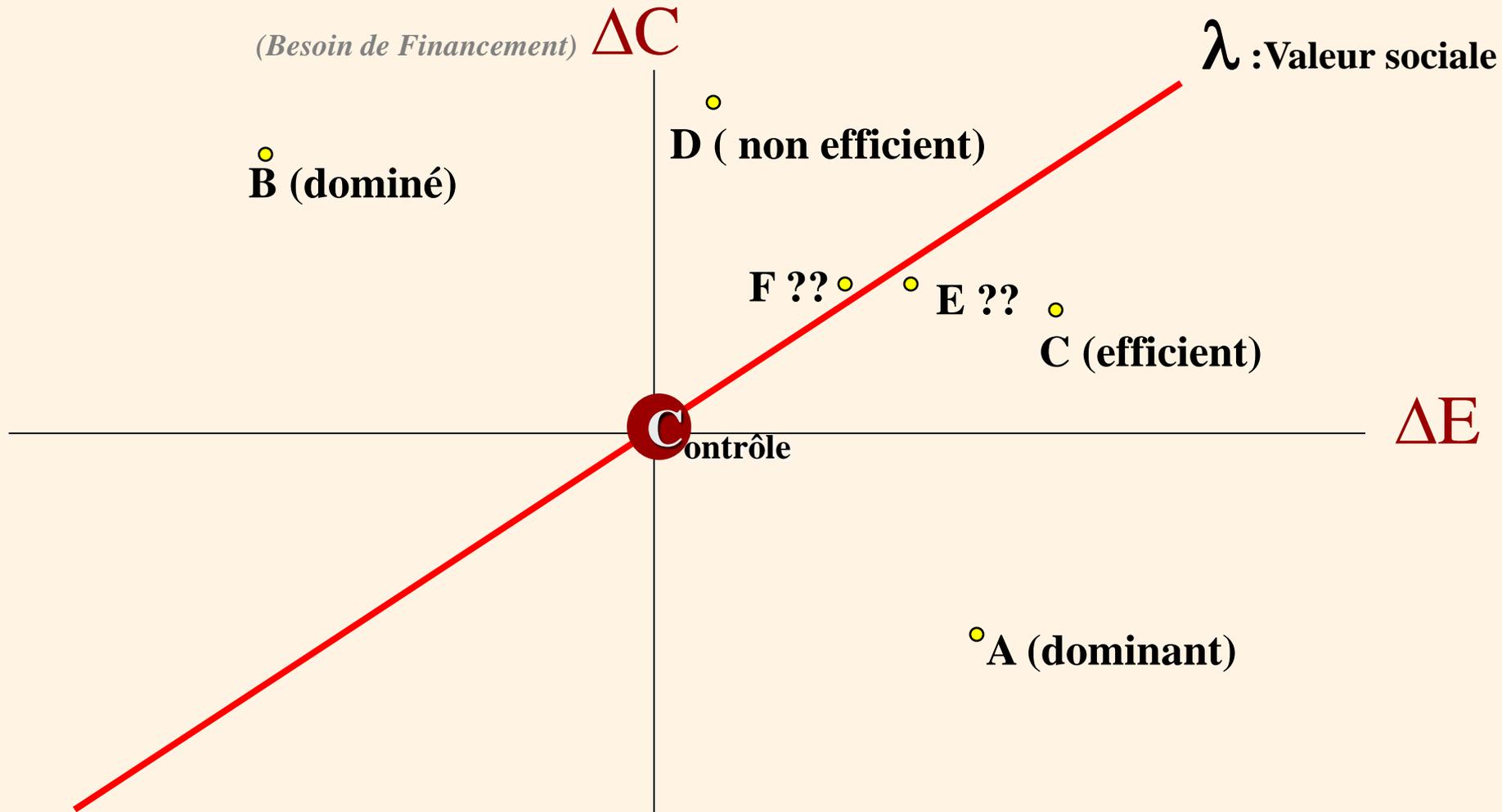
# IC<sub>95%</sub> : Conserver 95 % des Points du Tirage



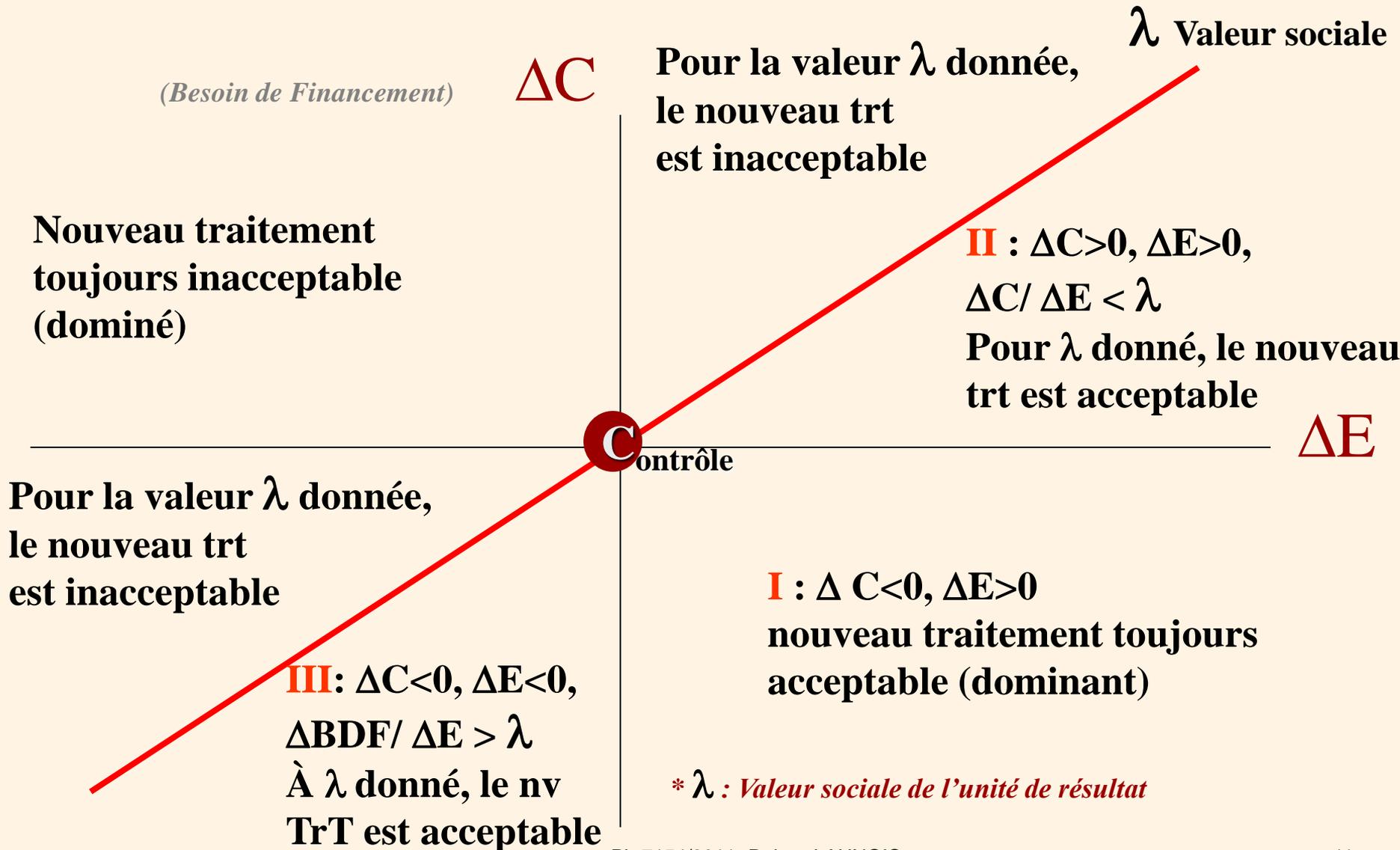
# Les Limites de La Solidarité



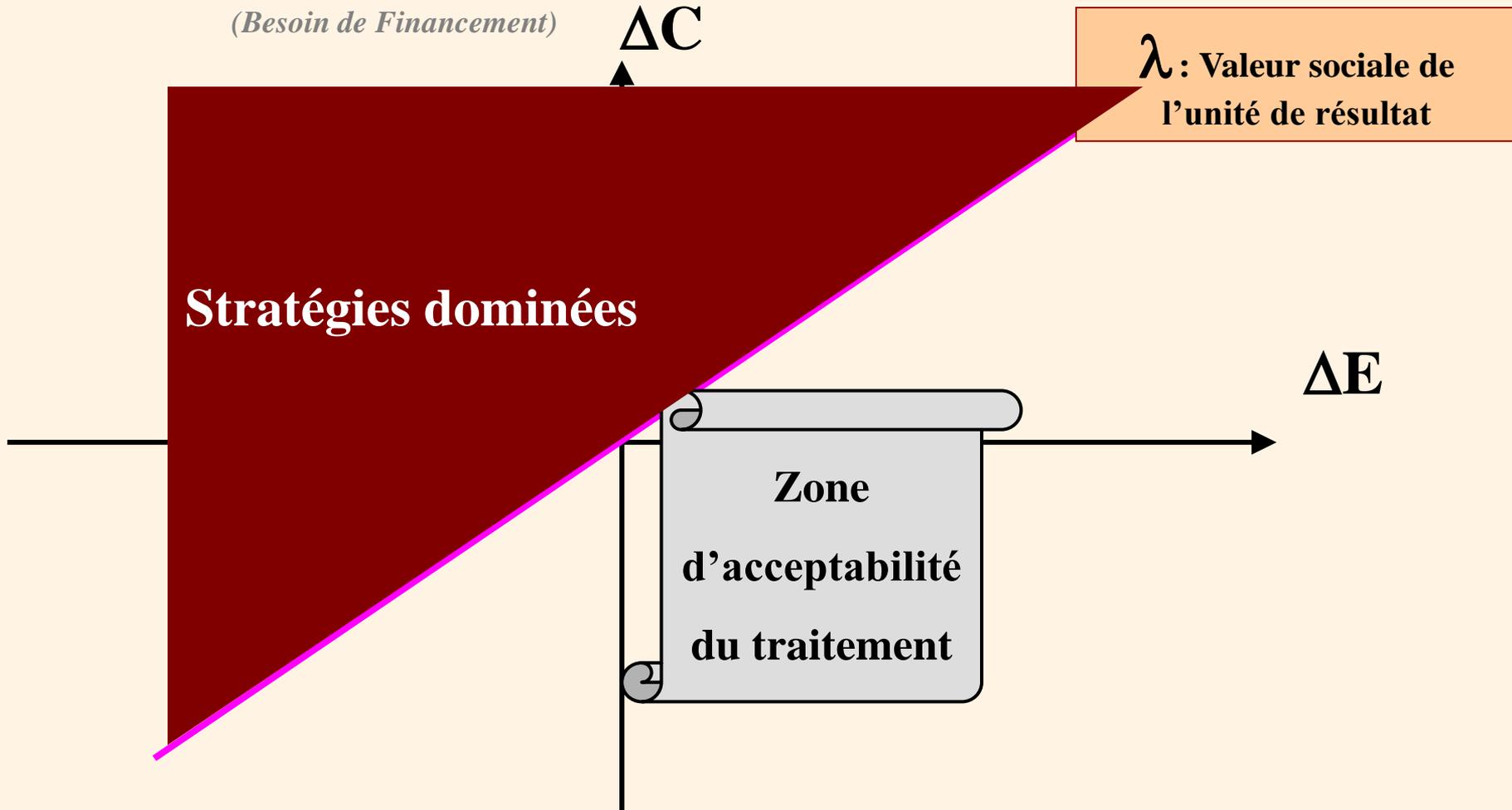
# Le Nouveau Traitement Est-il Coût/Efficace par Rapport à l'Ancien ?



# Stratégies Dominantes et Stratégies Dominées



# Combien les Biens Portants sont-ils Prêts à Payer ?



*BDF: Besoin de Financement*

***QUEL SEUIL D'ACCEPTABILITE  
DANS LE CADRE DE L' ACE ?***

# « Le Silence de $\lambda$ »

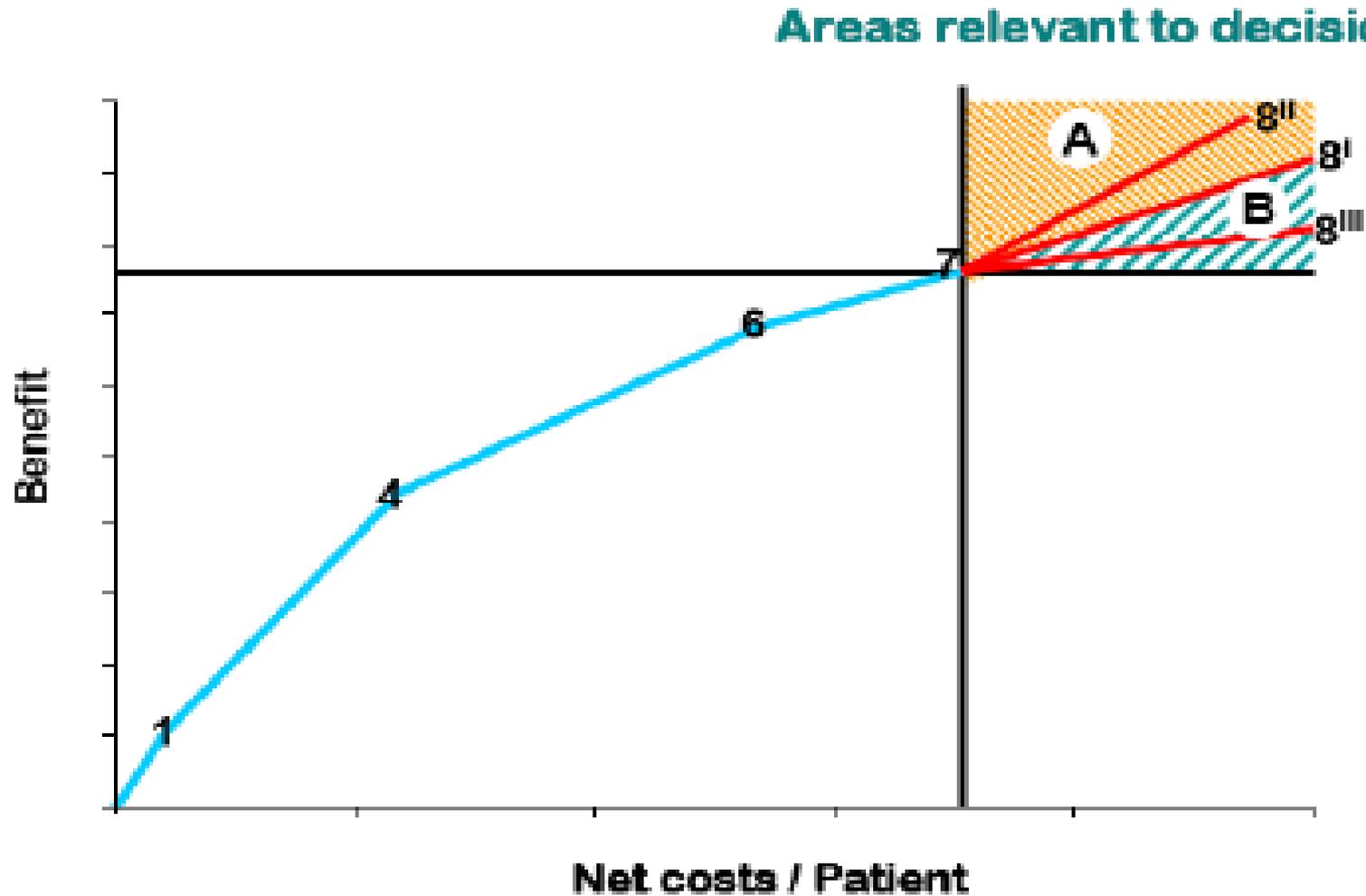
## « Comment Déterminer la Valeur Sociale de l'Unité de Résultat? »

1. Les **précédents historiques (league tables)**: les ratios coût-efficacité des médicaments innovants ou non, qui ont été dans un passé récent, admis au remboursement ou réévalués : Ce sont les league tables c.a.d les palmarès historiques des performances
2. **L'Effort Financier Socialement Acceptable (EFSA)** : La somme maximale que la collectivité est disposée à payer pour gagner une unité d'efficacité: C'est la **disposition sociale à payer** des anglo-saxons ou la valeur tutélaire de la vie des Français
3. **Le taux de Retour Sur Investissement minimum (RSI)**
  - **FIXE** et égale à l'inverse du coût d'opportunité
  - **MODULABLES** en fonction de la sévérité de la maladie, du degré d'innovation du produit, de la fragilité de la population cible.
4. **Une convention empirique plus ou moins arbitraire (OMS)** : entre deux et trois fois la valeur de la PIB par tête

# Règle de Décision dérivée des Précédents Historiques(1)

- **1<sup>ère</sup> méthode** : comparaison avec les valeurs retenues pour les innovations déjà mises sur le marché.
  - Rationnel : La Société doit être disposée à payer autant pour les nouvelles innovations qu'elle l'a été dans le passé pour des procédures/technologies qui sont aujourd'hui d'usage courant.
- League tables
- Problèmes ?

# Les Règles De Décision de L' IQWiG : Une Simple Illustration Graphique de La Méthode 2



*IQWiG « General Methods for the Assessment of Benefits to Cost ». Version 1.0 - 19/11/2009 p 41*

# Palmarès des Performances

INTERVENTIONS	BDF PAR ANNEE DE VIE
Traitement de béta-bloquants aux survivants d'infarctus	971
Mammographie tous les 3 ans pour femmes de 50 à 65 ans	3 097
Soins intensifs aux polytraumatisés	29 727
Dialyse rénale pour insuffisance rénale chronique chez les hommes de 45-54 ans	53 736
<b>Traitement hormonal substitutif pour des femmes post-ménopausées asymptomatiques entre 55 et 70 ans</b>	<b>285 841</b>

# Régle de Décision sur la Base de la Disposition Sociale à Payer(2)

**2<sup>ème</sup> Méthode** : les pouvoirs publics formulent un jugement de valeur en arrêtant un prix par unité d'efficacité supplémentaire de telle manière que la valeur sociale de l'unité de résultat **soit fixée au plus près des préférences individuelles**

- Cette valeur pourrait être définie soit à partir
  - d'analyses du comportement des gens (**Préférences révélées**) ou
  - de leurs réponses à des enquêtes (**préférences déclarées**)
  - Ce qui ne donnerait pas des valeurs précises mais des ordres de grandeur ou des fourchettes
  
- L'Etat interviendrait après dialogue et concertation « **pour normaliser le résultat de ces analyses et faire en sorte que tous les intéressés utilisent la même valeur** » d'où l'appellation « Valeur tutélaire de l'unité de résultat<sup>‡</sup>»

<sup>‡</sup>Rapport Boiteux, Transports : Choix des investissements et nuisances. Commissariat Général du plan. Paris 2001 p19 . Luc Baumstark Journées AFSE Rennes 2004

# Fixer la Valeur des Efforts Acceptables « au plus Près des Préférences Individuelles »

» Luc Baumstark 2004

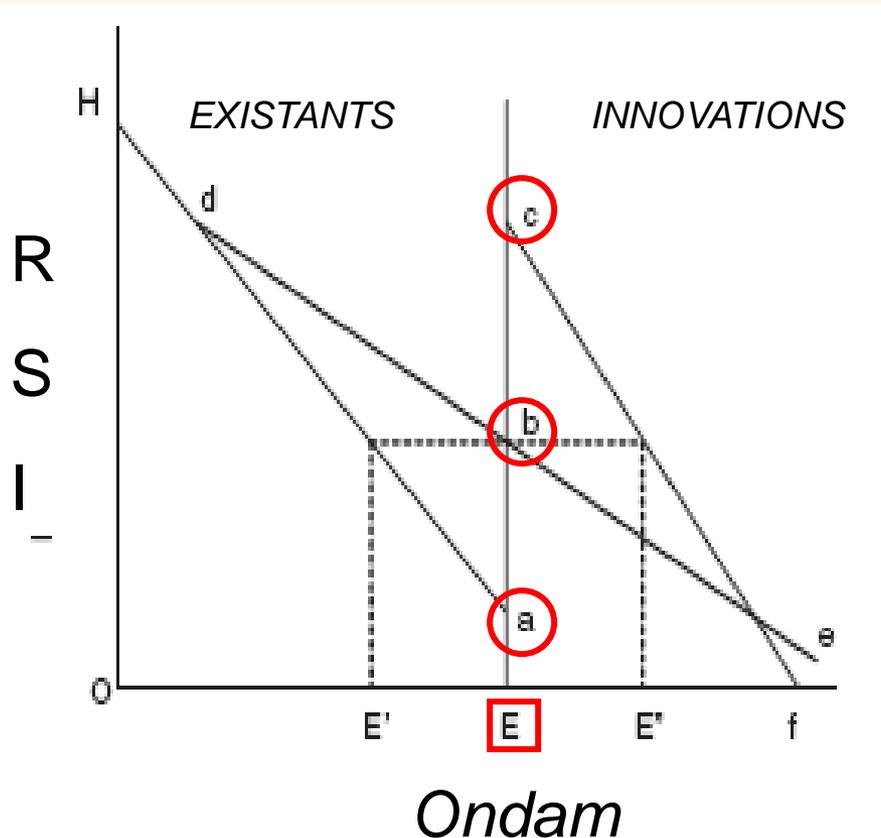
- L'effort socialement acceptable doit être défini à travers une procédure de confrontation d'experts, et de débats entre les parties prenantes
- «Il y a quelques années, on parlait de **valeur tutélaire**. Cette notion s'appliquait à **une valorisation que l'Etat dans sa sagesse promulguait pour le bien de ses administrés** ».
- Aujourd'hui cette valeur serait définissable à partir d'analyses du comportement des gens (Préférences révélées) ou de leurs réponses à des enquêtes (préférences déclarées) qui ne donnent pas des valeurs précises mais des ordres de grandeur ou des fourchettes
- L'Etat ne se place plus au dessus de ce que révèlent ces études, mais intervient après dialogue et concertation « **pour normaliser le résultat de ces analyses et faire en sorte que tous les intéressés utilisent la même valeur** »

*Rapport Boiteux, Transports : Choix des investissements et nuisances. Commissariat Général du plan. Paris 2001 p19 . Luc Baumstark Journées AFSE Rennes 2004*

# Règle de Décision sur la Base du Taux de Retour sur Investissement(3)

- **3<sup>ème</sup> méthode** : Lorsque la somme des projets sanitaires est supérieure aux capacités de financement, serait pris en compte
  - **le coût d'opportunité des fonds sociaux, ou sa réciproque le taux de rendement minimal attendu** des dépenses engagées, en **observant** l'ampleur des moyens mobilisés selon les programmes et l'importance des résultats obtenus sur un indicateur commun de performances
  - **Rationnel** : La valeur unique exigée quant au retour sur investissement minimum, garantirait l'égalité d'accès aux soins quelle que soit l'indication ou la spécialité et éviterait la cannibalisation des priorité de santé publique.
- la probabilité d'accepter un projet sur la base de ce critère de **Retour Sur Investissement (RSI)** minimum reposerait sur des **données objectives** et non plus sur une quelconque disposition subjective à payer

# Règle de Décision sur la Base du Taux de Retour sur Investissement(3 cn'd)



- Les molécules **existantes** sont classées en ordre décroissant le long de la **droite Hda** en fonction de l'ASMR par euro social investi [RSI]
- Les médicaments actuellement pris en charge dans le cadre du taux  $k$  correspondent **au budget disponible représenté par la distance OE**. Le total des gains de santé=l'aire sous la courbe HOE; Le RSI de la dernière molécule admise = **Ea**
- Les **innovations** thérapeutiques sont classées sur la base du même critère le long de la **droite cf**; le RSI pour une innovation de rupture = **Ec**
- Le RSI de l'arsenal thérapeutique **existant ou potentiel est la somme horizontale** des deux courbes i.e **la droite Hde**. **Eb** mesure le multiplicateur de lagrange correspondant au respect de la contrainte budgétaire. Au dessus de **Eb**: pas d'admission au remboursement; en dessous : admission
- L'admission des nouvelles molécules **E''E** dont le rapport performances / coût est  $>$  au seuil n'est possible que si les anciennes molécules **E' E** cessent d'être remboursées à due concurrence pour SMRI/€

# Règle de Décision Fondée sur l'Argument d'Autorité OMS (4)

- **4<sup>ème</sup> méthode** : pour l'oms, la valeur du seuil pourrait être fixée en proportion du produit intérieur brut par habitant. Un traitement dont le ratio surcoût/ surcroît d'efficacité par rapport à son comparateur est
  - inférieur ou égal à **une fois la production par habitant** sera considéré comme **très efficient**.
  - On le jugera **efficient** lorsque sa valeur est comprise **entre une fois et trois fois la valeur du PIB par habitant** et
  - il sera dit **inefficient** lorsque sa valeur est supérieure à trois fois celle du PIB par habitant
- La valeur du seuil varie donc en fonction de la richesse des pays où les analyses coût-efficacité sont conduites : 108 000 \$ pour les Etats-Unis, 79 500 \$ pour la France, 53 000 \$ pour la Nouvelle Zélande . Le corridor acceptable d'efficience s'établirait aujourd'hui en France entre 28 000 et 84 000 € (2008).

**Prochain cours: LES AVANCEES  
RECENTES**

***EVALUATION  
MEDICO-ECONOMIQUE :  
LA PRESENTATION DES RESULTATS***

*Professeur 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](mailto:reesfrance@wanadoo.fr) - Web : [www.rees-france.com](http://www.rees-france.com)

# Plan du Cours

- **LES SCHEMAS D'ETUDES**
  - Pour la CT...
  - Pour le CEPS
  - Pour la CEESP
- **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
  - **Acceptabilité sociale et intérêt de santé publique**

### ***3 ) AVANCEES RECENTES:***

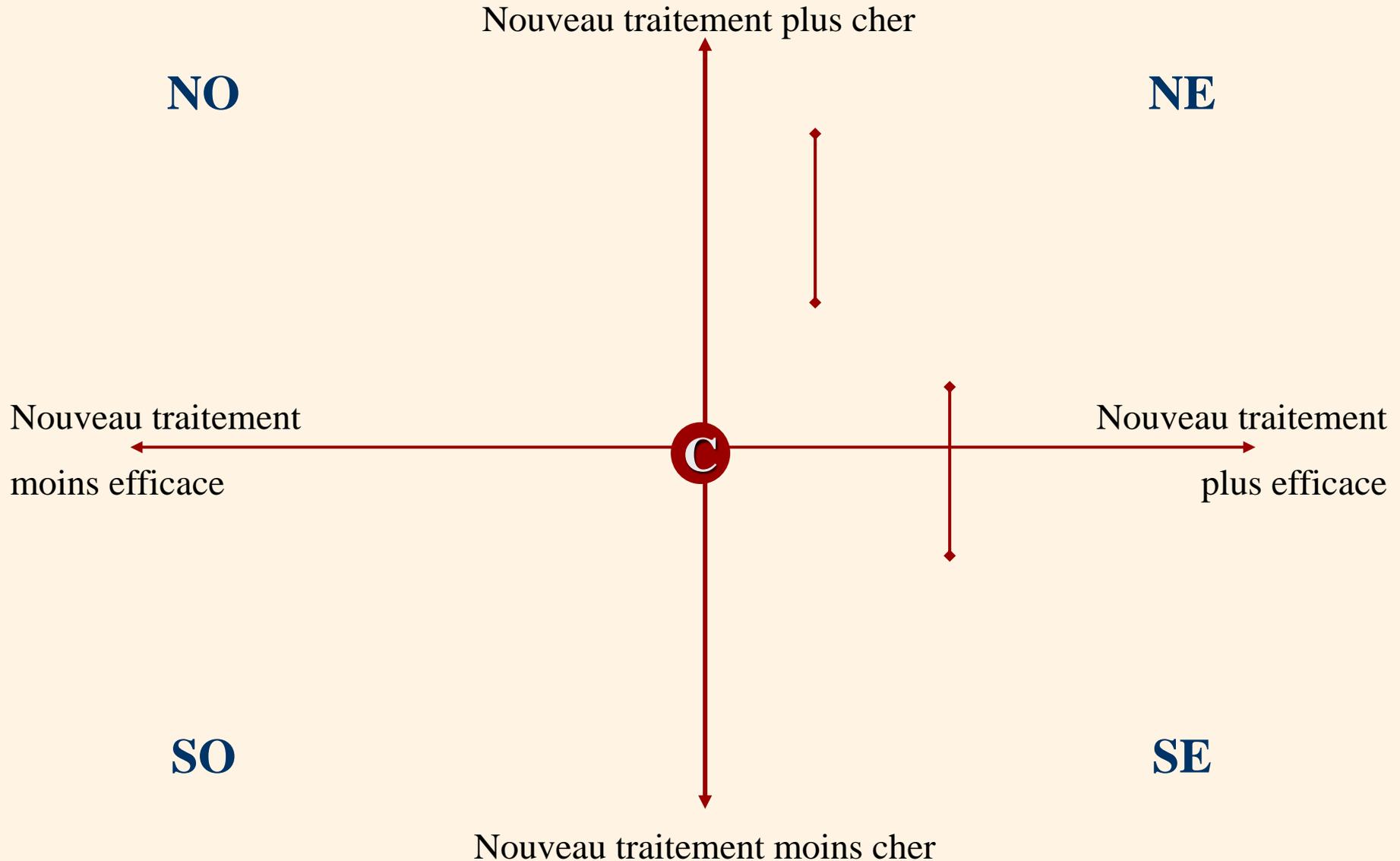


***LES LIMITES DU RATIO COUT  
EFFICACITE DIFFERENTIEL***

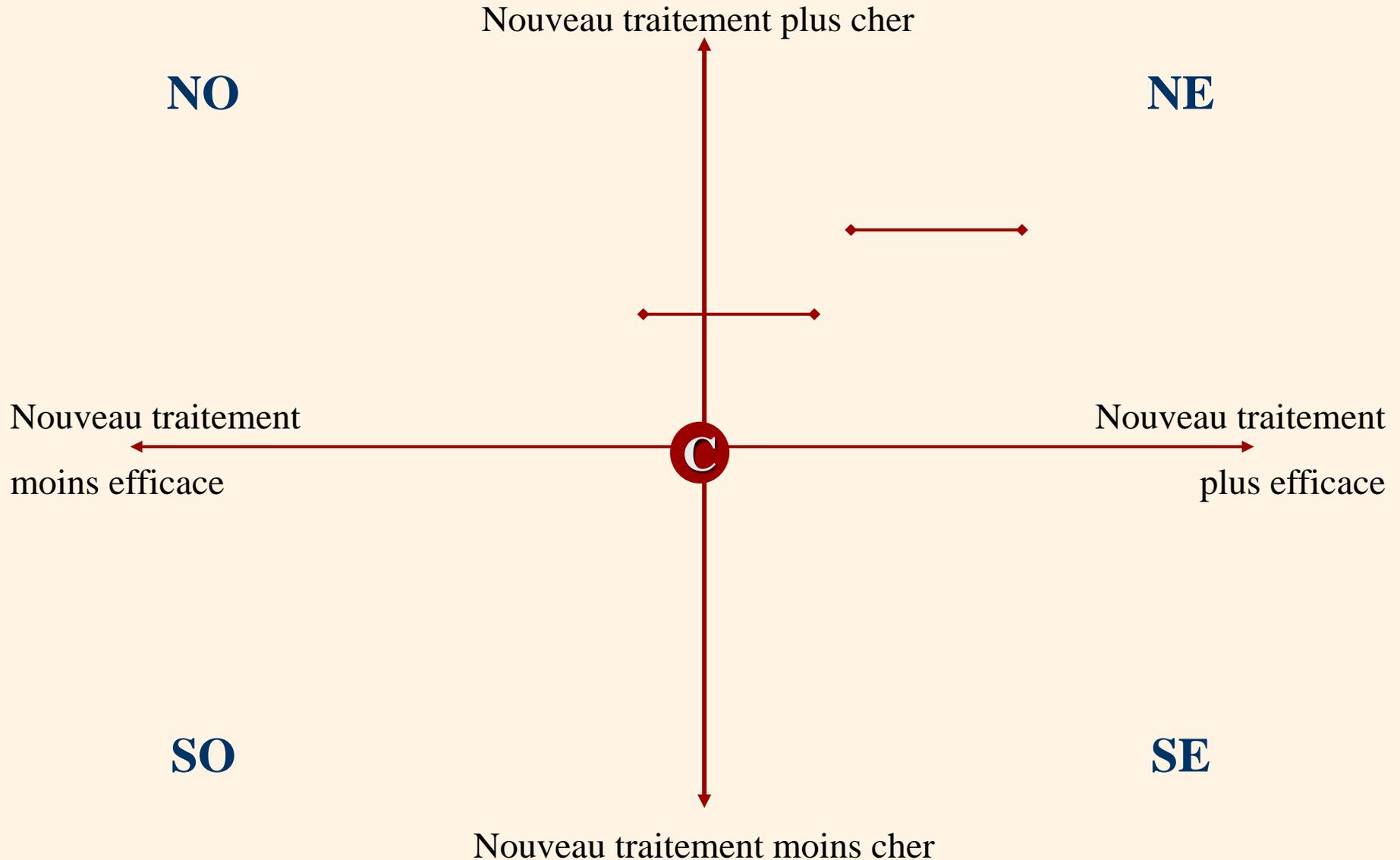
# Les Pièges de L'Utilisation d'Un Ratio

- Les intervalles de confiance du RDCE n'ont un sens que lorsque  $\Delta E$  est positif
- Les ratios négatifs sont délicats d'interprétation puisqu'ils résultent des différences de coût et d'efficacité différents
- Une présentation des résultats en termes d'avantages différentiels net pour la société permet de tourner cette difficulté.

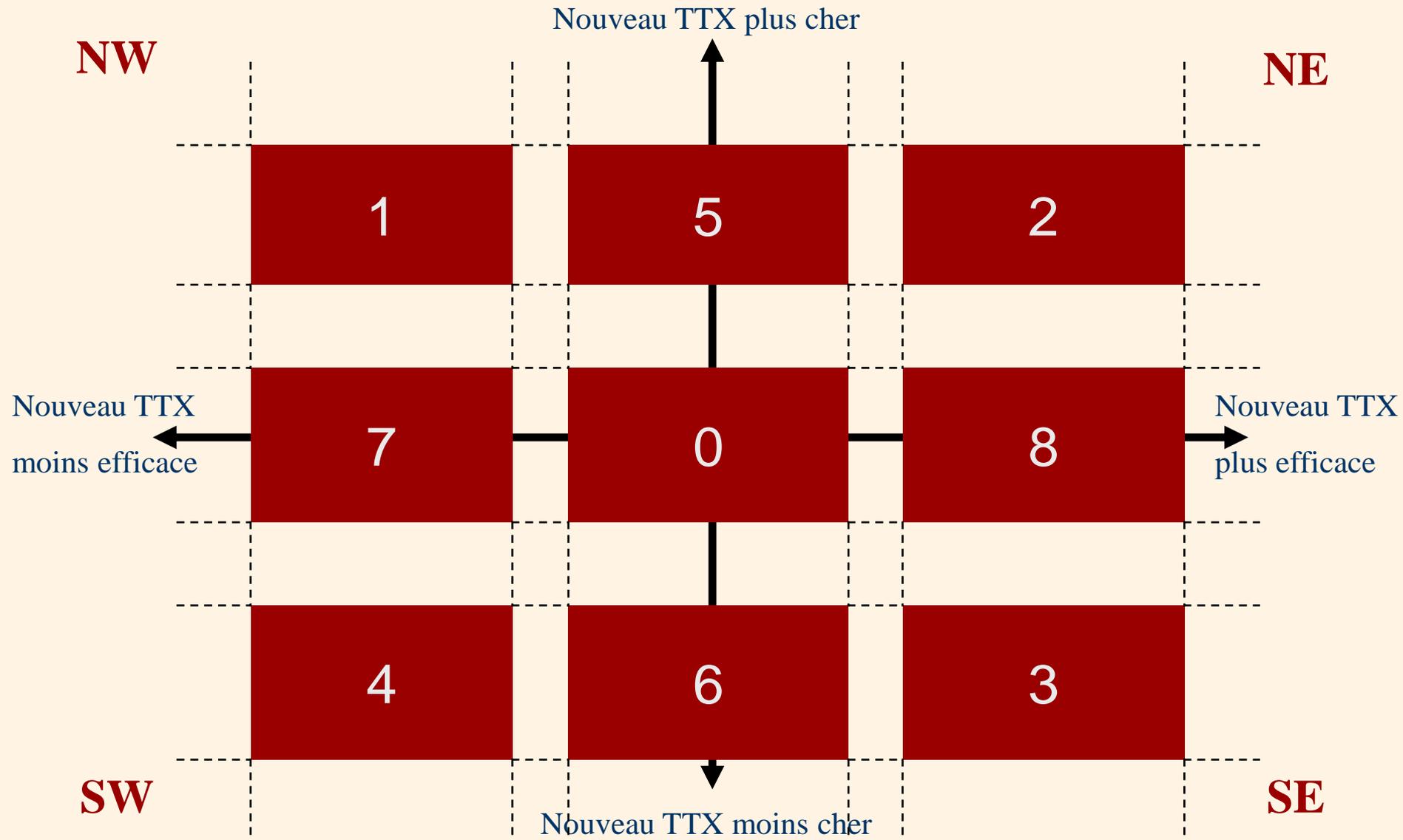
# Estimation des Différences de Coût



# Estimation des Différences d'Efficacité



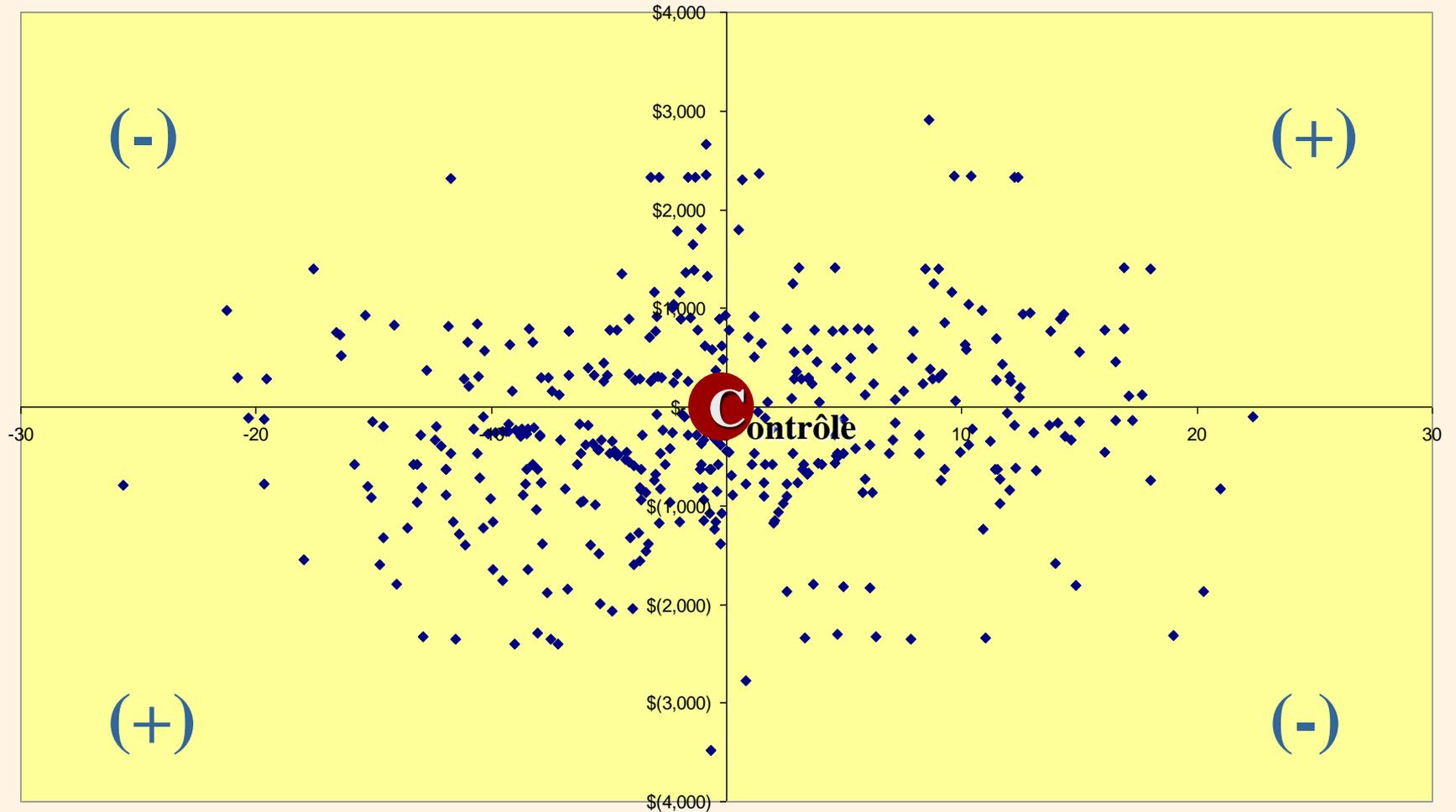
# La Matrice des Rapports Coût-Efficacité



# Les Rapports Coût Efficacité Possibles [cnd]

1. Les situations 1 et 3 sont sans ambiguïté : (1) moins efficace et plus cher [ le cauchemar]; (3) c'est l'inverse + efficace; - cher [ le rêve] il n'y pas besoin de calculer les ratio coût efficacité
2. Les situations 2 et 4 : (2) + efficace et +cher ; (4) moins efficace et moins cher, le calcul des ratio coût efficacité s'impose.
3. Dans les situations (7) et (8) un des deux traitements est significativement soit plus efficace soit moins efficace. Il n'y a pas de différence significative en termes de coût. (7, 8) « chevauchent » l'axe horizontal. Mais « l'absence de preuve n'est pas la preuve de l'absence »
4. Dans les situations (5) et (6) un des deux traitements est significativement plus ou moins coûteux. Il n'y a pas de différence significative en termes d'efficacité. Mais la encore « l'absence de preuve n'est pas la preuve de l'absence »
5. → Inadéquation d'une série de tests en cascade. C'est le paramètre ICER qu'il convient d'estimer avec son IC
6. Mais dans les situations 5, 0, 6 la valeur du dénominateur tend vers 0: variance impossible à calculer. Le rapport obéit pas une loi normale .

# Problèmes : Discontinuités ?

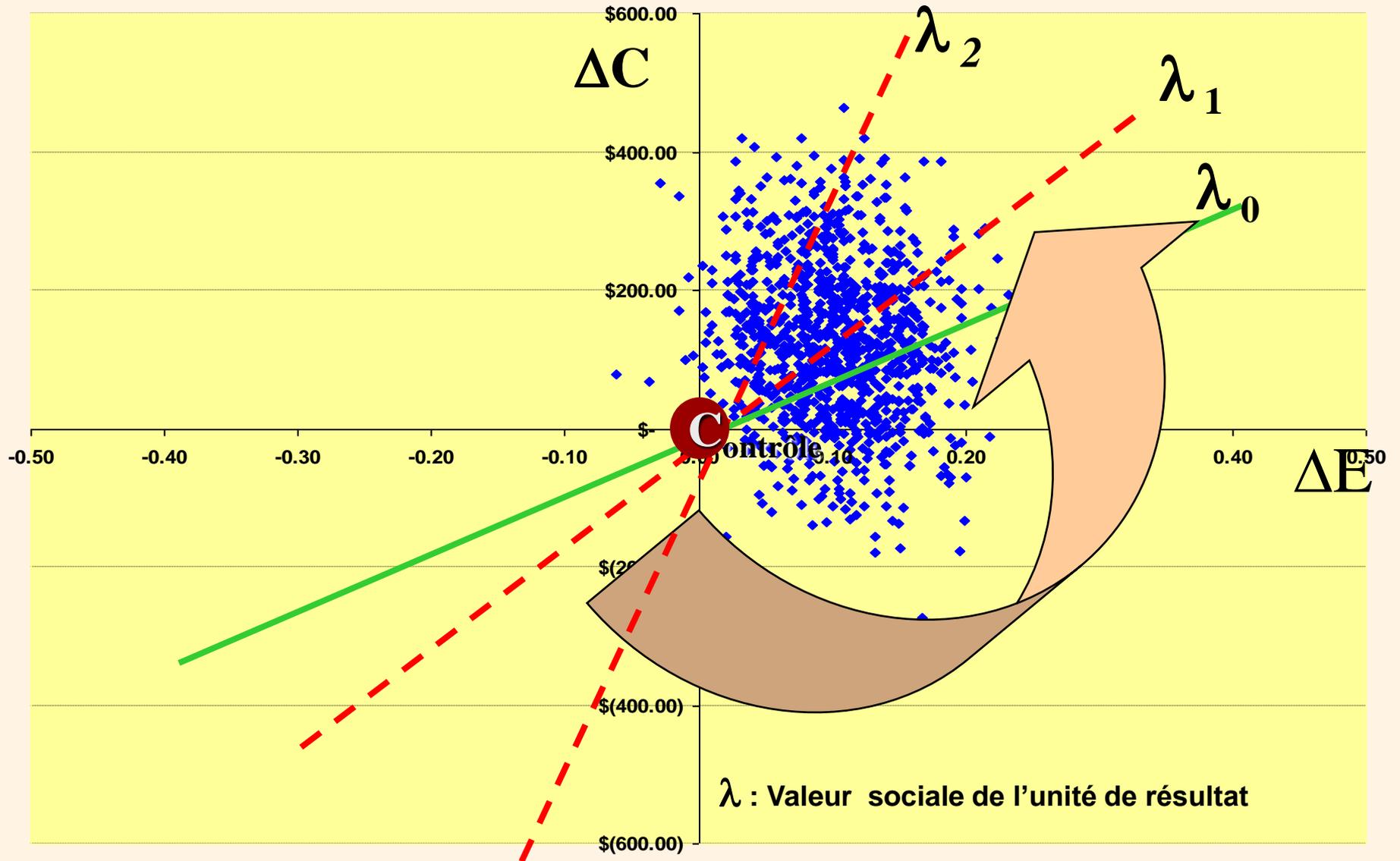


# ***LA COURBE D'ACCEPTABILITE SOCIALE***

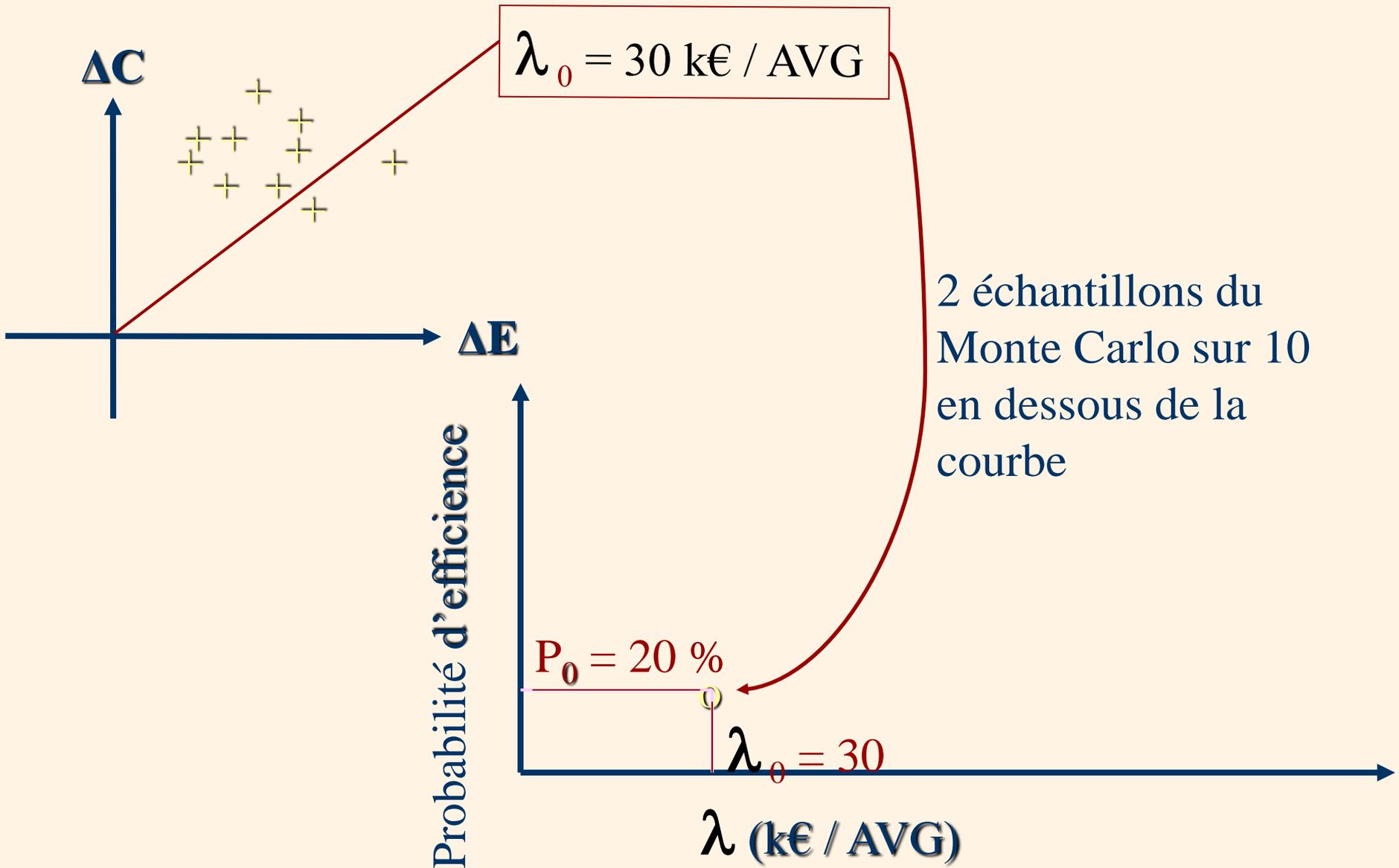
# Standard Actuel de Présentation des Résultats

- La valeur qu'accorde la Société au résultat obtenu en termes de morbi-mortalité est une **donnée socio-politique** ou **technique** sur laquelle l'évaluateur n'a pas à se prononcer
- Les résultats doivent être analysés à la lumière de l'ampleur des efforts que la collectivité peut consentir en faveur de l'innovation. Une **courbe des niveaux d'efficience** est construite **en fonction de la valeur sociale ( $\lambda$ )** de l'unité de résultat pour la collectivité
- Cette courbe donne la probabilité que le traitement soit considéré comme **efficent** par les autorités pour toutes les valeurs possibles de  $\lambda$ ,
- **Procédure d'estimation** : Générer par bootstrap B couples  $(\Delta E, \Delta E)$  - Calculer la proportion de points sous la droite pour toutes les valeurs de  $\lambda$

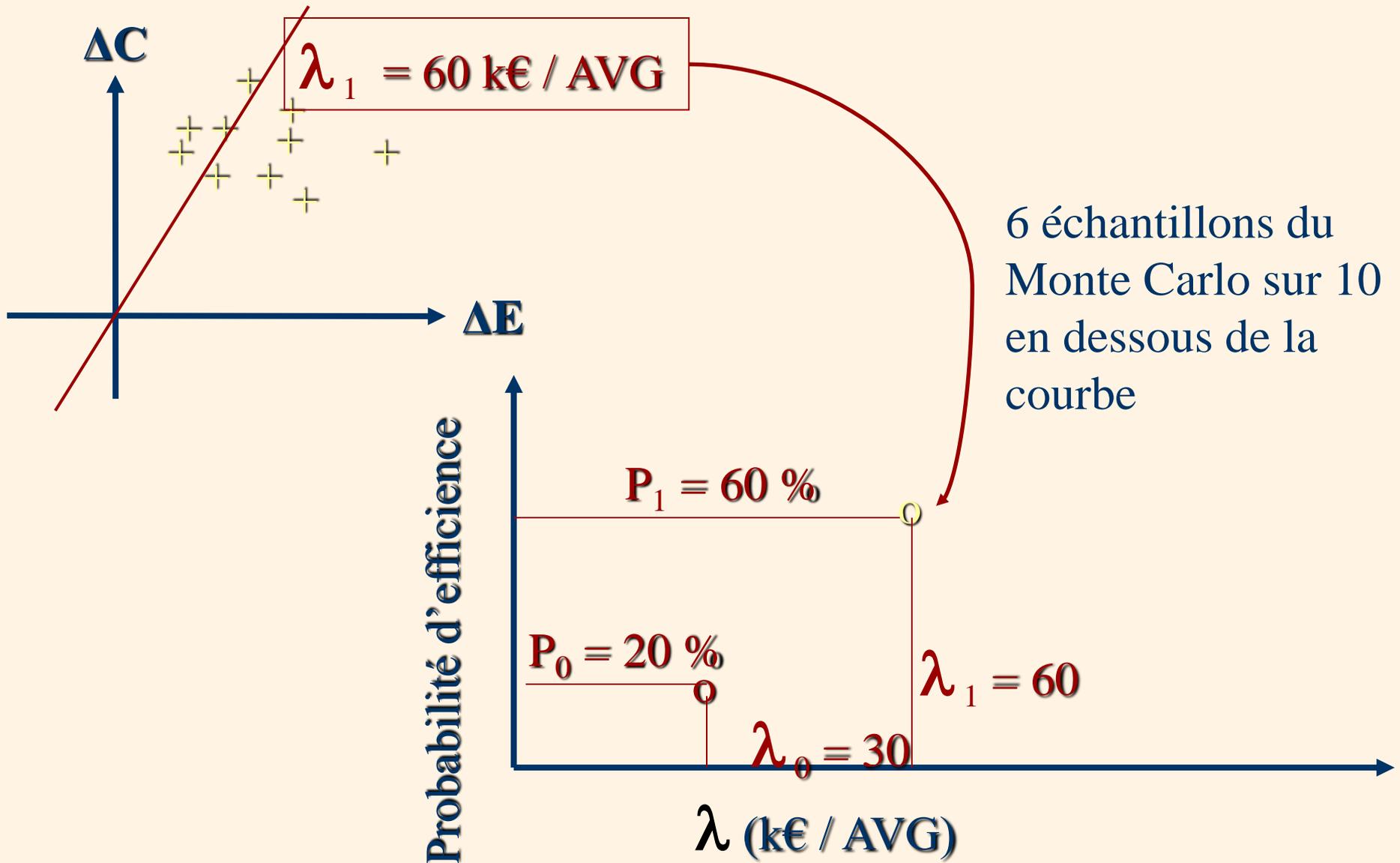
# Proportion de Tirages Coût/Efficace pour Différentes Valeurs de lambda



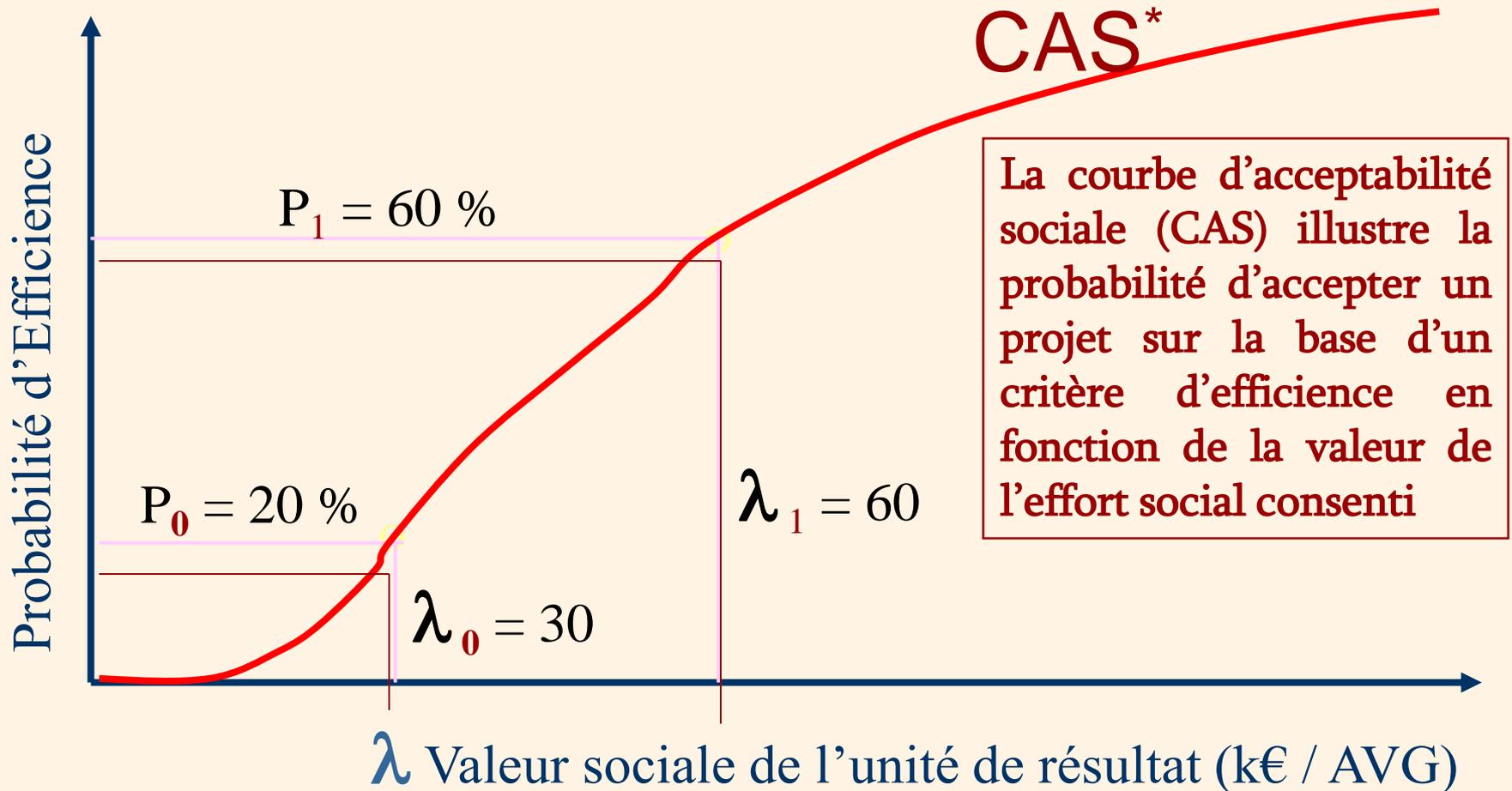
# Efficiency Attendue de l'Innovation en fonction la Valeur de $\lambda$



# Efficiency Attendue de l'Innovation en fonction la Valeur de $\lambda$



# Distribution des Niveaux d'Efficiency Socialement Acceptables



\*



***L'INTERET NET  
DE SANTE PUBLIQUE***

# « L'Intérêt Net de Santé Publique: « La Santé Gagnée Déduction Faite de la Santé Perdue»

- Les avantages d'une intervention de santé se mesurent en termes absolus en estimant l'état de santé de la population qui en découle.
- Ses inconvénients s'apprécient au regard du poids de santé perdue, lorsque la population n'a pas pu accéder aux soins auxquels elle pouvait prétendre du fait des ressources précédemment mobilisées

Choisir c'est Renoncer. Les profils Bénéfices choisis et Virtualités de santé sacrifiées sont au cœur de la notion d'intérêt de Santé Publique

# Les Deux Faces d'une Môme Pièce : L'Avantage Collectif Net et Le Bénéfice Collectif Net de Santé

- **L'avantage<sup>†</sup> collectif net de santé** d'une intervention en termes de la santé publique, est égale au niveau de l'état de santé de la population qui lui est associé, **déduction faite des sacrifices sanitaires** auxquels, il faut implicitement consentir, pour en assurer la mise en place.
- **Le bénéfice<sup>†</sup> collectif net de santé** est égale à l'utilité sociale de l'efficacité du traitement innovant monétarisée sur la base des efforts financiers considérés comme acceptables par la société, **déduction faite du coût** entraîné par son financement.
- [<sup>†</sup> le terme *avantage* est utilisé pour désigner des niveaux de santé mesurés unités naturelles et *bénéfice* est employé pour désigner des grandeurs monétarisées]

# Une Mesure des Retombées en Quantité d'effet: L'Avantage Collectif Net de Santé

- **L'Avantage Collectif Net « ACN »** d'une intervention en termes de santé publique est égale au niveau de santé qui est associé au traitement déduction faite des sacrifices sanitaires auxquels il faut consentir pour en assurer le financement.

$$ACN_1 = E_1 - C_1 / \lambda \qquad ACN_2 = E_2 - C_2 / \lambda$$

[ $\lambda$  = la valeur sociale de l'unité de résultat]

- **L'Avantage Collectif Additionnel Net « ACAN »** en termes de Santé Publique, d'un programme par rapport à un autre est égale à la différence entre le **surcroît de santé** redonnée  $\Delta E$  et le **surcroît de santé perdue** [ $\Delta C / \lambda$ ], lorsque la population ne peut pas accéder aux soins auxquels elle aurait pu prétendre du fait, d'un accaparement des ressources par d'autres priorités sanitaires.

$$ACAN = \Delta E - \frac{\Delta C}{\lambda} > 0$$

- Règle de Décision :  
→ Adopter la nouvelle technologie si  $ACAN(\lambda) > 0$

# Une Mesure des Retombées En Valeur : Le Bénéfice Collectif Net de Santé

- **Le Bénéfice Net de Santé (BNS)** est égale à l'utilité des bénéfices thérapeutiques qui lui sont associés, monétarisée sur la base des efforts financier considéré comme socialement acceptable par la collectivité moins le coût des moyens qui doivent être mis en œuvre pour les obtenir

$$\text{BSN}_1 = \lambda^* E_1 - C_1 \qquad \text{BSN}_2 = \lambda^* E_2 - C_2$$

[ $\lambda$  = la valeur sociale de l'unité de résultat]

- **Le Bénéfice Additionnel Net de Santé « BANS »** d'un programme par rapport à un autre, est égal à la différence entre l'utilité du surcroît de santé redonnée  $\lambda^* \Delta E$ , valorisée sur la base des efforts financiers considérés comme acceptables par la collectivité, et le montant supplémentaire des dépenses [ $\Delta C$ ] qui doivent être engagées, pour en assurer la mise en place

$$B C A N = \lambda^* \Delta E - \Delta C > 0$$

- **Règle de Décision :**

→ Adopter la nouvelle technologie si BCAN ( $\lambda$ ) > 0

*Le B-CANS est exprimé en unités monétaires, alors que A-CANS était mesuré en termes d'amélioration de l'état de santé de la population,*

# Comment Faire le Bon Choix ?

- Une décision sera dite bonne pour la Santé Publique, si le *bilan net* des avantages et des inconvénients supplémentaires qui en découlent en termes d'état de santé de la population est strictement supérieur à zéro par rapport à celui qui aurait été observé si la décision n'avait pas été prise

$$\begin{array}{l} \text{Gains} \\ \text{additionnels} \\ \text{nets de Santé} \\ \text{Publique} \end{array} = \begin{array}{l} \text{Amélioration de l'état} \\ \text{de santé imputable} \\ \text{au projet} \end{array} - \begin{array}{l} \text{Virtualités de santé} \\ \text{sacrifiées du fait de} \\ \text{son financement} \end{array}$$

- Pour rendre le concept opérationnel, il suffit !!!! de mesurer les réalités qu'il recouvre

**Prochain cours :  
Eclairer la décision publique**



**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**



# ***COURS EVALUATION ECONOMIQUE EN SANTE : COMMENT ECLAIRER LA DECISION PUBLIQUE***

*Professeur Robert LAUNOIS*

*REES Réseau d'Evaluation en Economie de la Santé*

**28, rue d'Assas**

**75006 Paris – France**

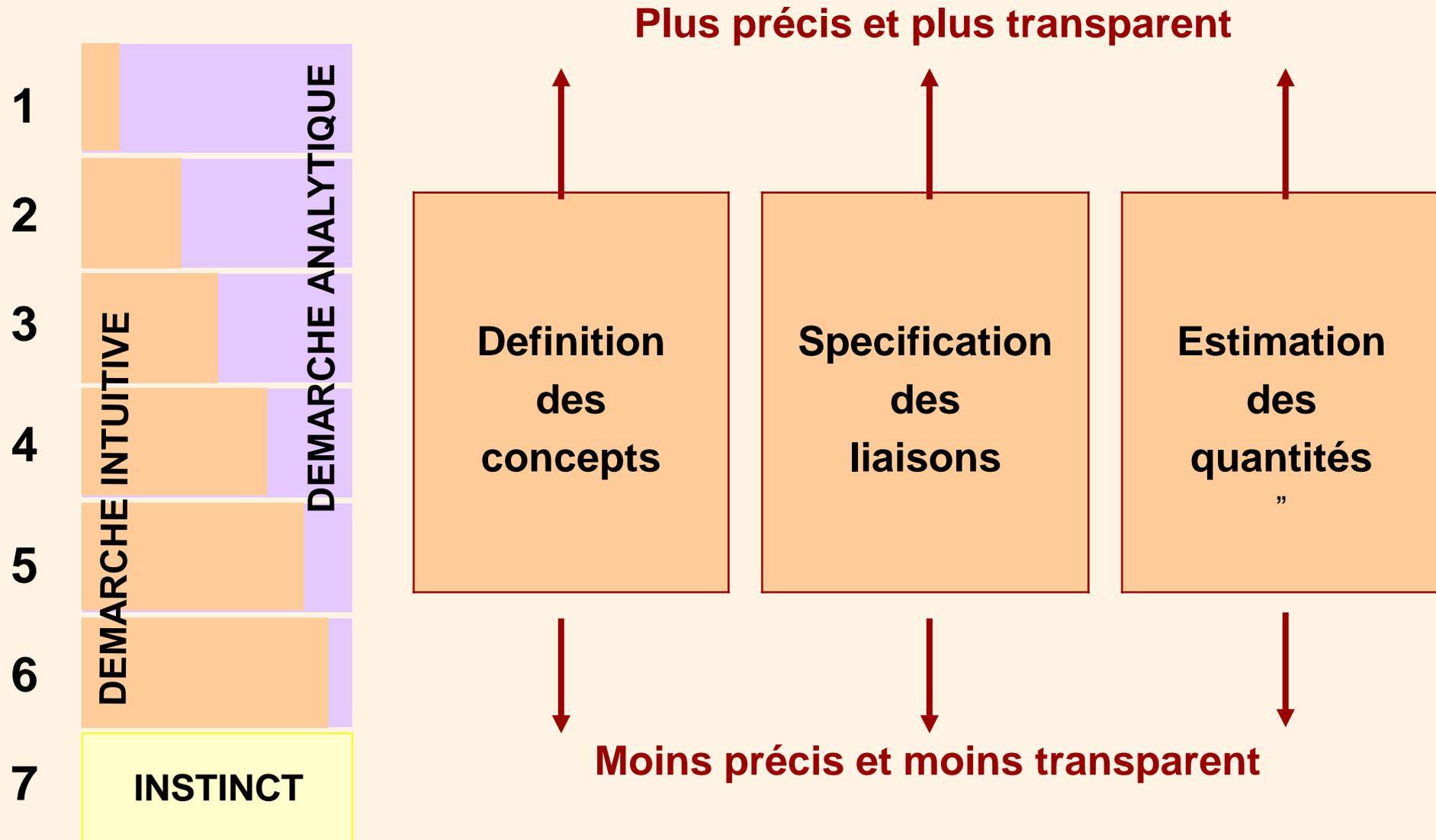
Tel . 01 44 39 16 90 – Fax 01 44 39 16 92

E-mail : [reesfrance@wanadoo.fr](mailto:reesfrance@wanadoo.fr) - Web : [www.rees-france.com](http://www.rees-france.com)

# Plan du Cours

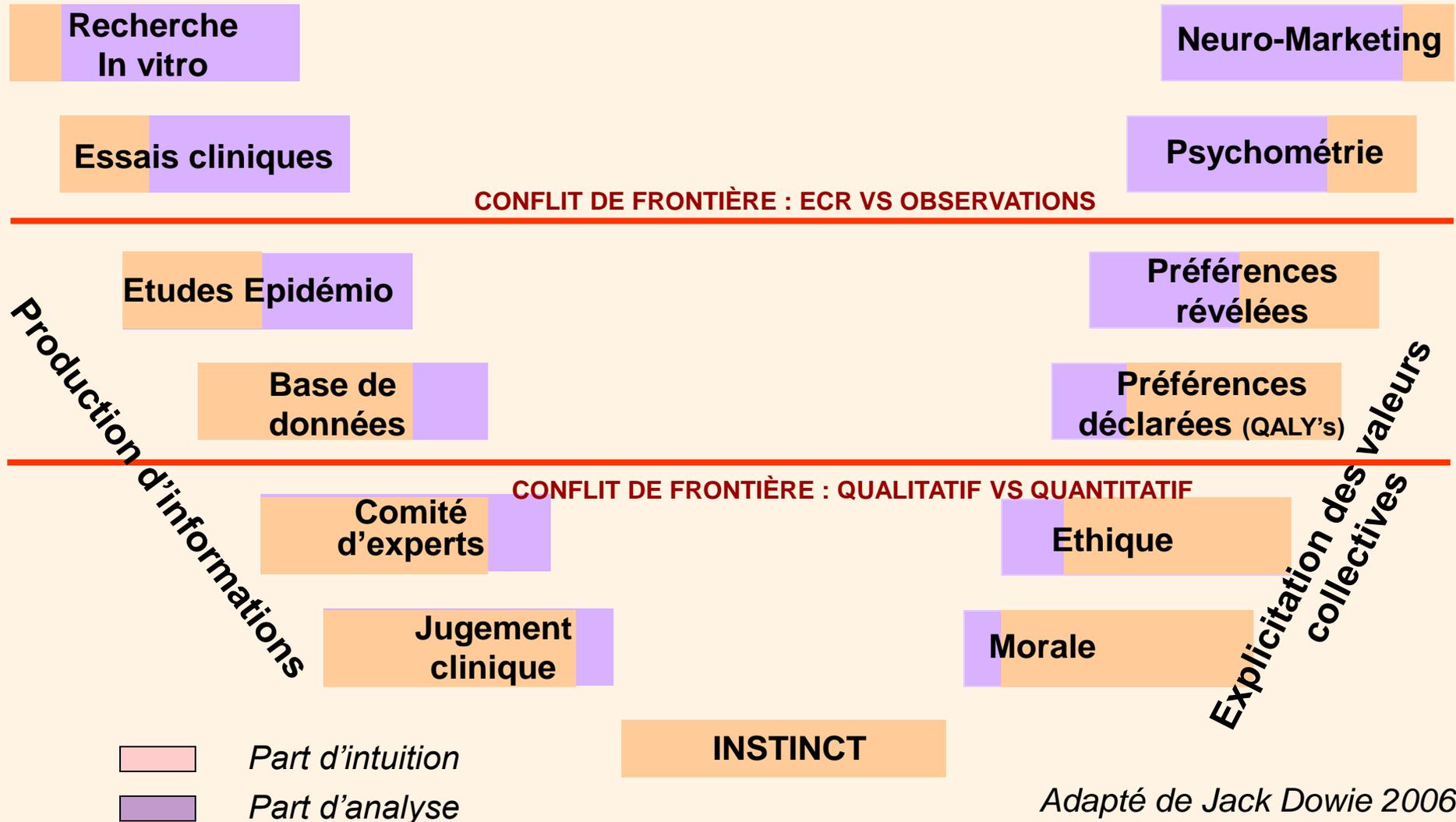
- **LES SCHEMAS D'ETUDES**
  - Pour la CT...
  - Pour le CEPS
  - Pour la CEESP
- **LES METRIQUES**
  - Le traitement est-il efficace ?
  - Est il utile pour le patient ?
  - Combien ça coûte ?
- **LES SIMULATIONS**
  - Construire une représentation stylisée...
  - Modèle déterministe classique
  - Analyse de sensibilité probabiliste
- **LA PRESENTATION DES RESULTATS**
  - L'amélioration de la qualité des soins
  - Le retour sur investissement
  - Courbe d'acceptabilité sociale et intérêt net de santé publique
- **COMMENT ECLAIRER LA DECISION PUBLIQUE ?**

# La Prise de Décision: Entre Intuition et Analyse



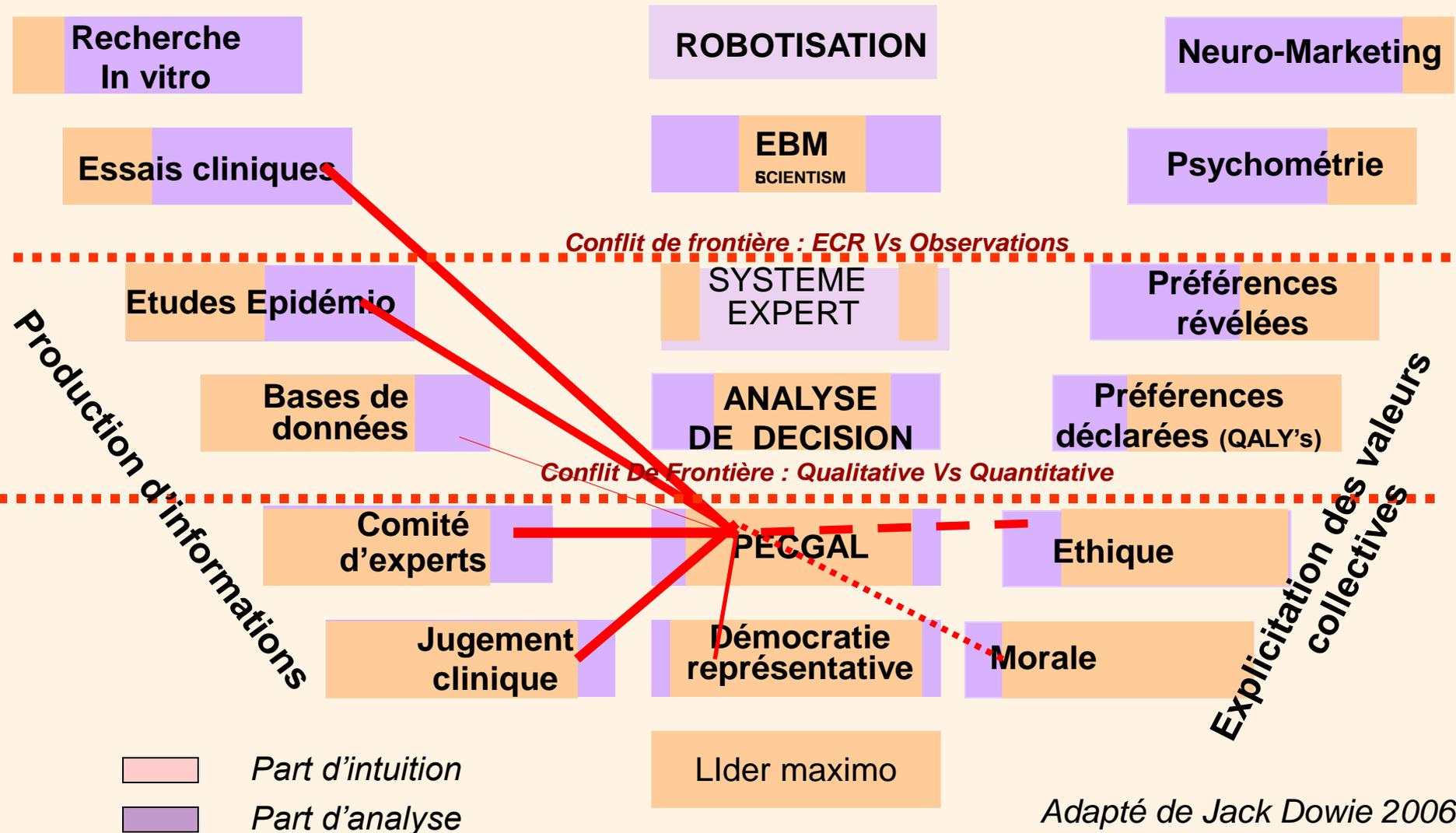
# Technologies du Savoir, de la Décision, et de l'Elicitation des Valeurs collectives

## Procédures d'aide à la décision publique



# Prendre en Compte et Garder à l'Esprit: « PEGAL » Une forme de Synthèse Intuitive

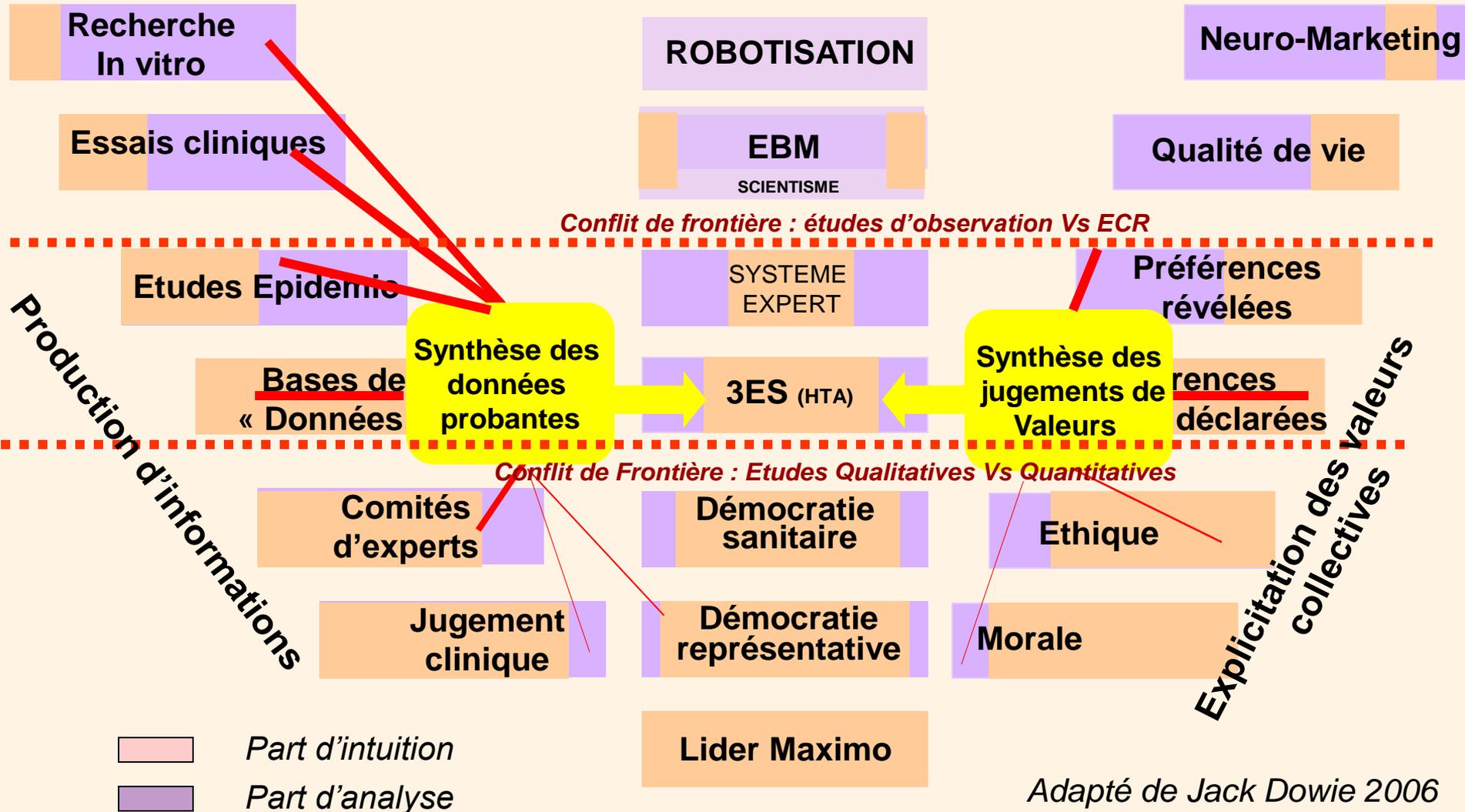
## Procédures d'aide à la décision publique



Adapté de Jack Dowie 2006

# 3ES : Une Approche Documentant les Aspects Scientifiques, Organisationnels et Ethiques des Choix Collectifs

## Procédures d'aide à la décision publique



Adapté de Jack Dowie 2006

# Conclusion d'ensemble

## LES AVANCEES DE L'ECONOMIE MEDICALE AU COURS DES CINQ DERNIERES ANNEES, BOULEVERSENT LES METHODES D'ÉVALUATION

- ***L'incertitude*** qui entoure la prise de décision à un moment donné du temps, est systématiquement intégrée dans l'analyse
- De ***nouveaux critères*** de jugement apparaissent :
  - Evaluation de la ***qualité de vie***
  - Estimation du ***surcroît d'investissement requis*** pour obtenir le service attendu ou rendu
- Une nouvelle conception de nos ***devoirs*** se forge:  
**« DONNER LE MEILLEUR » PAR EURO SOCIAL INVESTI**

# Sélection Bibliographique

- **\*\*Ades AE, Welton N, Lu G. Introduction to mixed treatment comparisons. MRC Health Services Research Collaboration 2006**
- Ades AE. A chain of evidence with mixed comparisons: models for multi-parameter synthesis and consistency of evidence. *Stat Med* 2003;22:2995–3016
- Ades AE, Claxton K, Sculpher M. Evidence synthesis, parameter correlation and probabilistic sensitivity analysis. MRC Health Service Collaboration 2004
- ++ Anemans L. **Budget impact analysis in Pharmaco-economics : from theory to practice.** Drug Discovery Series. CRC Press - 264 Pages. Edited By: R. J. G. Arnold. *Arnold Consultancy & Technology LLC, New York, USA* 2009.
- **Bernier J., Parent E., Boreux JJ., Statistiques pour l'environnement traitement bayésien de l'incertitude.** Edition Tec & Dos. Paris 2000
- **Beck JR, Pauker SG. A Convenient Approximation of Life Expectancy (The « DEALE » ) II. Use in Medical Decision Making.** *Am J Med*, 1982 ; 73 : 889.
- Boiteux M, Transports : Choix des investissements et nuisances. Commissariat Général du plan. Paris 2001.
- ++Briggs A, Sculpher M, Claxton K, **Decision modelling for health economic evaluation.** Handbook in health economic evaluation series. Oxford University press, 2006, 237 pages
- ++ Briggs A, Goeree R, Blachouse G, O'Brien B. **Probabilistic Analysis of Cost Effectiveness Models: Choosing between Treatment Strategies for Gastroesophageal Reflux Disease.** *Med Decis Making* 2002;22:298-308
- ++Briggs, A.H. **Statistical approaches to handling uncertainty in health economic evaluation.** *European Journal of Gastroenterology & Hepatology* 2004 16 (6). pp. 551-561
- **\*\*Bucher HC, Guyatt GH, Griffith LE, Walter SD. The results of direct and indirect treatment comparisons in meta-analysis of randomized controlled trials.** *J Clin Epidemiol* 1997;50:683-91
- **Denis JB. (Mia-Inra) et Ritz Magali (Mica-Inra). Notions de Base Utiles en Modélisation Stochastique de Phénomènes Complexes.** Accès internet 17/01:2012
- **Fenwick, E., O'Brien, B. & Briggs, A. Cost-effectiveness acceptability curves - facts, fallacies and frequently asked questions.** *Health Economics* 2004; 13 :405 –415
- **HAS Choix méthodologique pour l'évaluation économique à la HAS.** Paris octobre 2011. pp83
- ++ HIQA. **Guidelines for the Budget Impact Analysis of Health Technologies in Ireland.** Dublin: Health Information and Quality Authority;2010
- Gafni A, Birch S. Incremental cost-effectiveness ratios (ICERs): the silence of the lambda. *Soc Sci Med.* May 2006;62(9):2091-2100
- ++ Jansen JP, Crawford B, Bergman G, Stam W. **Bayesian meta-analysis of multiple treatment comparisons: an introduction to mixed treatment comparisons.** *Value Health.* 2008 Sep-Oct;11(5):956-64
- ++ Launois R., Avouac B., Berenbaum F., Blin O., Bru I., Fautrel B., Joubert J.-M., Sibilia J., Combe B., **Comparison of Certolizumab Pegol with other anti-cytokine agents for the treatment of rheumatoid arthritis : a multiple-treatment bayesian meta-analysis,** *The Journal of Rheumatology*, 2011 May;38(5):835-45
- Launois R « Les arcanes décryptées de l'analyse médico économique à l'usage du décideur » *Journal d'Economie Médicale* 2008. Vol 26 N° 6-7 : 331-349
- ++ Launois R, Payet S, Saidenberg-Kermanac'h N, Francesconi C, Franca LR, Boissier MC. **Budget impact model of rituximab after failure of one or more TNFalpha inhibitor therapies in the treatment of rheumatoid arthritis.** *Joint Bone Spine.* Dec 2008;75(6):688-695.
- ++ Launois R, Payet S, Riou Franca L, et al. **L'évaluation des technologies de santé : les protocoles de deuxième génération.** *Journal d'Économie Médicale.* 2006;24(5) : 213-228
- ++ Launois R. « Notions et mesure des coûts en fonction de la perspective choisie » in *Guide méthodologique pour l'évaluation des actions de santé, recommandations méthodologiques – CES Paris 2003.* Annexe 1 repris dans Launois R., Vergnenegre A., Garrigues B. *Notions et mesure des coûts en fonction de la perspective choisie.* *Bulletin du cancer.* Novembre 2003 ; 90 (11) : 146-154..
- Lebègue D. *Revision du taux d'actualisation des investissements publics.* Commissariat Général du Plan -Paris 2005.
- ++ Lu G, Ades AE. **Combination of direct and indirect evidence in mixed treatment comparisons.** *Stat Med.* Oct 30 2004;23(20):3105-3124.
- **Luce B, Drummond M, Jönsson B et al, EBM, HTA and CER : Clearing the Confusion,** *The Milbank Quarterly*, 2010, 88 (2) : 256-276
- Mauskopf JA, Sullivan SD, Anemans L, et al. Principles of good practice for budget impact analysis: report of the ISPOR Task Force on good research practices--budget impact analysis. *Value Health.* Sep-Oct 2007;10(5):336-347.
- ++Mauskopf J. **Prevalence-based economic evaluation.** *Value Health.* Nov 1998;1(4):251-259.
- **\*\* Moher D, Liberati A, Tetzlaff J, Altman DG; PRISMA Group. Preferred reporting items for systematic reviews and meta-analyses: the PRISMA statement** *Ann Intern Med* August 18, 2009 151:264-269
- ++ Orlewska E, Gulacsi L. **Budget-impact analyses: a critical review of published studies.** *Pharmacoeconomics.* 2009;27(10):807-827.
- **\*\*van Hout BA, Al MJ, Gordon GS, Rutten FFH. Costs, effects and C:E-ratios alongside a clinical trial.** *Health Econ* 1994; 3: 309–319.
- Saporta G., Drosbeke JJ., Fine J. *Méthodes bayésiennes en statistique.* Edition Technip. Paris 2002
- Spiegelhalter D J., Abrams K R., Myles J P. *Bayesian Approaches to Clinical and Health Care Evaluation.* John Wiley. Chichester 2004
- **\*\*Stinnett A, Mullaly J. Net health benefits: A new framework for the analysis of uncertainty in costeffectiveness analysis.** *Med Decis Mak* 1998; 18:68–80.
- Weinstein MC, Stason WB; *Foundations of cost-effectiveness analysis for health and medical practices* *Engl J Med.* 1977 ;296(13):716-21.

