



**CMU, GENÈVE
27-29 AOÛT 2018**

Big data : les faits ne sont pas des preuves

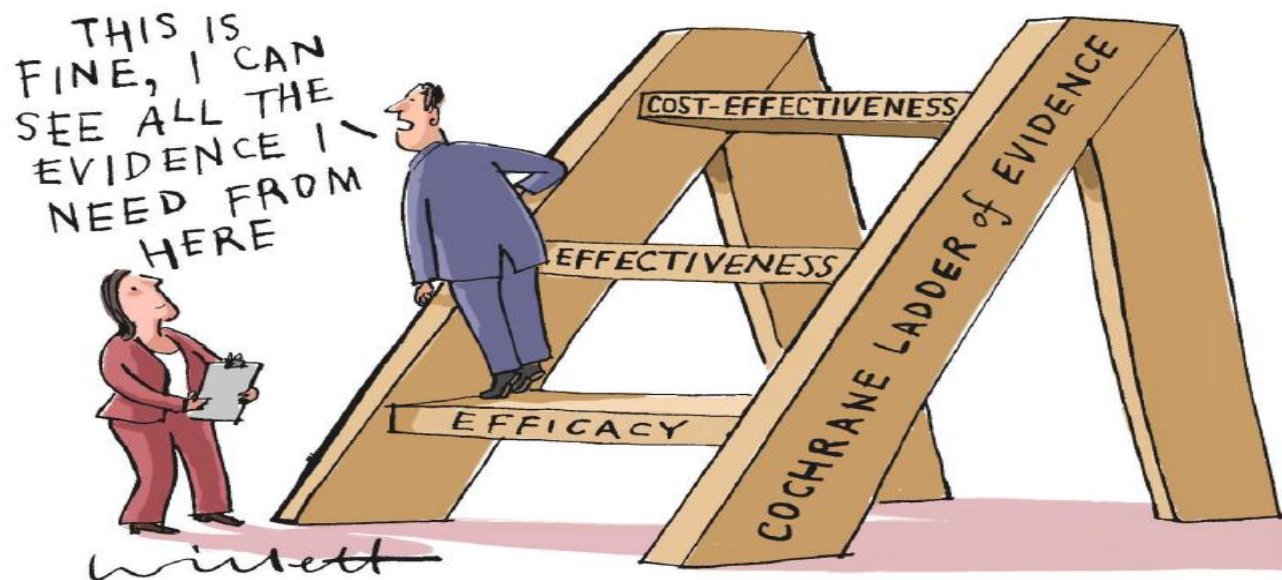
*Pr Robert Launois
Réseau d'Evaluation en Economie de la Santé*

***La santé malade
de ses coûts ?***

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

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

Is there an efficacy-effectiveness gap?



LES LIMITES DES ESSAIS RANDOMISÉS

Trop étriqués dans leurs effectifs

Approx. 2000 patients par essai

Trop rigoristes dans leurs protocoles

Pas ou peu de comorbidités

Pas de polymédication

Trop sélectifs dans leurs populations

Pas de jeunes ou de vieux

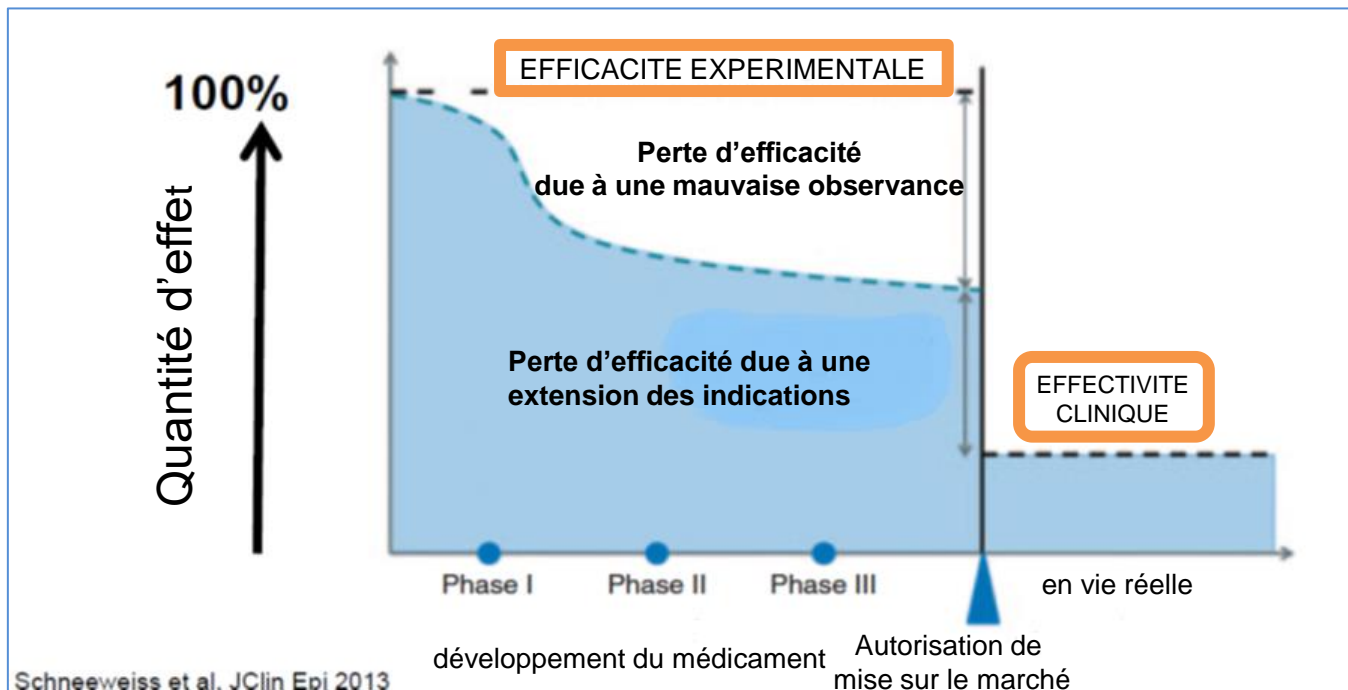
Pas de femmes

Trop restrictifs dans leurs indications

Indications très étroites

Trop bref dans leurs durées

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

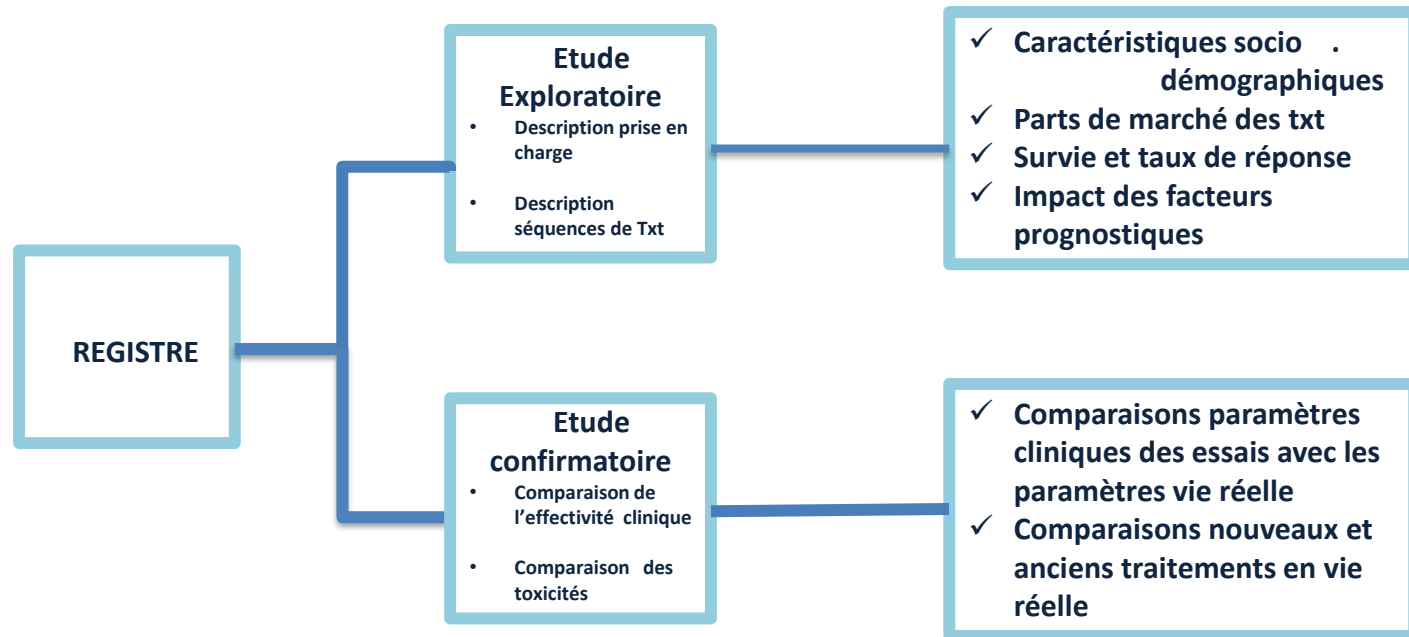


VIE RÉELLE... DE QUOI PARLE -T-ON?

TROIS DOMAINES DE DÉFINITION POSSIBLES

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

ETUDE DESCRIPTIVE vs ETUDE COMPARATIVE



DES PLANS D'ANALYSE DIFFERENTS SELON LES CAS



Etude exploratoire : étude non interventionnelle, non comparative

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

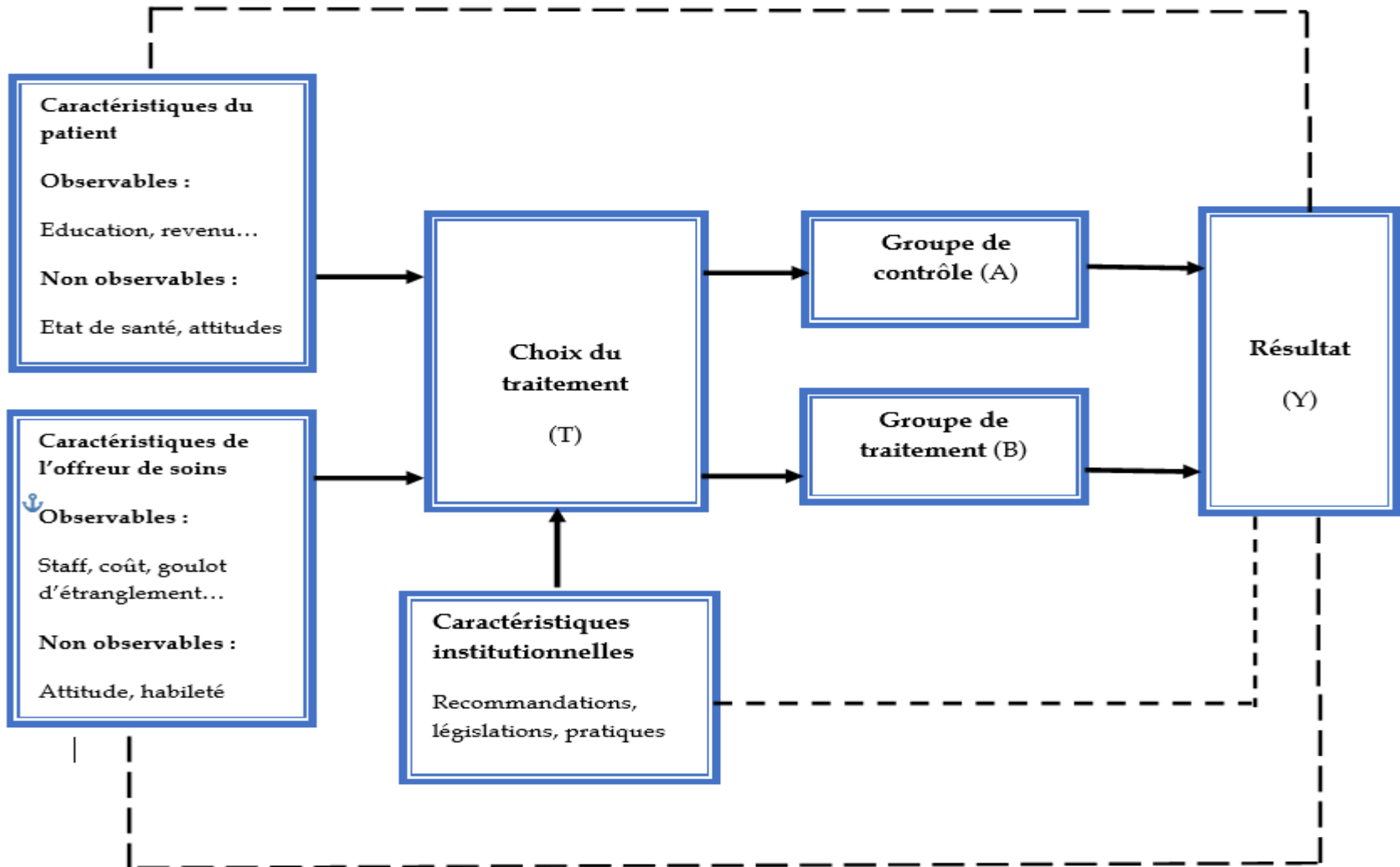
Etude comparative : essai pragmatique ; dossier médical partagé, BDMA

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

ATTENTION : BIAIS, BIAIS, BIAIS

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

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



TECHNIQUES ECONOMETRIQUES D'EXPLOITATION DES DONNEES EN VIE REELLE

Facteurs de confusion

Observables

Non observables

Echantillon

Plan d'analyse

Non observables
mais
mesurables
sur critères de
substitution
BDMA

Non observable et Non
mesurable

Echantillon

Plan d'analyse

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

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

Les Recommandations de l'ISPOR de 2017

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

WILEY

ORIGINAL REPORT

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

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

WILEY

ORIGINAL REPORT

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

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