Atelier Technique JEGM- REES INTEGRER LES PREFERENCE DES PATIENT DANS LA DECISION PUBLIQUE Séminaire en présentiel Paris 24 Novembre 2022

SESSION I

Quand, comment, pourquoi intégrer les préférences patients dans les décisions :

Robert Launois - Elise Meto
RESEAU 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

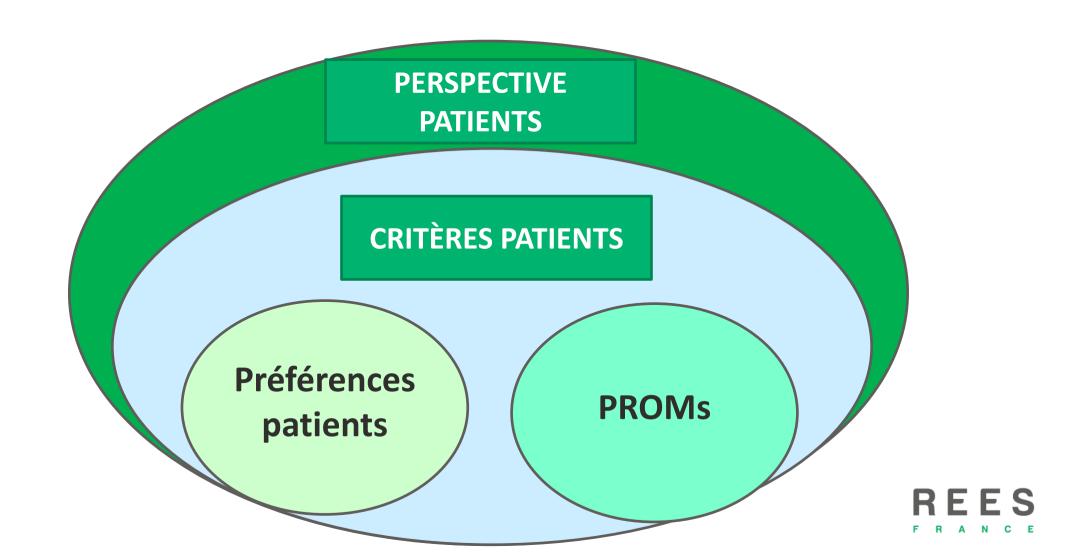




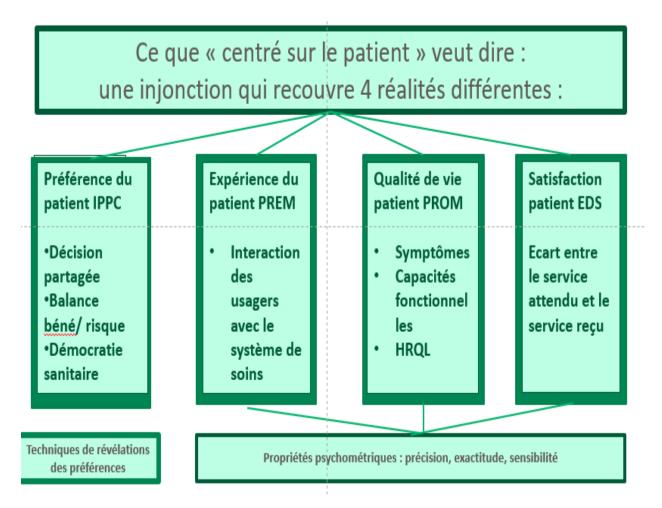
La perspective patient : un large éventail de contributions et de critères d'analyse

Perspective patients Perspective Multiples témoignages des patients Critères patient représentants des association de malades dans le cadre de Il s'agit d'un type de données comités consultatifs, d'opinions fournies par les patients, qui exprimées publiquement, comprennent des informations notamment par le biais des relatives à leur expérience d'une forums sociaux, de réponses des maladie ou d'une affection et de sa patients à des enquêtes gestion. Les préférences des qualitatives ad hoc et des Critères patients sont un sous-ensemble mesures quantitatives des patients de cette catégorie déclarations des patients **PROMs** Préférences des patients Etude sur l'état de santé ressenti Evaluation qualitative ou quantitative directement exprimé par les Préférences de la désirabilité relative ou de **PROMs** patients, sans interprétation de patients l'acceptabilité relative d'options leurs réponses par un clinicien alternatives, thérapeutiques ou non ou toute autre personne thérapeutiques.

De quoi parle -t-on



Ecouter les patients avec quels outils? pour explorer quelles dimensions?



- IPP/PPS : Incorporation des préférences des patients dans les choix individuels et collectifs :
- PREMs: Evaluation factuelle par les usagers des expériences qu'ils ont vécues au cours de leur fréquentation du système de soins;
- PROMs : Evaluation par les malades de la qualité de vie perçue;
- SATISFACTION: Evaluation par le client de l'écart existant entre le service qu' il attendait et celui qui lui a été fourni;

À DISTINGUER DES CROMs évaluation par les médecins du service médical rendu.



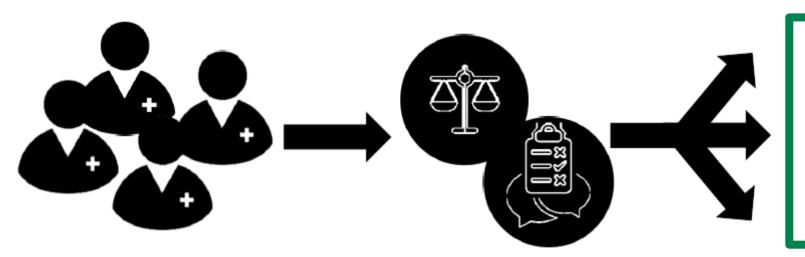
Intégration des savoirs expérientiels dans l'évaluation

- « Expérience patient » un terme regroupant deux dimensions :
 - Une d. relationnelle : être traité par les soignants avec respect comme une personne unique, recevoir une information personnalisée, partager les décisions dans le cadre de l'alliance thérapeutique;
 - **Une d. fonctionnelle**: décrire les difficultés objectives que rencontre l'usager dans son parcours de soins: temps d'attente, coordination, continuité (\rightarrow c'est donc # des résultats, de la QdV, de la satisfaction)
- Qui articule aspects qualitatifs et aspects quantitatifs:
 - Qualitatif → liste des expériences positives et négatives vécues par le patient;
 - Quantitatif → Priorisation de ces éléments en fonction de l'importance que la personne malade y attache;



Cerner les préférences des patients, cela veut dire quoi?

C'est permettre aux personnes malades d'identifier le degré de leur préférence visà-vis d'une option thérapeutique par rapport à une autre (~ évaluer le Taux Marginal de Substitution) et de choisir l'option qui est la plus en cohérence avec à leurs valeurs après en avoir mesurer les avantages et les inconvénients



Qu'est ce qui est important ?

Quel est l'ordre des priorités ?

Quels sont les arbitrages à faire ?

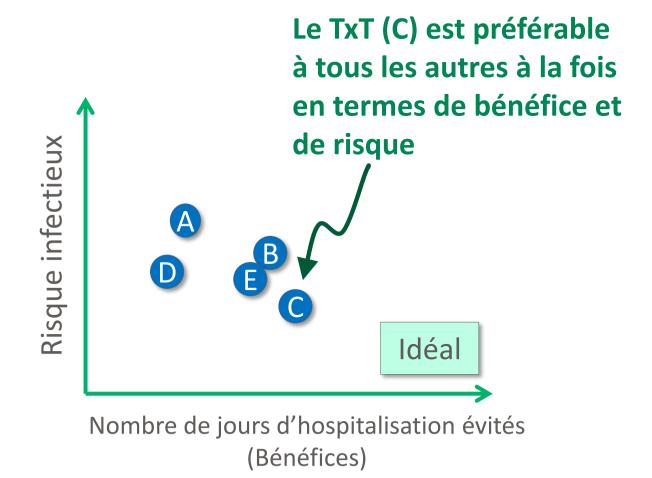


Préférences patients : quand est il utile de les prendre en compte?

- 1. Quand on s'intéresse aux caractéristiques les plus importantes d'un traitement ou d'une indication spécifique (bénéfices, risques, mode d'administration) ;
- 2. Quand plusieurs options thérapeutiques existent et qu'aucune d'entre elles n'est clairement supérieure à une autre ;
- 3. Quand une des critères de jugement oriente le choix vers une option thérapeutique de préférence à une autre mais qu'elle ait entachée d'une forte incertitude, il est nécessaire de savoir dans quelle mesure les patients sont prêt à l'accepter;
- 4. Quand on veut connaître l'hétérogénéité des préférences parmi les patients ou entre les patients et d'autres parties prenantes.

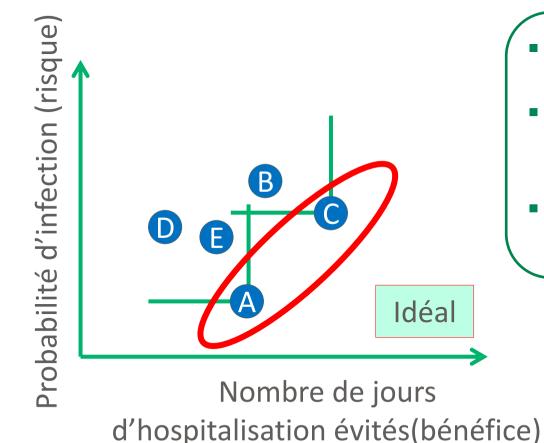


Connaître les préférences patients n'est pas toujours nécessaire





Mais elles sont parfois incontournables pour choisir le meilleur traitement



- Entre (A) moins d'infections et une hospit + longue (- de jours d'hosp évités)
- Et (C): plus d'infections et une hospitalisation plus courte (+ de jours d'hosp évités)
- Le malade est amené à faire un arbitrage en fonction de ses préférences.



De la théorie du consommateur à l'expression quantifiée des préférences

- 1983 DCE proposé par Louviere J, Woodworth G "Design and Analysis of Simulated Consumer Choice or Allocation Experiments: An Approach Based on Aggregate Data". Journal of Marketing Research. 20 (4): 350–367.
- 1990 BWS développé par Louviere J, Woodworth G. "Best-worst scaling: A model for the largest difference judgments": Working paper. Univ Alta 1990 Publié avec Finn en 1992 sous le titre : "Determining the Appropriate Response to Evidence of Public Concern: The Case of Food Safety". Journal of Public Policy and Marketing, 11, 12-25.
- **2009** Cohen E, d'hauteville F, S. Goodman et al « Une étude interculturelle des critères de choix d'un vin au restaurant » publié en anglais par Cohen E, d'hauteville F, Sirieix, L sous le titre "A cross-cultural comparison of choice criteria for wine in restaurants" Int J Wine Bus Res 2009;21:50–63
- Dekhili S, Sirieix, L. « Importance des critères de choix de l'huile d'olive. La méthode Best Worst » Économie Rurale :119–31
- Nature 1 2012 Thèse N. Krucien « Analyse de la qualité de l'offre de soins de médecine générale du point de vue des patients » Université Paris Sud-Paris XI,
- **2014** Thèse J. Sicsis Impacts des incitatifs économiques en médecine générale : Analyse des préférences et des motivations des médecins ». Phd thesis. Université Paris Dauphine Paris IX.
- **2016** Thèse J.D. Bardet « Les pratiques pharmaceutiques collaboratives en soins de premier recours dans le contexte de l'émergence des technologies de l'information et de la communication. Modèles, méthodes et algorithmes pour la Biologie, » la Santé et l'environnement. Université Grenobl Alpes, 2016.
- **2018** Sicsic J, Pelletier-Fleury N, Moumjid N. Women's Benefits and Harms Trade-Offs in Breast Cancer Screening: Results from a Discrete-Choice Experiment. Value Health 2018 jan;21:78–88.
- Sicsic, Pelletier-Fleury N, Carretier J, et al. Éliciter les préférences des femmes pour le dépistage du cancer du sein. Santé Publique. 2019;S2(HS2):7-17
- 2019 Chouaid C, Germain N, De Pouvourville G, et al.. Patient preference for chronic obstructive pulmonary disease (COPD) treatment inhalers: a discrete choice experiment in France. Curr Med Res Opin. 2019 May;35(5):785-792.
- Senbel E, Durand F, Roux B, Badaoui FZ, Fautrel B. Elicitation of Rheumatologist Preferences for the Treatment of Patients with Rheumatoid Arthritis After the Failure of a First Conventional Synthetic Disease-Modifying Anti-Rheumatic agent; Rheumatol Ther. 2021 Jun;8(2):921-935.
- **2022 Launois R, Cabout E, Benamouzig D, V**elpry L, Briot K, Alliot F, Perrin L, Grange L, Sellami R, Touboul C, Joubert JM, Roux **Barriers and Expectations for Patients in Post-Osteoporotic Fracture Care in France: The EFFEL Study.** Value Health. 2022 Apr;25(4):571-581.
- 3022 Sicsic J, Blondel S, Chyderiotis S, Langot F, Mueller JE. Preferences for COVID-19 epidemic control measures among French adults: a discrete choice e
- Eur J Health Econ. 2022 Mar 19:1-18.

Initiatives en Europe des organisations gouvernementales et non gouvenementales

Promoteur	pays	porteur	date	Objectifs	Réf
Gouvernement	All	IQWiG	2010	ETUDE PILOTE utilisant la procédure hiérarchique d'analyse : AHP dans la dépression pour explorer comment fixer le prix des nouveaux médicaments en prenant en compte les poids que les patients accordent aux différentes caractéristiques des produits	
Gouvernement	All	IQWiG	2010	• ETUDE PILOTE MCD dans l'hépatite C pour explorer la capacité de la méthode à révéler les préférence patient et son utilité pour éclairer les choix médico économiques. L'étude conclue que les PP doivent considérées comme des données probantes à intégrer dans les décisions concernant l'admission au remboursement et la fixation du prix	
Gouvernement	All	IQWiG	2010	 Adaptation du concept de la frontière d'efficience pour servir de cadre à l'évaluation du rapport coût-efficacité et, indirectement, à la tarification et au remboursement des ETS 	
Gouvernement	Austr alie.	PBAC	2013	 Recommandation positive (exenatide 2mg une fois par semaine) suite à un DCE révélant les avantages potentiels pour la santé d'une amélioration probable de l'observance 	
Gouvernement	GB	NICE	2017	 ETUDE DE FAISABILITÉ sur 2 ans pour explorer comment éliciter et incorporer quantitativement les PP dans l'évaluation des technologies de santé (en collaboration avec Myeloma UK). 	
Partenariats privé/public	EU	INTEGRATE	2013/15	Le module 4 d'INTEGRATE-HTA préconise d'intégrer dans l l'évaluation des technologie de santé (ASMR, ACE/ACU) les questions sociales, culturelles, éthiques, juridiques et organisationnelles, ainsi que 'hétérogénéité des préférences des patients	



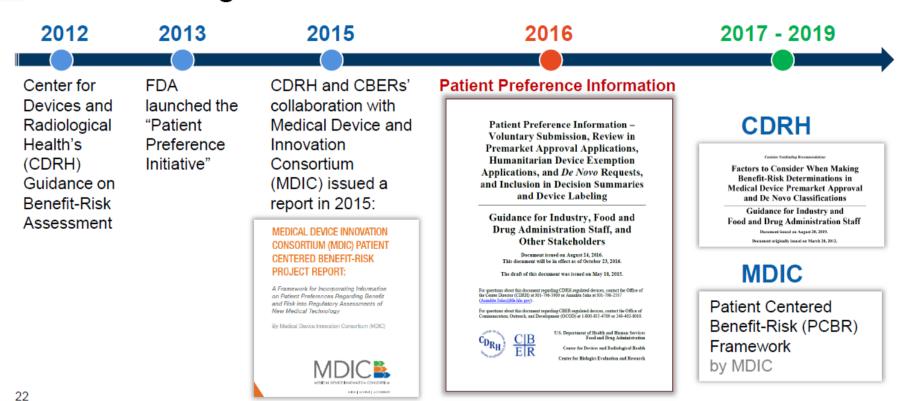
Initiatives aux USA des organisations gouvernementales et non gouvenementales

Promoteur	Programme	Leader(s)	Années	Publications
FDA	PATIENT FOCUSED DRUG DEVELOPMENT PPDD	 CDER Center drug evaluation & research CDRH Center for devices & radiological health 	2012 2017	55 indications sélectionnées 25 Débats publics expériences patients organisés
FDA	PATIENT PREFERANCE INITIATIVE	 CDRHCenter for devices & radiological health 	2013	2016 PFDD CDRH Patient Preference Information CDRH Voluntary Submission, Review in Premarket Approval Applications, Humanitarian Device Exemption Applications, and De Novo Requests, and Inclusion in Decision Summaries and Device Labeling (August 2016).
FDA	PATIENT PREFERANCE INITIATIVE	■ RTI international sous l'égide CDRH	2013	2015 Weight loss devices DCE Risque maximal acceptable, bénéfice miminal acceptable
Association	PARENT PROJECT MUSCULAR DYSTROPHY GROUP	 PPMDG sous l'égide CDRH 	2013	2015 Recommandation officielle de la fda sur la prise en charge de la maladie de Duchenne ».
FDA	PATIENT FOCUSED DRUG DEVELOPMENT PPDD GUIDANCES	 CDER Center drug evaluation & research 	2019 2022	(i) Guidance for Industry PFDD CDER Patient-Reported Outcome Measures: Use in Medical Product Development to Support Labeling Claims. Final version 2009; (ii) PFDD-CDER Guidance 2: Processes and methodological approaches to the development of holistic sets of impacts that are most important to patients; Draft 2018 (iii)PFDD6-CDER Guidance 3: Approaches to identifying and developing measures for an identified set of impacts which may facilitate collection of meaningful patient input in clinical trials Draft 2022.(iv) PFDD-CDER Guidance 4: Methods and Technologies for Clinical Outcome Assessments—revising or supplementing the 2009 Guidance to Industry on Patient-Reported Outcome Measures. Draft 2022
Partenariat public/privé	MEDIC	 MEDIC Medical device innovation consortium 	2012 2022	2015 Publication « Framework & Catalog of Methods for 'Incorporating Information on Patient Preferences Regarding Benefit and Risk into the Regulatory Assessments of New Medical Technologies. 2016 case study Using the MDIC Patient Centered Benefit-Risk Framework to Support an Expanded Indication



Initiatives de la FDA (1)

FDA 2016 PPI guidance is a result of multi-stakeholder collaboration and FDA informs further guidance of their use in benefit-risk assessment.





Initiatives de la FDA (2)



PPI guidance recommends: voluntary submissions of PPI, both qualitative and quantitative, may be useful with benefit-risk assessment

Patient Preference Information – Voluntary Submission, Review in Premarket Approval Applications, Humanitarian Device Exemption Applications, and *De Novo* Requests, and Inclusion in Decision Summaries and Device Labeling

Guidance for Industry, Food and Drug Administration Staff, and Other Stakeholders

Document issued on August 24, 2016. This document will be in effect as of October 23, 2016.

The draft of this document was issued on May 18, 2015.

For questions about this document regarding CDRH-regulated devices, contact the Office of the Contex Director (CDRH) at 301-796-5900 or Annabits Salas at 301-796-2537 (Annabits Salas at 301-796-2537)

For questions about this document regarding CBER-segulated devices, contact the Office of Communication, Outreach, and Development (OCOD) at 1.900.035.4709 or 2.01.401.800.0





U.S. Department of Health and Human Service: Food and Drug Administration Center for Device: and Radiological Health

Center for Biologics Evaluation and Research

2016

Purpose & uses:

- Identify the most important benefits & risks
- Relative importance of the attributes (incl. MCI effect size)
- Help understand heterogeneity (subgroups)
- PPI may be useful when patient decisions are preference sensitive while:
 - multiple options exist, none is clearly superior;
 - evidence is considerably uncertain or variable;
 - patients' views are heterogeneous or differ from HCPs
- The guidance outlines recommended qualities of patient preference studies (PPS) to be included as valid scientific evidence.
- Differentiates PPI from PRO and drafts accepted methods for PPI.
- The guidance helps to understand "how PPI may inform decision making via several examples".



« Fathers of MCD/MCE »

- Basé sur 3 théories du comportement humain
- 1. Théorie de l'utilité aléatoire (Thurstone, 1927)

$$U = V + e$$

2. Caractéristiques de la théorie de la demande (Lancaster, 1966)

$$V = f(X, b)$$

3. Théorie des préférences révélées (Samuelson, 1938)

$$A > B \ alors \ U(A) > U(B)$$

→ Maximisation de l'utilité aléatoire (McFadden, 1974)



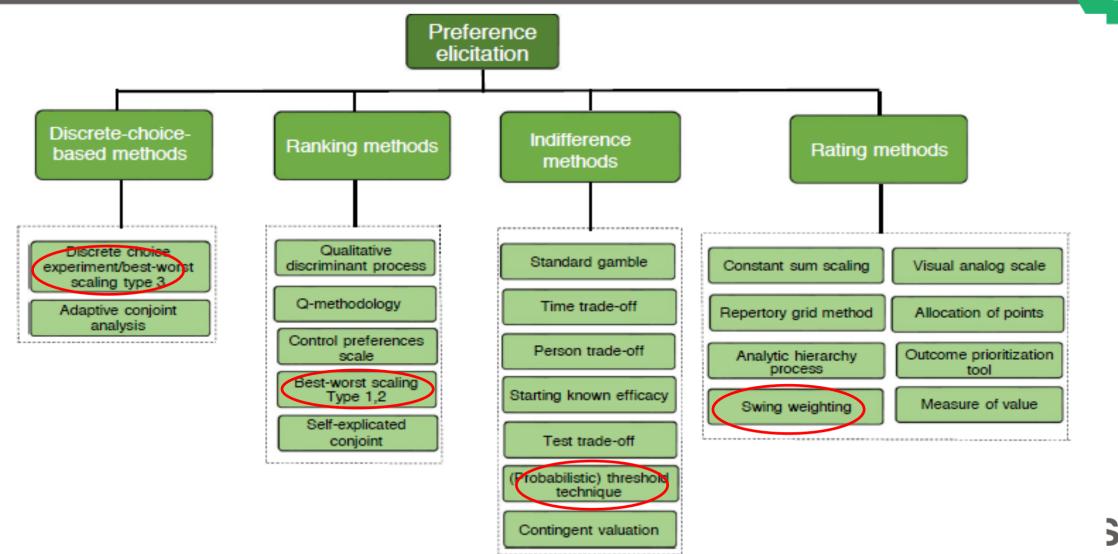








Demander le catalogue complet!



Soekai Drug Discovery Today Volume 24, Number 7 July 2019

Quelle méthode de révélation des préférences employer?

Caractéristiques méthodologiques	Méthode des Choix Discrets (MCD)	Méthode des Choix Extrêmes – 1 (MCE 1)	Méthode des Choix Extrêmes – 2 (MCE 2)	Technique des seuils	Technique du « swing » pondéré
Evaluation des modalités des caractéristiques du produit ?	Oui	Non	Oui	Non	Non
Classement par ordre d'importance ou arbitrage	Arbitrage	Ordre d'importance – Importance Relative	Ordre d'importance – Importance Relative	Arbitrage	Ordre d'importance – Importance Relative
Arbitrages : choix entre plusieurs caractéristiques simultanément ?	Oui	NA	Oui	Non	NA
Prise en compte des interactions entre les caractéristiques du produit ?	Oui	Non	Oui	Non	Non



Propriétés des différentes techniques

Caractéristiques méthodologiques	Méthode des Choix Discrets (MCD)	Méthode des Choix Extrêmes – 1 (MCE 1)	Méthode des Choix Extrêmes – 2 (MCE 2)	Technique des seuils	Technique du « swing » pondéré
Estimation individuelle ou collective	Collective	Les deux	Les deux	Les deux	Les deux
Prise en compte de l'hétérogénéité des préférences	Oui	Oui	Oui	Oui	Oui
Taille minimale de l'échantillon requise	>100	>50	>50	>50	Groupe animé : 5-10 Enquête : + grande
Nombre de caractéristiques à évaluer	Limité	Moins limité	Limité	Moins limité	Moins limité





La théorie derrière les MCD

- Méthode la plus couramment utilisée en économie de la santé pour révéler les préférences des individus
- Repose sur l'hypothèse de Lancaster :

Les traitements ou les dispositifs médicaux peuvent être décrits par leurs caractéristiques (appelées également « attributs »)

Repose sur la théorie de l'utilité aléatoire de McFadden :

Les préférences sont basées sur des caractéristiques observables (l'attribut en lui-même) et sur des caractéristiques inobservables / aléatoires



Principes des MCD

- Afin de connaître, les préférences vis-à-vis d'une certain traitement, plusieurs options de traitement (profils/alternatives) sont présentées simultanément et successivement au répondant.
- Généralement, le répondant fait un choix entre deux alternatives de traitements (statuquo vs traitement innovant) qui sont chacune décrites par les mêmes attributs mais aux niveaux différents.
- Les répondants sont invités à choisir parmi les deux alternatives celle qu'ils préfèrent ou celle qu'ils considèrent comme la meilleure / la plus importante



Illustration n°1

Caractéristiques	Dispositif A	Dispositif B	
Type d'opération	Chirurgie ouverte	Chirurgie ouverte	
Restriction alimentaire	Attendre 4h avant de manger	Ne pas manger de sucreries ou d'aliments difficile à digérer	
Perte de poids moyenne	30kg	15kg	
Durée de la perte de poids	5 ans	6 mois	
Réduction moyenne de la dose de médicaments pour le diabète	Suppression totale	50% de la dose actuelle	
Durée moyenne des effets indésirables	1 an	1 moins	
Risque d'El nécessitant une hospitalisation	5%	5%	
Risque de décès lié au dispositif	1%	15%	
Quel dispositif pensez vous être le meilleur, selon-vous ?			

Ho, Gonzalez (Surg Endosc, 2015)



Illustration n°2

Personne A	Personne B
La semaine dernière, à quelle fréquence avez-vous eu ?	
Quelques fois	Quelques fois
Souvent	Quelques fois
Quelques fois	Souvent
Jamais	Quelques fois
Quelques fois	50% de la dose actuelle
Quelques fois	Quelques fois
Souvent	Souvent
Souvent	Souvent
Selon-vous, quelle personne a la meilleure qualité de vie ? Personne A Personne B Personne A et Personne B ont a même qualité de vie	
	La semaine dernière, à quelle fréquence avez-vous eu ? Quelques fois Souvent Quelques fois Jamais Quelques fois Quelques fois Quelques fois Souvent Souvent Selon-vous, quelle personne a la meilleure qualité de vie ? Personne A Personne B

La mesure de quoi ?

Les MCD permettent de :

- Mesurer les préférences moyennes d'un échantillon (score/poids des préférences)
- Quantifier la balance bénéfice risque (MCD : méthode indirecte) :
 - ✓ Calculer le taux auquel les individus sont prêt à faire des arbitrages entre les attributs, pour un niveau d'utilité inchangé = Taux Marginaux de Substitution (TMS)
 - ✓ Calculer le Maximum Acceptable Risk (MAR) : niveau de risque le plus élevé qu'un individu moyen accepterait en échange d'un certain niveau de bénéfice & le Minimum Acceptable Benefit (MAB) : niveau minimum de bénéfice requis pour accepter un certain niveau de risque



Poids des préférences

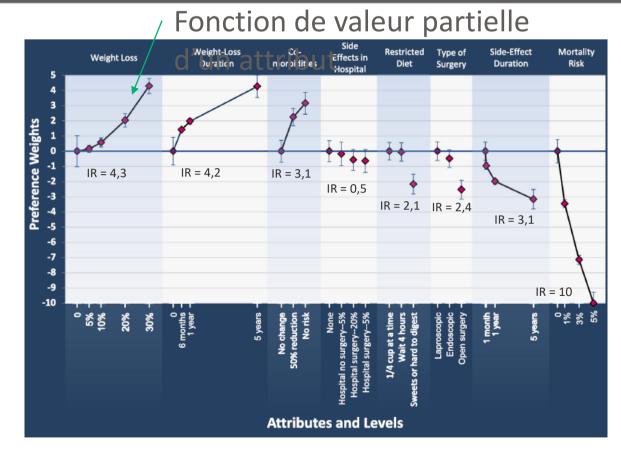
- L'analyse des résultats des MCD est réalisée par des modèles économétrique tels que le modèle logit et le modèle probit
- Les estimation issues de ces modèles statistiques fournissent un paramètre unique pour chaque niveau d'attribut (β) qui représente la contribution relative de ce niveau d'attribut à la probabilité qu'un profil incluant ce niveau d'attribut soit choisi.

Ce paramètre estimé peut être interprété comme l'importance relative de ce niveau d'attribut pour les sujets.

La préférence pour une alternative est fonction de l'utilité marginale de chaque niveau d'attribut présenté dans l'alternative



Importance relative des attributs



Ho, Gonzalez (Surg Endosc, 2015)

Importance relative d'un attribut

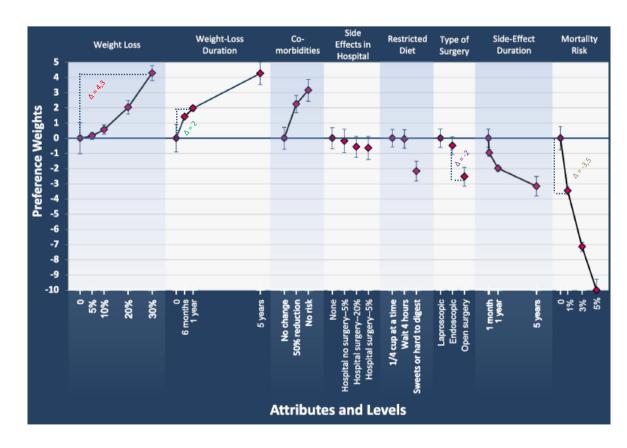
Différence entre le score de préférence du meilleur niveau et du pire niveau d'un attribut

Plus, la différence est grande plus l'attribut est important :

- l'IR de l'attribut "Risque de Mortalité" est de 10;
- l'IR de l'attribut "Perte de poids" est de 4,3.



La balance bénéfice-risque (1)



Ho, Gonzalez (Surg Endosc, 2015)

Arbitrage bénéfice-risque à partir des scores de préférences:

Une augmentation de la "perte de poids" de 0 à 30% compense largement le fait d'avoir à supporter un risque de décès de 1%, ttes choses égales

Procéder à une "chirurgie ouverte" plutôt qu'à une endoscopie nécessite une perte de poids d'au moins 12 mois pour compenser (~utilité inchangée)



La balance bénéfice-risque (2)

Arbitrage bénéfice-risque à partir des taux marginaux de substitution (TMS):

Quid du TMS?

En choisissant une alternative plutôt qu'une autre, cela sous-tend que les personnes interrogées font des arbitrages entre les attributs et les niveaux d'attributs

Le TMS est le taux auquel les individus seront prêts à substituer une diminution d'une unité de l'attribut x par une augmentation de Δy unités de l'attribut y $\left(-\frac{\Delta y}{x}\right)$

En terme d'arbitrage bénéfice-risque :

Taux auquel les patients seraient prêt à accepter des compromis entre les bénéfices et les risques d'un traitement, qui leur procure la même utilité

Calcul des TMS

Par définition, le TMS est égal au rapport des utilités marginales de x/y. Les paramètres estimés dans les MCD sont les utilités marginales des niveaux des attributs. Ainsi, les TMS entre les attributs peuvent être calculés à partir des scores de préférences.

NB : les différentes combinaisons de niveaux de bénéfices-risque permettent de tracer la courbe de seuil bénéfice-risque (slide 29)

La balance bénéfice-risque (2)

 Calcul des taux marginaux de substitution (TMS) dans les MCD : Préférences des femmes vis-à-vis du dépistage du cancer du sein

	Type de coefficient	Coeff.
1. Préférences		
Constante _{Depistage}	Aléatoire	9,430***
Décès dus au cancer du sein	Fixe	-1,048***
Faux positifs	Fixe	-0,022***
Surdiagnositc	Fixe	-0,075***
Prescripteur (médecin)	Fixe	-0,159***
Temps de trajet	Fixe	-0,053***
Nombre de mammographies	Fixe	-0,114*
RAC_60 euros (remboursé)	Fixe	-0,226***
RAC_30 euros	Fixe	-0,748***
RAC_60 euros	Fixe	-0,974***/
2. TMS		
Nb de surdiagnostics/décès évité	Fixe	14,1***
Nb de faux positifs/décès évité	Fixe	47,8***

$$=\frac{Um(x)}{Um(y)_{1,048}} = 14,1$$

 $\left(=\frac{-1,048}{-0,022}=47,8\right)$

Les femmes seraient prêtes à accepter 14,1 surdiagnostic et 47,8 faux positifs pour éviter un décès lié au cancer du sein

REES

Maximum Acceptable Risk / Minimum Acceptable Benefit

Seuil bénéfice risque :

Ce seuil définit les combinaison d'efficacité et de risque que le décideur serait prêt à accepter (TMS)

Points en dessous du seuil : combinaisons meilleures que traitement de référence

Points au dessus : combinaisons qui sont pires que le traitement de référence

Les patients sont averses au risque, un risque + important doit être compensé par une efficacité + importante

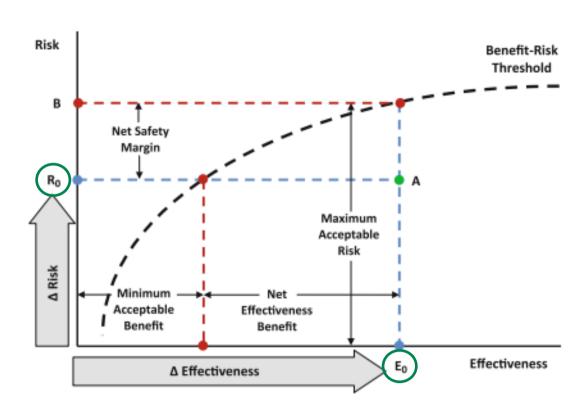
Point A est le niveau de bénéfice et de risque observé pour le traitement A $(E_0; R_0)$

MAR = Point B est le risque maximal acceptable que le décideur est prêt à accepter en échange du bénéfice du traitement A : E₀.

« Net safety margin » : surplus de risque par rapport au risque observé qu'un décideur peut accepter (différence enre B et R₀)

MAB = Bénéfice minimum est requis pour accepter le risque R₀

« Net Effectiveness Benefit » : surplus de bénéfice par rapport au bénéfice minimum requis pour accepter le risque observé



Hauber, 2013 (BRA)



Calcul du MAR dans les MCD

« Quel est le risque maximal acceptable que le décideur est prêt à accepter en échange d'une certain bénéfice ? »

Calcul du MAR à partir des scores de préférences :

Les arbitrages sont quantifiés à partir des utilités marginales des changements de niveaux des attributs de bénéfice et de risque

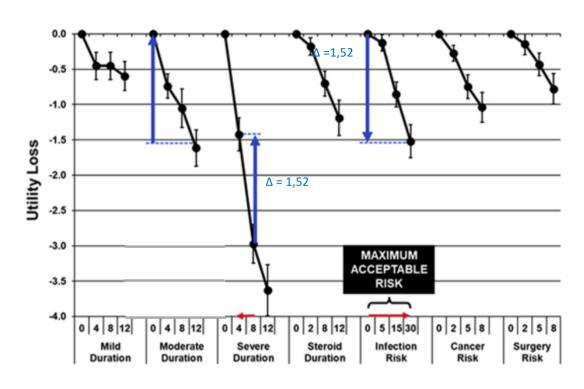
$$MAR = \frac{\Delta Utilit\'e \ marginale \ du \ b\'en\'efice}{\Delta Utilit\'e \ marginale \ du \ risque} / \Delta \ absolue \ des \ niveaux \ du \ risque}$$

Arbitrage:

Bénéfice : Réduction de la durée des symptômes sévères de 8à 4 mois

Risque: augmentation du risque d'infection de 0 à 30%

$$MAR = \frac{((-3) - (1,48))}{((-1,52) - 0)/(0\% - 30\%)} = \frac{1,52}{-5,07} = -30\%$$



Reed, Johnson, 2019



Exemple Choix Discrets

Jonathan Sicsic, Nathalie Pelletier-Fleury, Nora Moumjid. Women's Benefits and Harms Trade-Offs in Breast Cancer Screening: Results from a Discrete Choice Experiment. Value in Health, Volume 21, Issue 1, January 2018, Pages 78-88

Scénario 1	Option de dépistage A	Option de dépistage B	Aucun dépistage
Nombre de décès	10	25	30
Nombre de fausses alertes	200	50	0
Nombre de traitements non nécessaires	150	10	0
Prescripteur	lettre d'invitation	votre médecin	-
Temps de déplacement	10 min	90 min	0 min
Nb de mammographies	18	12	0
Reste à charge	€ 60	€ 30	€0
Quelle option choisiriez-vous?			

- A chaque choix i possible est associée une utilité aléatoire U_i traduisant la satisfaction de l'individu.
- L'individu choisit l'alternative qui maximise son utilité (hypothèse de rationalité).
- L'utilité U_i se décompose :
 - En une utilité déterministe V_i dépendant des caractéristiques que l'alternative et des caractéristiques de l'individu ;
 - En un terme aléatoire ε_i non observable.
- La probabilité d'opter pour une alternative donnée est fonction de son utilité déterministe. Celle-ci est estimable par des méthodes statistiques.





WHAT RESEARCH QUESTIONS CAN BESTWORST SCALING SOLVE?

To get preferences of anything, for instance:

- · New product feature prioritization
- To measure the appeal and brand fit of potential value propositions
- To identify the best name from various potential names for a new product/concept

Tips: it is the best method to use if you are doing multi-country studies and want to compare the preferences across countries because BWS does not have scale-bias.

Best-Worst Scaling elicits discriminating preferences - prioritize new product ideas, identify the best name for a new product, etc.

EXAMPLE QUESTION: APPEAL OF NEW PRODUCT FEATURES

You indicated that you are planning to buy a new refrigerator in the next 6 months.

On the following pages, we will show you A FEW REFRIGATOR FEATURES. On each page, please read the features carefully and select the one that is the MOST APPEALING and one that is the LEAST MOTIVATING to you.

LEAST Appealing		MOST Appealing
	5 stars energy saving	
1	An auto ice-maker	
	A separate compartment to chill party tray	J
	An outside ice-dispenser	

EXAMPLE QUESTION: BRAND FIT OF NEW PRODUCT NAMES

Below are some potential names for the **NEW KIDS LUNCH PACK** that you just read and saw on the previous page, please choose the name that you think is the **BEST FIT with** [insert client brand] and the one you think is the **WORST FIT with** [insert client brand].

WORST fit with [insert client brand]		BEST fit with [insert client brand]
	Name A	
J	Name B	
	Name C	J
	Name D	

Le Best Worst Scaling: Un couteau suisse multifonctions

Trois unités d'analyse possibles

- ➤ Un objet : CAS 1
- > Un profil d'attributs (de critères à un niveau) : CAS 2
- ➤ Une combinaison d'attributs et de niveaux : CAS 3

Trois variantes de modélisation:

- Modèle différentiel MaxDiff : Comparaisons par paire
- > Modèle simultané
- Modèle séquentiel

: Modèle marginal



« Trois unités d'analyse possibles »

- Des options à questions multiples, sont présentées aux personnes enquêtées qui doivent y répondre en indiquant :
 - i. Cas objet (cas1): classement par ordre d'importance des critères d'intérêt (~ des caractéristiques ou des attributs) qu'il convient de prendre en considération pour évaluer un objet de choix [classement des obstacles à surmonter, des priorités d'amélioration à privilégier, choix d'un nom de marque ou classement par ordre d'importance des principaux résultats attendus d'une réforme]
 - ii. Cas profil (cas 2): Classement par ordre d'importance des combinaisons associant un critère et une modalité de réponse dans le cadre d'une même liste. Ce qui permet d'établir quelles modalités de questionnement seraient les plus appropriées, en ne présentant aux personnes interrogées qu'un seul profil à la fois.
 - iii. Cas multi-profils (cas 3): classement par ordre d'importance de tous les niveaux de réponse envisageables par critère d'intérêt. Le nb de niveaux par critère détermine le nb d'options (ou de scenarii ou d'alternatives ou de profil) entre lesquelles il faudra faire des choix. [MCMA: Modèle de choix multiattributs]
- En pratique, toutes les épreuves à questions multiples générées ne peuvent pas être es intégrées dans le questionnaire d'où la nécessité d'élaborer un plan d'expérience.

Quel le meilleur et le pire des critères pour faire un choix ? ~Cas objet

Le PLUS important pour moi 1 seule réponse par colonne	OBSTACLE	Le MOINS important pour moi 1 seule réponse par colonne
0	Après une fracture, l'hôpital ne contacte pas mon médecin pour suivre l'ostéoporose	0
0	L'ostéoporose n'est pas vraiment une maladie	0
0	J'ai des problèmes de santé plus importants que l'ostéoporose	0
0	L'ostéoporose est indolore	0
0	Je préfère prendre des traitements naturels et faire attention à mon alimentation	0

- Les répondants ont à choisir entre cinq critères de jugement
- ils ont du sélectionner celui qui à leur yeux était le plus important (le meilleur) et celui qui leur semblait le moins important (le plus mauvais).
- L'importance de chaque critère de jugement est égale à la différence entre le nombre de fois où un de ces critères a été choisi par les personnes interrogées comme étant le meilleur et celui où il a été choisi comme étant le moins bon;
- Sur la base de ce score total les différentes priorités sont classées en ordre décroissant



Exemple Choix Extrêmes

- Les répondants ont à choisir entre plusieurs critères
- ils doivent sélectionner celui qu'ils considèrent comme étant le plus important (le meilleur) et celui qui leur semble le moins important (le plus mauvais).
- L'importance de chaque critère de jugement est égale à la différence entre le nombre de fois où un de ces critères a été choisi comme étant le meilleur et celui où il a été perçu comme étant le moins bon;
- Sur la base de ce score total d'importance, les différentes priorités peuvent être classées en ordre décroissant en fonction de leur score respectif.



1

12 critères d'intérêt à 1 seul niveau~ Cas profil

		Best Aspect	Worst Aspect
1. Location:	Private hospital	0	0
2. Clinical rotations:	Three	0	0
3. Work hours:	Fulltime only	0	0
4. Rostering:	Flexible, usually accommodating requests	0	0
5. Staffing levels:	Usually well-staffed	0	0
6. Workplace culture:	Unsupportive management and staff	0	0
7. Physical environment:	Poorly equipped and maintained facility	0	0
8. Professional development and progression:	No encouragement for nurses	0	0
Parking (The parking facilities):	Limited	0	0
10. Responsibility:	Appropriate responsibility	0	0
11. Quality of care:	Poor	0	0
12. Weekly Salary:	\$950	0	0

If you were offered this job, would you take it?

○ Yes
○ No



12 critères d'intérêt à 2/3 niveaux ~ Cas multiprofils

H.I. Yoo, D. Doiron / Journal of Health Economics 32 (2013) 1166-1179

Scenario 1			
Features of Job	Job A	Job B	Job C
1. Location	Private hospital	Private hospital	Public hospital
2. Clinical rotations	Three	Three	None
3. Work hours	Part-time or fulltime	Fulltime only	Part-time or fulltime
4. Rostering	Flexible, usually accommodating requests	Inflexible, does not allow requests	Flexible, usually accommodating requests
5. Staffing levels	Usually well-staffed	Frequently short of staff	Usually well-staffed
6. Workplace culture	Supportive management and staff	Supportive management and staff	Unsupportive management and staff
7. Physical environment	Well equipped and maintained facility	Well equipped and maintained facility	Poorly equipped and maintained facility
8. Professional development and progression	Nurses encouraged	No encouragement for nurses	Nurses encouraged
9. Parking	Abundant and safe	Limited	Abundant and safe
10. Responsibility	Appropriate responsibility	Appropriate responsibility	Too much responsibility
11. Quality of care	Excellent	Poor	Poor
12. Salary	\$1,250	\$800	\$1,100
Considering these three jobs:			
Q1. Which would you MOST like to get?	○ Job A	○ Job B	○ Job C
Q2. Which would you LEAST like to get?	◯ Job A	◯ Job B	◯ Job C

Fig. 2. Sample multi-profile case BWS scenario.

Synthèse

CAS 1 : hiérarchisation des critères d'intérêt

32		C. CC
Critères de jugement patients	Le plus important	Le moins important
Attente		X
Empathie		
Proximité géographique		
Cout de la consultation	X	

CAS 2 : hiérarchisation des critères à 1 seul niveau

Critères de jugement patients	Le plus important	Le moins important
Attente 15 m		
Empathie oui		
Proximité géo 5km		X
Cout de la consultation 30€	X	

CAS 3: hiérarchisation des critères à plusieurs niveaux

criteres a	piusieurs	sniveaux
Critères de jugement patients	Le plus important	Le moins important
Attente 15 m Empathie oui Proximité 10km Cout 30€		
Attente 15m Empathie OUI Proximité 5km Cout 35€	<u> </u>	3 Profils 3 Cas vignettes) sur 4 critères d'intérêt
Attente 15m Empathie NON Proximité 10km - Cout 25€	X	



Trois Modèles de comportement des consommateurs

- Modèle des Paires: l'individu évalue toutes les paires et sélectionne celle pour laquelle la différence d'utilité entre les objets, les niveaux, les attributs est la plus grande
- Modèle des choix simultanés : l'individu choisi indépendamment et simultanément parmi les objets/ les niveaux/ les attributs, celui qui est le plus important et celui qui est le moins important
- Modèle des choix séquentiels : l'individu choisi indépendamment et successivement et parmi les objets, les niveaux, les attributs, celui qui est le plus important et celui qui l'est le moins.
- Une analyse à replacer dans le cadre des techniques disponibles pour éliciter les préférences patient : SG, TTO, MEC ou les arbitrages ne portent que sur 2 éléments



Expression mathématique des différents modèles

Modèle par paire MaxDiff

$$P(pair = AB) = \frac{\exp(V_{AB})}{\exp(V_{AB}) + \exp(V_{AC}) + \exp(V_{BC}) + \exp(V_{BA}) + \exp(V_{CA}) + \exp(V_{CB})}$$

Modèle de choix simultanés

$$\left[P(best = A) = \frac{\exp(V_A)}{\exp(V_A) + \exp(V_B) + \exp(V_C)}\right] \times \left[P(worst = B) = -\frac{\exp(V_B)}{\exp(V_A) + \exp(V_B) + \exp(V_C)}\right]$$

Modèle de choix séquentiels

$$\left[P(best = A) = \frac{\exp(V_A)}{\exp(V_A) + \exp(V_B) + \exp(V_C)}\right] \times \left[P(worst = B) = \frac{\exp(V_B)}{\exp(V_B) + \exp(V_C)}\right]$$





Principes des TT

- Les techniques de seuils font partie des méthodes de révélation directe : identification explicite des préférences des individus
- Ces techniques permettent d'estimer directement et explicitement:
- Les arbitrages bénéfice-risque que les individus sont prêt à accepter
- Les MAR/MAB en point unique du seuil bénéfice-risque

Deux options de traitements sont présentés à l'individu

Option de référence vs option « cible »

Option cible = affiche à la fois bénéfice et un risque incrémental par rapport à l'option de référence Attribut d'intérêt = attribut par rapport auquel les deux options sont comparés pour estimer leur importance relative.

Si l'option de référence est choisie initialement, le niveau de l'attribut d'intérêt est amélioré et la question est répété

Si l'option cible est choisie initialement, le niveau de l'attribut d'intérêt est aggravé et la question est répété.

Le processus est répété jusqu'à ce que le chercheur identifie le niveau seuil de l'attribut d'intérêt i.e. le niveau pour lequel le répondant est indifférent entre l'option de référence et l'option cible



Illustration (1)

4 exercices de TT (Hauber, 2019)

Option de référence	Option cible	Attribut d'intérêt	Description du seuil
Pas de traitement antithrombotique	Warfarine (risque d'hémorragie 5% : augmentation de 2PP par rapport à l'option de référence	Risque d'AVC à 2 ans	Réduction minimale du risque d'AVC compense l'augmentation de 2PP du risque d'hémorragie (MAB)
Pas de traitement antithrombotique	Aspirine (risque d'hémorragie 3,3% : augmentation de 0,3 PP par rapport à l'option de référence	Risque d'AVC à 2 ans	Réduction minimale du risque d'AVC compense l'augmentation de 0.3 PP du risque d'hémorragie (MAB)
Pas de traitement antithrombotique	Warfarine (risque d'AVC 4% : réduction de 8PP par rapport à l'option de référence	Risque d'hémorragie à 2 ans	Augmentation maximale du risque d'hémorragie qui compense la réduction de 8PP du risque d'AVC (MAR)
Pas de traitement antithrombotique	Aspirine (risque d'AVC 9% : réduction de 3PP par rapport à l'option de référence	Risque d'hémorragie à 2 ans	Augmentation maximale du risque d'hémorragie qui compense la réduction de 3PP du risque d'AVC (MAR)

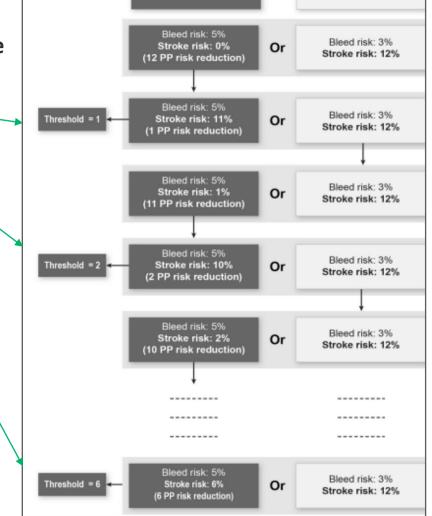
Nb : Lorsque l'attribut d'intérêt est une mesure du bénéfice (ou réduction d'un risque) alors on chercher à définir le MAB Lorsque l'attribut d'intérêt mesure le risque alors on cherche à définir le MAR

Illustration (2)

Target option

Reference option

Seuil = (Valeur de l'attribut clé – valeur de cet attribut dans l'option de référence)





Les différents types de seuils

Seuils probabilistes	Seuils non probabilistes
Tolérance au risque MAR & MAB : Valeurs probabiliste de seuil du bénéfice minimal & du risque maximal acceptable	Estimation de seuil numériques :
 Autres seuils probabilistes qui ne peuvent pas être exprimés en MAR/MAB: Probabilité minimale d'infertilité qui inciterait à accepter une biopsie testiculaire étant plus jeune Probabilité minimale de réussite du sevrage nécessaire pour accepter la ventilation mécanique 	 Nombre maximal de visites acceptables Amélioration minimal de la qualité de vie Seuil de temps : augmentation minimale de l'espérance de vie nécessaire pour accepter un certain risque lié au cancer





La théorie derrière le swing weighting

- Méthode de révélation directe des préférences au niveau individuel (≠ MCD : préférences agrégées obtenues indirectement des choix réalisés)
- Repose sur le concept de l'utilité espérée de von Neumann-Morgenstern :
- Préférences des individus sont conformes à certains axiomes (complétude, transitivité, indépendance etc)
- Les préférences sont basées uniquement sur des caractéristiques observables (pas de composante aléatoire (≠ MDC utilité aléatoire)
- Choix déterministe : un individu face à 2 alternative choisira celle qui a l'utilité la plus haute au sens de vNM.



Principes des swing weighting

- Le swing weighting décrit l'importance relative de l'amélioration d'un attribut de son pire niveau au meilleur niveau possible par rapport à l'amélioration du pire au meilleur des autres attributs
- Cette technique est mise en œuvre dans le cadre de groupe animé ou d'entretien direct

• 1ère étape : Présentation des alternatives

Plusieurs alternatives sont présentées à un individu. Chacune d'elle présente une amélioration d'un attribut de son pire niveau à son meilleur niveau (« swing »)

2ème étape : Classement des alternatives par ordre de préférence

Quelle amélioration (« swing ») est la plus importante/la meilleure ?

Ancrage : L'alternative préférée à l'étape 2 reçoit 100 points et la pire 0 point.

Attribution de points aux autres alternatives au milieu du classement (relativement à l'alternative ayant reçu 100 pts)

• 4ème étape : Calcul des poids

$$w_i = \frac{score_i}{\sum_i Score_i}$$



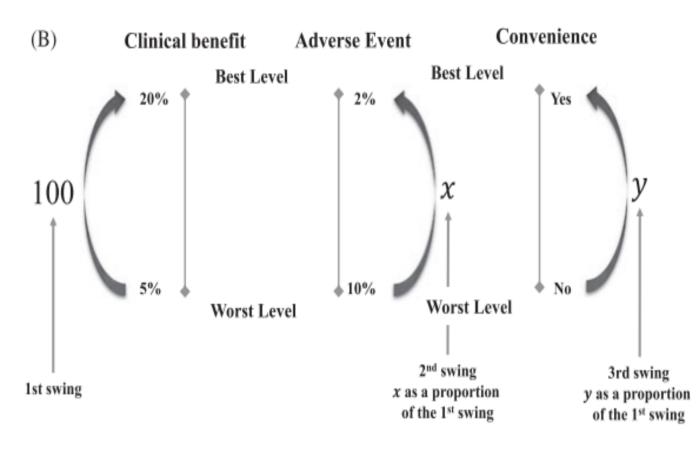
Illustration (1)

Tervonen (Pharmaco, 2017)

		Epreuve de swing weighting	
,	Présentation des alternatives	Considérez une option de traitement qui s'accompagne de 5% de chance de bénéfice clinique, 10% de risque d'effets indésirables et qui n'est pas très « pratique » Alternative 1 : amélioration du niveau de bénéfice clinique 5% à 20% Alternative 2 : amélioration du niveau de risque : réduction de 10% à 2% Alternative 3 : amélioration du niveau commodité du traitement : le traitement est plus pratique (L'amélioration d'un attribut, laisse les autres constant)	
	Classement par ordre de préférence	Préférez-vous voir les chances de bénéfice clinique amélioré de 5% à 20%, voir les chances d'effets indésirables diminuées de 10% à 2% ou d'avoir un traitement plus pratique ? (Classement de l'alternative la plus préférée à la moins préférée)	
	Allocation de points	Attribution de 100 points à l'alternative préférée : l'individu préfère que le traitement s'accompagne d'une amélioration du niveau de bénéfice Combien de points donneriez-vous à une diminution des risques de 10% à 2% ? Combien de points donneriez-vous à un traitement plus pratique ? (Poids relatif par rapport à l'alternative de référence (celle préférée): exemple = si l'alternative 2 est deux fois moins préféré à l'alternative 1, elle devrait avoir 50 points)	
	Calcul des poids	Le calcul est réalise en « normalisant » chaque point attribué aux attribut par rapport au point total de tous les attribut Pour ces 3 alternatives, au total 130 points ont été alloués Le poids de l'alternative 1 est de 0,77 (100/130) Le poids de l'alternative 2 est de 0,15 (20/130) Le poids de l'alternative 3 est de 0,08 (10/130)	- (

Illustration (2)

- L'individu attribue 20 points à l'alternative 2 soit à l'amélioration du niveau de risque de 10% à 2%
- L'individu attribue 10 point à l'alternative 3 soit à l'amélioration de la commodité du traitement
- Poids des attributs :
- Le poids de l'attribut bénéfice clinique est 5 fois supérieur au poids de l'attribut d'effets indésirables
- Le poids de l'attribut de « commodité » est la moitié du poids de l'attribut d'effets indésirables



Tervonen (Pharmaco, 2017)





Génération des épreuves de choix

- En pratique, toutes les épreuves à questions multiples générées ne peuvent pas être intégrées dans le questionnaire en une seule fois d'où la nécessité d'élaborer un plan d'expérience.
- Plan d'expérience en blocs incomplets équilibrés définis par cinq paramètres
 - (N) le nombre de critères de jugement à tester:42= 21 pour Obstacles + 21 pour Attentes
 - (b) le nombre d'expériences de choix à présenter à chaque personne enquêtée :14= 7 O+7A
 ventilées entre 3 versions 14*3=42
 - (k) le nombre de critères par expérience de choix : 5
 - (r) le nombre de répétitions du critère de jugement sur la totalité des ensembles de choix :1
 - (λ) le nombre d'associations de chaque critère avec d'autres critères sur la totalité des ensembles de choix : 5



Paramètres du Plan d'expérience

- (N) En ligne le nombre de critères de jugement à tester;
- (b) En colonne le nombre d'ensemble de choix soumis à chaque personne interrogée
- (k) Verticalement par colonne le nombre de critères par épreuve de choix
- (r) Horizontalement par ligne le nombre de répétition du même critère de jugement sur l'ensemble des épreuves de choix
- (λ) sur la totalité de la matrice des occurrences, le nombre de fois ou chaque critère a été associé [verticalement]à chacun des autres critères pour constituer une paire sur l'ensemble des épreuves de choix autrement dit le nombre de paires de critères constituées pour chaque critère sur l'ensemble des épreuves de choix.

$$Nr = Bk$$
 avec r un entier
$$\lambda = \frac{r(k-1)}{(N-1)} \text{ avec } \lambda \ge 1 \text{ entier}$$



Incidences de l'expérience patient

										Ex	périe	nce o	de vie	è								
		1	2	3	4	5	6	7	8	9	10	11	12	13	14	15	16	17	18	19	20	21
	1	0	0	0	1	1	0	0	0	1	1	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0
	2	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1	1	0	0	0	1	0	0	0	0	1	0
	3	0	1	0	0	0	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	1	0
	4	0	0	0	1	0	0	1	0	1	0	0	0	0	1	0	0	1	0	0	0	0
	5	0	0	1	0	0	1	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0
_	6	0	0	0	0	1	1	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0
uts	7	0	0	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	1	0	0	0	0	1	1	0	0
trib	8	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	1	0	0	1	0	0	0	1	0	0
(A	9	0	1	0	0	1	0	0	1	0	0	0	0	0	1	1	0	0	0	0	0	0
ent	10	0	1	0	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0	0	0	0	0	1	0	0	1
Critères de jugement (Attributs)	11	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0	1	0	0	0	1
jug	12	0	0	0	0	0	1	1	0	0	0	0	0	1	0	1	1	0	0	0	0	0
de	13	0	0	0	0	1	0	1	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	0	1
res	14	1	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	1	0	0	1	0
ritè	15	1	0	1	0	0	0	0	1	0	0	1	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0
O	16	0	0	1	0	0	1	0	0	0	1	0	0	0	1	0	0	0	0	1	0	0
	17	0	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0	0	1	1	0	0	0	0
	18	1	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	1	0	0	0	0	1	0	0	1
	19	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	0	0	1	0	1	0	0	0	0	0	1
	20	1	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	0	1	0	1	0	1	0	0	0
	21	0	0	1	1	0	0	0	0	0	0	0	1	0	0	0	0	0	1	0	1	0

$$N = 21, b = 21, k = 5, r = 5, \lambda = 1$$

Cinq paramètres:

- (N) en ligne les critères de jugement des patients à hiérarchiser de façon mesurable : dans le cas présent 21 critères listés en ligne;
- (b) en colonne les expériences de vie sur lesquelles les personnes interrogées doivent se prononcer : dans le cas présent 21 épreuves de choix sont définies par la combinaison de 5 des critères sur lesquels les pts doivent se prononcer;
- (k) sur chaque colonne le nombre de critères de jugement par expérience de vie vécue : dans le cas présent 5 par colonne;
- (r) sur chaque ligne le nombre de présentation du critère de jugement dans le cadre des différentes expériences de vie.
 Dans le cas présent chaque critère est répété 5 fois dans des expériences de vie différentes;
- (λ) sur la totalité de la matrice : le nombre de fois en moyenne où un critère de jugement apparaît [verticalement] en compagnie d'un autre critère dans les options de choix (les expériences de vie) successives qui sont présentées : dans le cas présent le critère 1 par ex apparaît 1 fois en compagnie du critère 2 [options 4]; 1 fois avec le critère 9[option 5], et 1 fois avec le critère 17 [option 10]

Critères d'un plan d'expérience équilibré

- 1. Le nombre de critères de jugement décrits dans chacune des expériences de vie présentées doit être inférieur au nombre de critères susceptibles d'être utilisés. Le schéma expérimental utilisé est alors dit incomplet ;
- 2. **Equilibre des fréquences :** Chaque critère doit être présenté un même nombre de fois sur l'ensemble des expériences ;
- 3. **Equilibre des positions**, Les rangs d'apparition respectifs en 1ère, 2ème, xème position des différents critères au cours des expériences successives doit être le même pour tous ;
- 4. Orthogonalité, Le nombre de fois en moyenne où un critère de jugement apparaît en compagnie d'un autre critère dans les expériences de choix successives doit être le même pour toutes les paires de critères ;
- 5. **Indépendance des paires**, la corrélation entre des couples de critères pris 2 à 2 est nulle ce qui permet, par le jeu de la transitivité, d'opérer un classement des critères de jugement inter-expériences de vie.



Construction des algorithmes de priorisation

Arithmétique des votations

Score **total** d'importance

$$B-W$$

Score **moyen** d'importance

$$\frac{B-W}{N}$$

Score d'importance relative

$$\sqrt{\frac{B}{W}}$$

Score d'importance relative standardisé

$$\sqrt{\frac{B}{W}} \times \frac{100}{max\sqrt{\frac{B}{W}}}$$

- Un « score total d'importance » est calculé par soustraction en faisant la différence entre le nombre de fois ou un critère de jugement est jugé comme étant le plus important et le nombre de fois où les répondants le jugent comme étant le moins important;
- «Le score moyen d'importance ». est obtenu en divisant le score différentiel net par le nombre de personnes ayant répondu aux questions posées;
- « Le score d'importance relative » est obtenu en divisant le nombre de fois où un item a été jugé plus important par le nombre de fois où il a été jugé le moins important et en prenant la racine carrée de cette proportion pour avoir un résultat toujours supérieur ou égale à zéro..
- « Le score d'importance relative standardisé » est égal à la racine carré des quotients $\sqrt{B/W}$ relevés sur chacun des item k divisée par la racine carrée du quotient $\sqrt{B/W}$ ayant la valeur la plus élevée que multiplie 100. Lorsque la valeur relevée est égale la valeur la plus élevée, la valeur de l'item jugé le plus important après simplification, est égale à 100.



Illustration

	Patients n=305							
ltem	# total des meilleurs	# total des pires	Score différentiel net B-W	Score différentiel moyen B-W/r*n	SQRT (nB/nW)	Score d'importance relative		
Reduction des délais entre symptômes et thrombolyse	838	44	794	0,651	4,34	100		
Mise en batterie d'indicateurs de qualité de vie	497	115	382	0,313	2,07	47,8		

- Score différentiel entre le nombre de fois ou un item est jugé comme étant le plus important et celui ou il est jugé comme le pire : #best #worst = 497-115 = 382
- Score différentiel moyen : $\frac{nbest nworst}{r * nb repondents} = \frac{497 115}{4 * 305} = 0,313$

où (r) est le nombre de fois où un critère de jugement a été présent dans les expériences de choix et (nb répondants) correspond au nombre total de patients ayant répondu aux expériences de choix dans lesquels le critère de jugement était présent

- Raisonnons en racine carré (SQRT) de (nB/nW) pour créer une échelle de rapport: = $\sqrt{\frac{nbest}{nworst}} = \sqrt{\frac{497}{115}} = 2,07$; $\sqrt{\frac{838}{44}} = 4.34$
- Score d'importance relative rebasé par rapport au score le plus élevé

$$=\sqrt{\frac{n_{best}}{n_{worst}}}*\frac{100}{\max\sqrt{\frac{n_{best}}{n_{worst}}}}=\sqrt{\frac{497}{115}}*\frac{100}{\sqrt{\frac{838}{44}}}=\frac{2.07}{4.34}\times 100=47,85: \textit{l'importance relative de l'item en rouge est 2 fois moindre}$$





Intégrer les préférences des malades à toutes les étapes clés du cycle de vie du médicament

2. Décision du régulateur européen EMA : « Doit on autoriser la mise sur le marché du produit »? Quelle est le risque maximum acceptable et le quantité d'effet minimal exigé. Les préférences sont elles hétérogènes?

Recherches exploratoires et études précliniques Développement clinique

Phase I,II,III

Cycle de vie post AMM

1. Décision industrielle: « quel produit faut il développer »? Quels sont les besoins non couverts, quels sont les critères de jugement pertinents du point de vue des malades

3. Décision des commissions de la HAS: ct, ceesp, des payeurs nationaux CEPS et du ministre : « le produit doit il être remboursé? Quel prix pourrait être socialement acceptable ? »

Préférences patients vs préférences citoyennes

- Les évaluations des technologies de santé adoptent une perspective sociétale qui va bien au delà des préférences des patients;
- Bien que l'ETS se concentre sur une intervention particulière, le champ d'application de l'ETS est toujours plus large :

Quelle est la meilleure façon d'allouer des ressources rares dans le domaine de la santé ?

Faut-il, et si oui comment intégrer les préférences des patients dans les évaluations coût résultat ?



Les questions auxquelles il faut répondre

- Le produit répond-t-il à un besoin thérapeutique individuel ou à un besoin collectif (incidence élevée, déserts médicaux) ?
- Notre société est –elle- prête à faire un effort dans le cadre de la solidarité nationale pour améliorer la prise en charge dans cette indication ?
- Notre société accepte-t-elle de payer dans le cadre de la solidarité nationale ce traitement en particulier, sachant que globalement la prise en charge de cette indication est acquise dans son principe ?
- Combien sommes-nous disposés à payer en plus pour ce traitement en particulier dans le cadre de l'assurance maladie obligatoire ?



Préférences citoyennes ou préférences individuelles?

	Préférences citoyennes	Préférences individuelles
Etats de santé hypothétiques appréhendés par les biens portants	cellule 1	cellule 2
Etats de santé expérimentés par les personnes malades	cellule 4	cellule 3

- → CELL 1 la population générale valorise un système hypothétique d'états de santé dont ils n'ont pas fait l'expérience : EQ-5D-5L
- Cell 2 une population de malades est sollicitée pour valoriser des états de santé hypothétiques auxquels ils pourraient être confrontés dans le futur
- → CELL 3 Construction d'expériences de vie a partir d'un échantillon raisonné et hiérarchisation des priorités a partir d'un échantillon représentatif des personnes ayant eu la maladie : BWS DCE
- Cell 4 représentation des associations d'usagers dans les instances décisionnelles



Préférences citoyennes vs préférences individuelles

	Préférences citoyennes	Préférences individuelles
Etats de santé hypothétiques appréhendés par les biens portants	La population générale valorise un système hypothétique d'états de santé dont ils n'ont pas fait l'expérience : EQ-5D-5L	Une population de malades est sollicitée pour valoriser des états de santé hypothétiques auxquels ils pourraient être confrontés dans le futur
Etats de santé expérimentés par les personnes malades	Représentation des associations d'usagers dans les instances décisionnelles	Construction d'expériences de vie à partir d'un échantillon raisonné & hiérarchisation des priorités à partir d'un échantillon représentatif des personnes ayant eu la maladie : MDC, MCE

Pour changer de cap, changeons de méthode

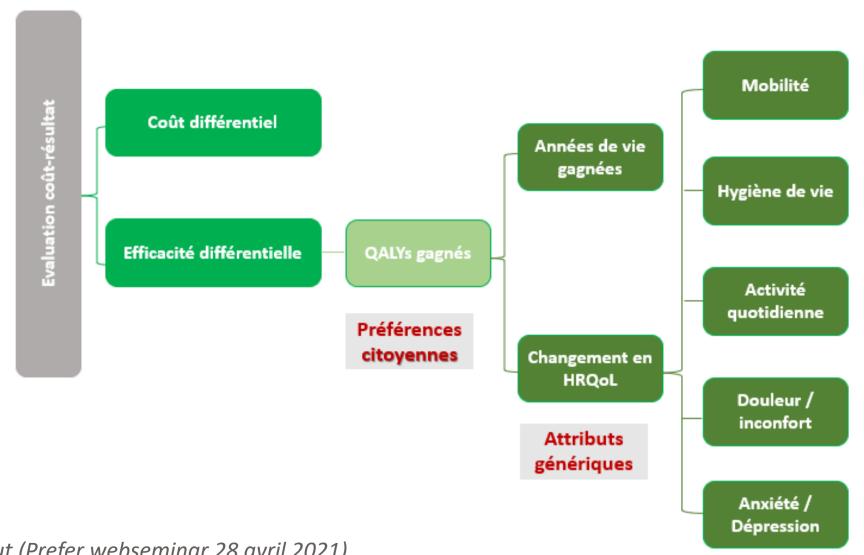
Evaluation Trans- indications

- Comparaison transnosologique des RDCRs entre toutes les ASMR de niveau I,II,III voire IV
- Recherche de l'efficacité allocative des ressources sur la base d'un seuil de référence.
- → le rêve fou des économistes de la santé

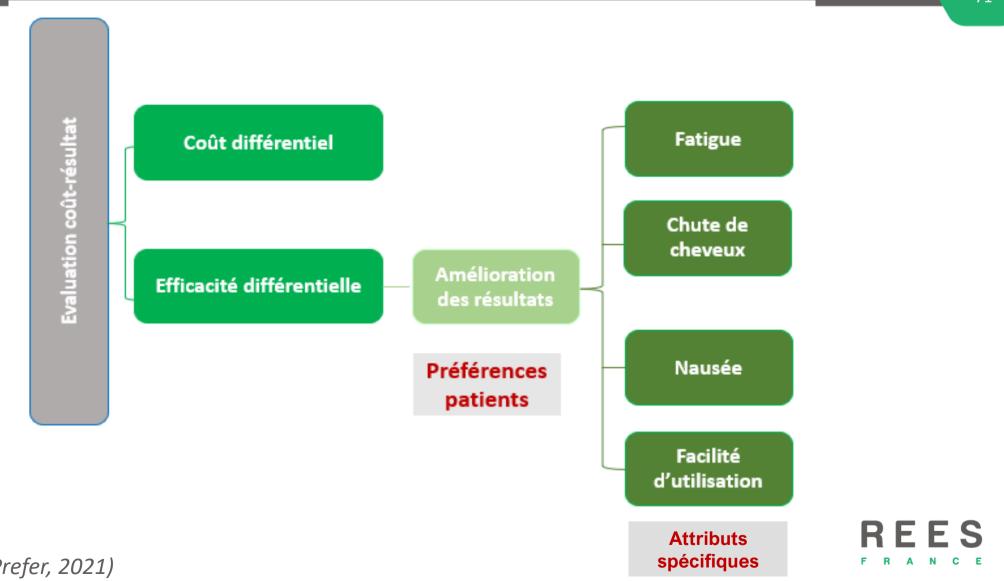
Evaluation au sein d'une même Indication

- Comparaison des RDCRs de traitements différents dans une même indication thérapeutique
- Recherche du juste prix prenant en compte les préférences des patients et les précédents historiques
- → dans le cadre d'une négociation par indication

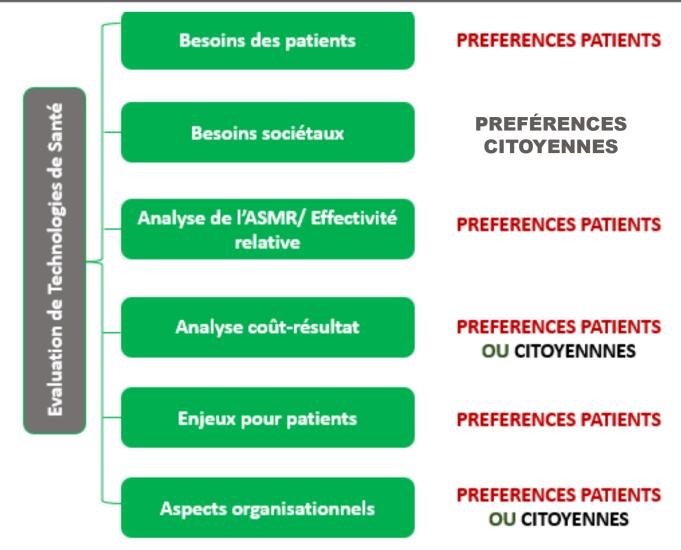
Evaluation trans-indications



Evaluation dans le cadre d'une même indication



Préférences patients vs préférences citoyennes





Pourquoi ne pas laisser les normes émerger de la diversité des préférences individuelles?

Trois cas de figure doivent être distingués dans la mesure où les attitudes des malades paraissent suffisamment homogènes :

- « Lorsqu'une appréciation favorable est portée sur un traitement efficace par la
 « quasi unanimité des malades, ce traitement peut être érigé en traitement de référence
 « et doit être prescrit en pratique courante.
- « A défaut, lorsque l'opinion des patients est plus partagée tout en restant majoritairement « favorable, vis-à-vis d'un traitement efficace, l'application de ce traitement sera conseillée « en première intention (guidelines).
- « Dans tous les autres cas –avis très partagés des malades ou indifférence de ceux-ci- on
 « s'en remettra au bon sens clinique



Established Good Research Practices for Preference Preference-Based Studies by Recognized Professional Organizations



ISPOR TASK FORCE REPORT

Constructing Experimental Designs for Discrete-Choice Experiments: Report of the ISPOR Conjoint Analysis Experimental Design Good Research Practices Task Force

F. Reed Johnson, PhD^{1,*}, Emily Lancson, PhD², Deborah Marshall, PhD³, Vikram Kilambi, BA/BS³, Asel Mühlbacher, PhD^{4,5}, Doan A. Regier, PhD⁶, Brisn W. Brestohan, PhD⁶, Barbara Kanninon, PhD⁶, John F.E. Bridges, PhD⁶



onjoint Analysis Applications in Health—a Checklist: A Report of the POR Good Research Practices for Conjoint Analysis Task Force

in F. P. Bridges, PhD^{4,*}, A. Brett Hauber, PhD², Deborah Marshall, PhD³, Andrew Lloyd, DPhil⁴, Lisa A. Prosser, PhD⁵, an A. Realer, PhD⁵, F. Reed Johnson, PhD², Josephine Mauskopf, PhD²



FEATURED ARTICLES ISPOR Task Force Report

Statistical Methods for the Analysis of Discrete Choice Experiments: A Report of the ISPOR Conjoint Analysis Good Research Practices Task Force



A. Brett Hauber, PhD**, Juan Marcos González, PhD*, Catharina G.M. Groothuis-Oudshoorn, PhD*, Thomas Prior, BA*, Deborah A. Marshall, PhD*, Charles Gunningham, PhD*, Maarten J. IJaerman, PhD*, John F.P. Bridgez, PhD*,

"Aligning health care policy with patient preferences could improve the effectiveness of health care interventions by improving adoption of, satisfaction with, and adherence to clinical treatments."

In Progress: ISPOR Task Force #4 (Co-chairs Bridges, Marshall, de Bekker-Grob)
Using Patient Preferences to Inform Healthcare Decisions

La prise en compte de la voix des patients : une tendance mondiale

Patient-Focused Drug Development: Methods to Identify What Is Important to Patients

Guidance for Industry, Food and Drug Administration Staff, and Other Stakeholders

DRAFT GUIDANCE

This guidance document is being distributed for comment purposes only.

Comments and suggestions regarding this draft document should be submitted within 90 days of publication in the Federal Register of the notice announcing the availability of the draft guidance. Submit electronic comments to https://www.regulations.gov. Submit written comments to the Dockets Management Staff (HFA-305), Food and Drug Administration, 5630 Fishers Lane, Rm. 1061, Rockville, MD 20852. All comments should be identified with the docket number listed in the notice of availability that publishes in the Federal Register.

For questions regarding this draft document, contact (CDER) Office of Communications, Division of Drug Information at druginfo@fda.hhs.gov, (855) 543-3784, or (301) 796-3400 or (CBER) Office of Communication, Outreach and Development at ocod@fda.hhs.gov, 800-835-4709 or 240-402-8010.

U.S. Department of Health and Human Services
Food and Drug Administration
Center for Drug Evaluation and Research (CDER)
Center for Biologics Evaluation and Research (CBER)

October 2019 Procedural

- EUPATI
 - www.eupati.eu
- MDIC
 - www.mdic.org
- PARADIGM
 - www.imi-paradigm.eu
- PREFER
 - www.imi-prefer.eu

















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

