

Evaluations médico- économiques

B. Dervaux

Faculté de Médecine, Lille

Objet de l'économie

- « L'analyse économique étudie la façon dont les individus ou la société emploient les ressources rares à usages alternatifs en vue de satisfaire leurs besoins »

Lionel Robbins (1932)

La démarche (1)

- Base du raisonnement économique : mise en perspective du résultat de santé espéré (ou obtenu) et des ressources mobilisées (notion de coût d'opportunité)
- Trois types de question :
 - Comment faire ?
 - « Single Technology Appraisal » (STA) vs « Multiple Technology Appraisal » (MTA)
 - Faut-il faire ?
 - Opportunité au regard des autres usages alternatifs des ressources
 - Une question corollaire : pour qui ?
 - Est-ce possible ? (A-t-on les moyens?)
 - Impact budgétaire

La démarche (2)

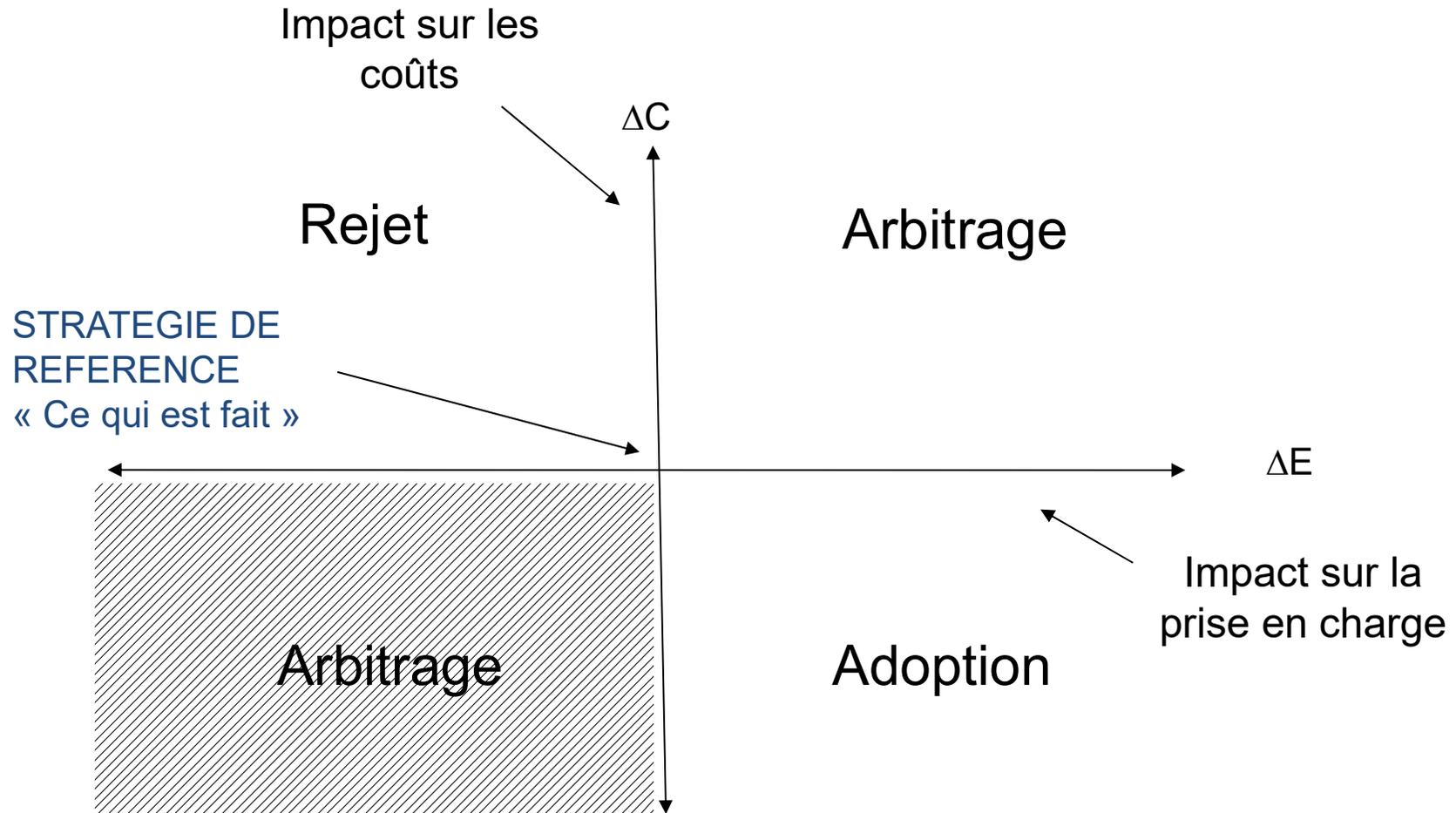
- L'évaluation économique constitue un outil d'aide à la décision pour l'allocation des ressources dans le système de santé
- « *La science de l'aide à la décision cherche à élaborer un réseau de concepts, de modèles, de procédures et de résultats susceptibles de constituer un ensemble structuré et cohérent de connaissances – en relation avec des corps d'hypothèses – jouant le rôle de clé pour guider la prise de décision et communiquer à son sujet en conformité avec des objectifs et des valeurs* » [B Roy (1992)]

Les types d'analyse

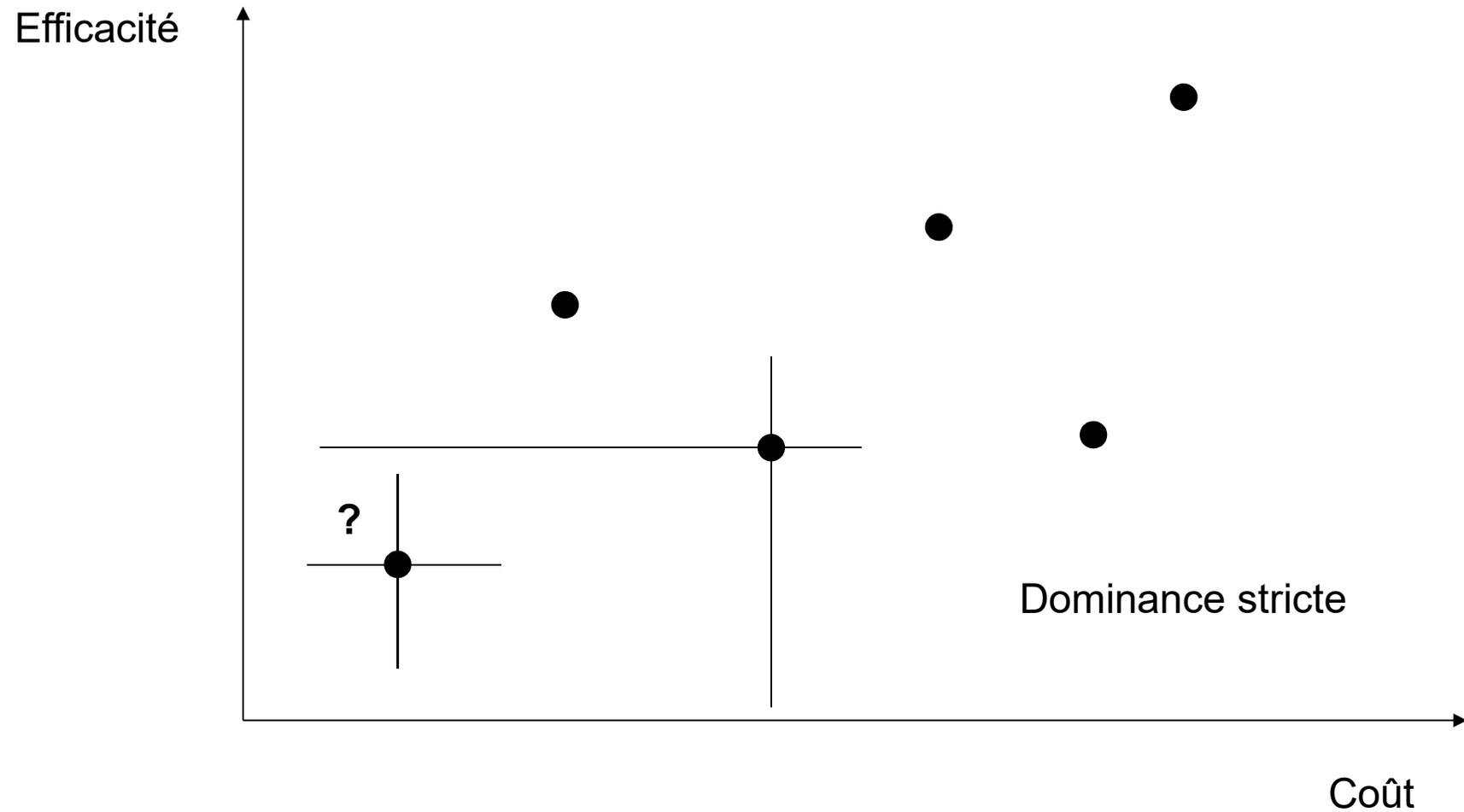
- Le choix du critère d'efficacité
- Analyse coût-efficacité: unité physique
- Analyse coût-utilité : QALYs
- Analyse coût-bénéfice : en UM

- CBA > CUA > CEA

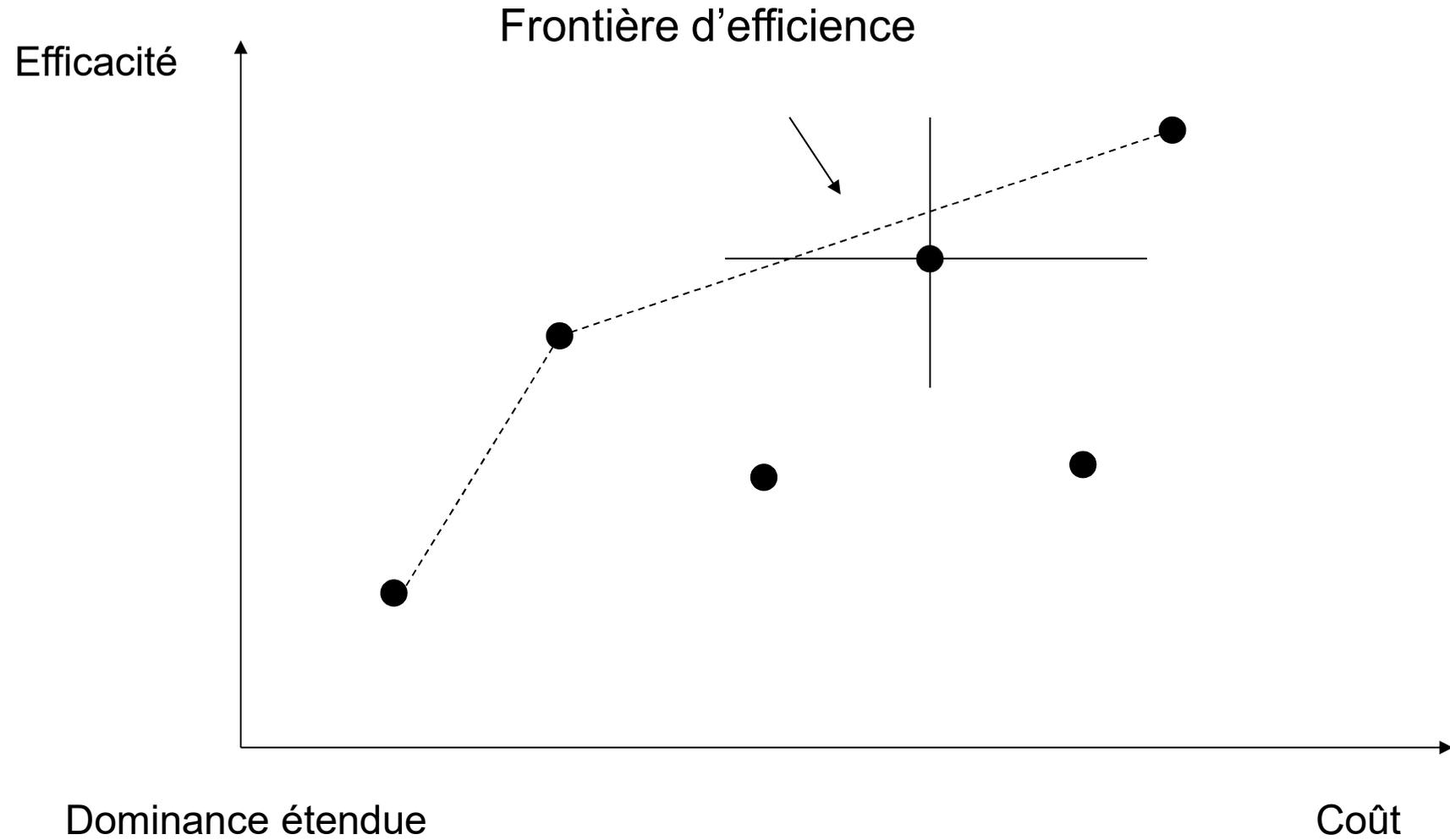
L'analyse coût/efficacité (1)



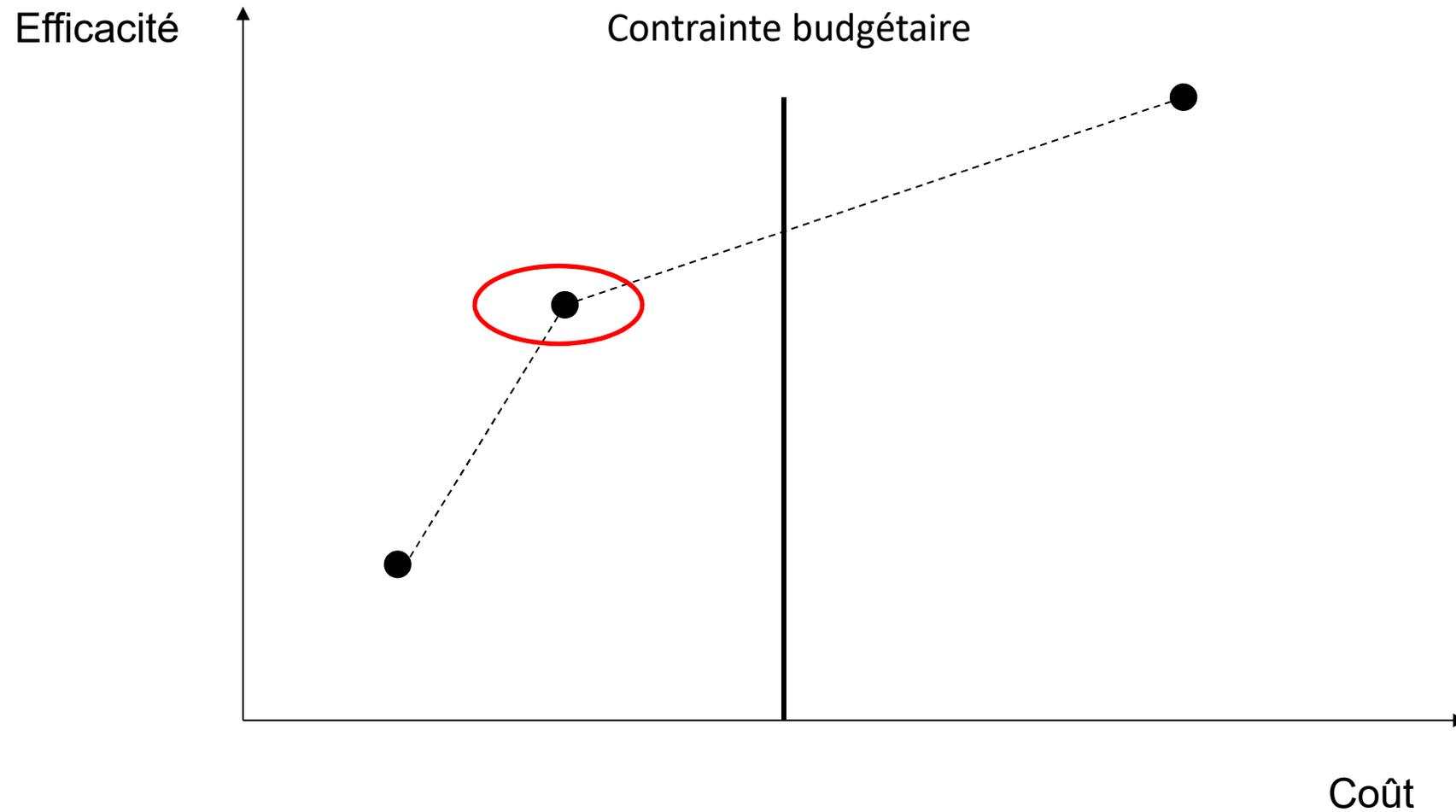
L'analyse coût/efficacité (2)



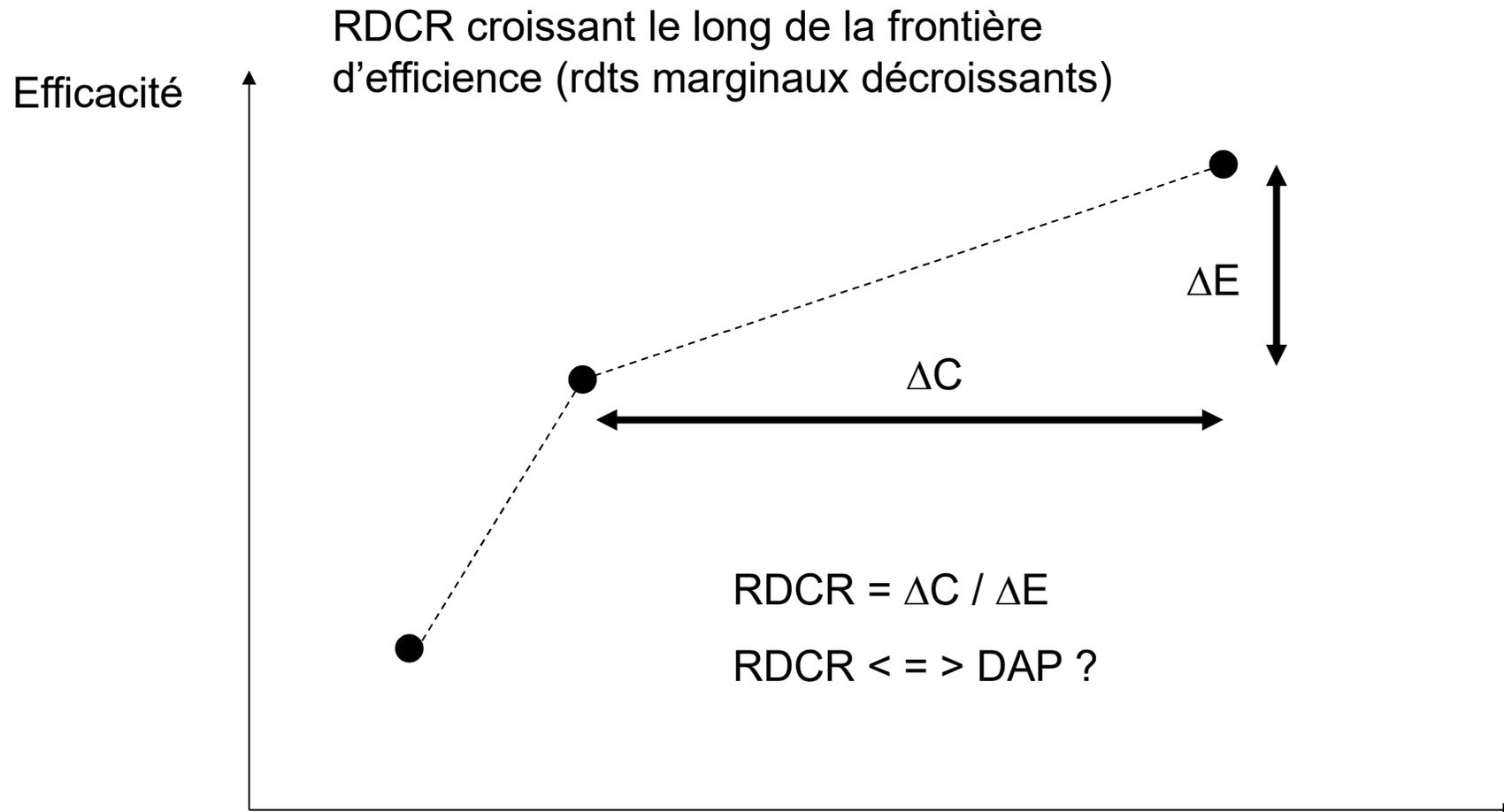
L'analyse coût/efficacité (3)



L'analyse coût/efficacité (4)



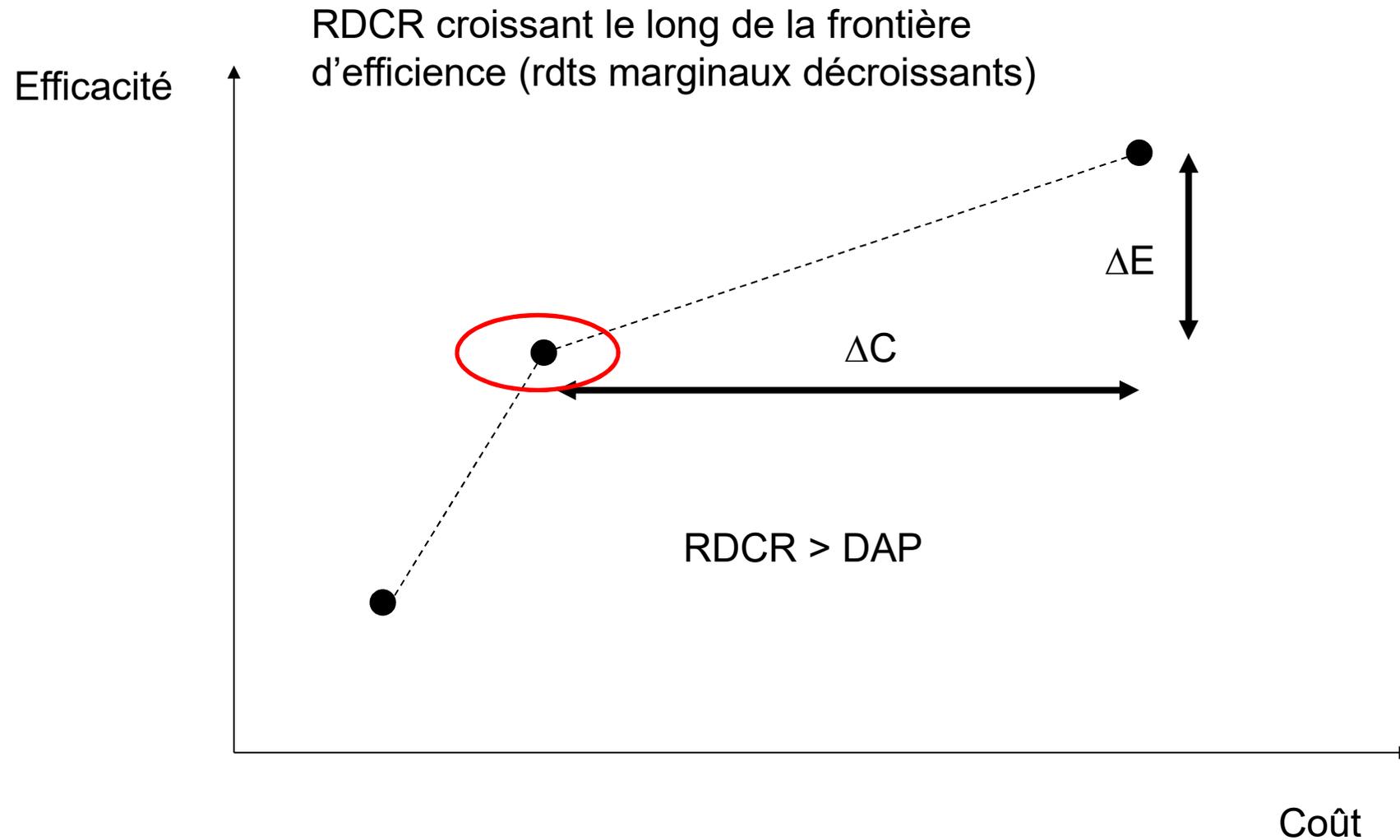
L'analyse coût/efficacité (5)



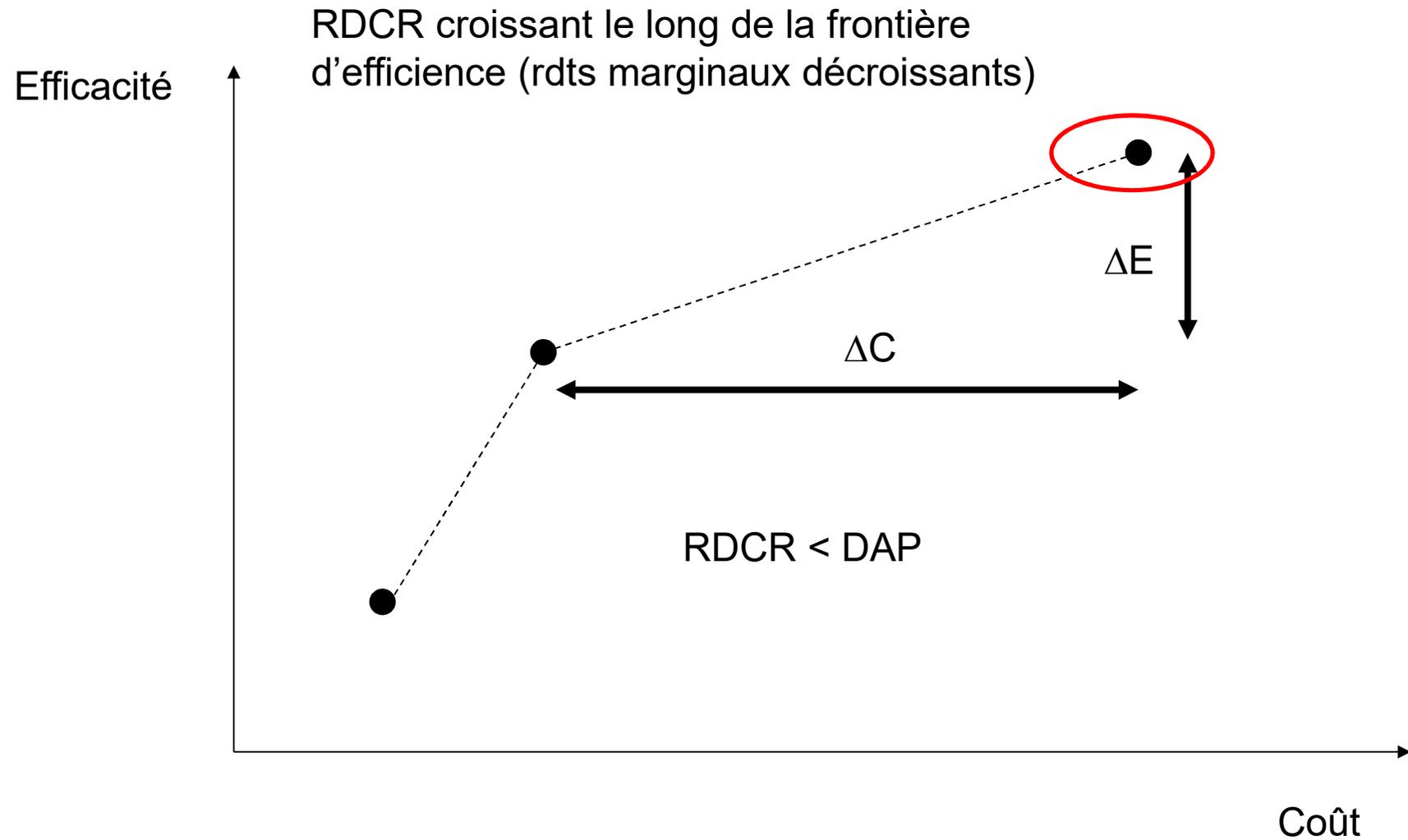
RDCR = Ratio Différentiel Coût/Résultat (ICER en anglais)

DAP = Disposition à Payer (WTP en anglais)

L'analyse coût/efficacité (5)



L'analyse coût/efficacité (5)



Deux interprétations

- Le seuil de décision peut être déterminé de deux manières :
 - Au regard du coût d'opportunité des ressources mobilisées par l'intervention évaluée (pays où les dépenses de santé sont encadrées, ex. l'Angleterre)
 - Au regard de la disposition à payer pour un QALY de la collectivité

La valeur du seuil

- Peu de pays disposent d'un seuil de décision
 - En Angleterre, seuil historique fixé à £20000-£30000 mais des discussions vives dans la littérature sur la pertinence de ce seuil entre les tenants
 - D'un relèvement du seuil : £70000 pour les traitements de fin de vie, voire £300000 pour les maladies orphelines
 - D'un abaissement du seuil : £12936 [Claxton et al (2015)]

Tableau I. Synthèse des données disponibles sur la valeur de l'année de vie pour la France.

Source Référence	Valeur	Unité de mesure	Référentiels Fondements théoriques
Coût de la dialyse rénale	64 450 € 88 600 € (valeur 2007)	Année de vie	<i>Ad hoc</i>
Rapport Boiteux + Projet EuroVAQ	53 580 € (valeur 2000) 67 900 € (valeur 2010*)	Année de vie	À partir de l'estimation de la valeur de la vie statistique obtenue à partir des données de la littérature internationale sur la propension à payer des individus pour réduire leur probabilité de décès <u>Hypothèses</u> : la valeur de la vie statistique est constante, taux d'actualisation = 1 %
Rapport Boiteux + Projet EuroVAQ	52 228 € 21 500 € (valeur 2000) 66 150 € 27 200 € (valeur 2010*)	Année de vie	À partir de l'estimation de la valeur de la vie statistique obtenue à partir des données de la littérature internationale sur la propension à payer des individus pour réduire leur probabilité de décès <u>Hypothèse</u> : la valeur de la vie statistique varie avec l'âge, taux d'actualisation = 1 %
Rapport Quinet	115 000 € (valeur 2010)	Année de vie	À partir de l'estimation de la valeur de la vie statistique obtenue à partir des données de la littérature internationale sur la propension à payer des individus pour réduire leur probabilité de décès <u>Hypothèse</u> : la valeur de la vie statistique est constante, taux d'actualisation = 2,5 %
OMS (<i>Commission on Macroeconomics and Health</i>)	93 000 € (valeur 2012)	DALY	<i>Ad hoc</i> Référence au produit intérieur brut par tête
Projet EuroVAQ	9 700 € 25 110 € (valeur 2010)	QALY	À partir de l'estimation de la propension à payer pour un QALY au sein d'un échantillon de la population française

* : Valeur de la vie statistique fixée à 1,9 millions d'euros ajustée de l'évolution de la consommation *per capita*

DALY : *disability adjusted life years* ; **EuroVAQ** : *European value of a quality adjusted life year* ; **OMS** : Organisation mondiale de la santé ; **QALY** : *quality-adjusted life years*.

Le bénéfice net incrémental (1)

Une autre manière de représenter le problème décisionnel :

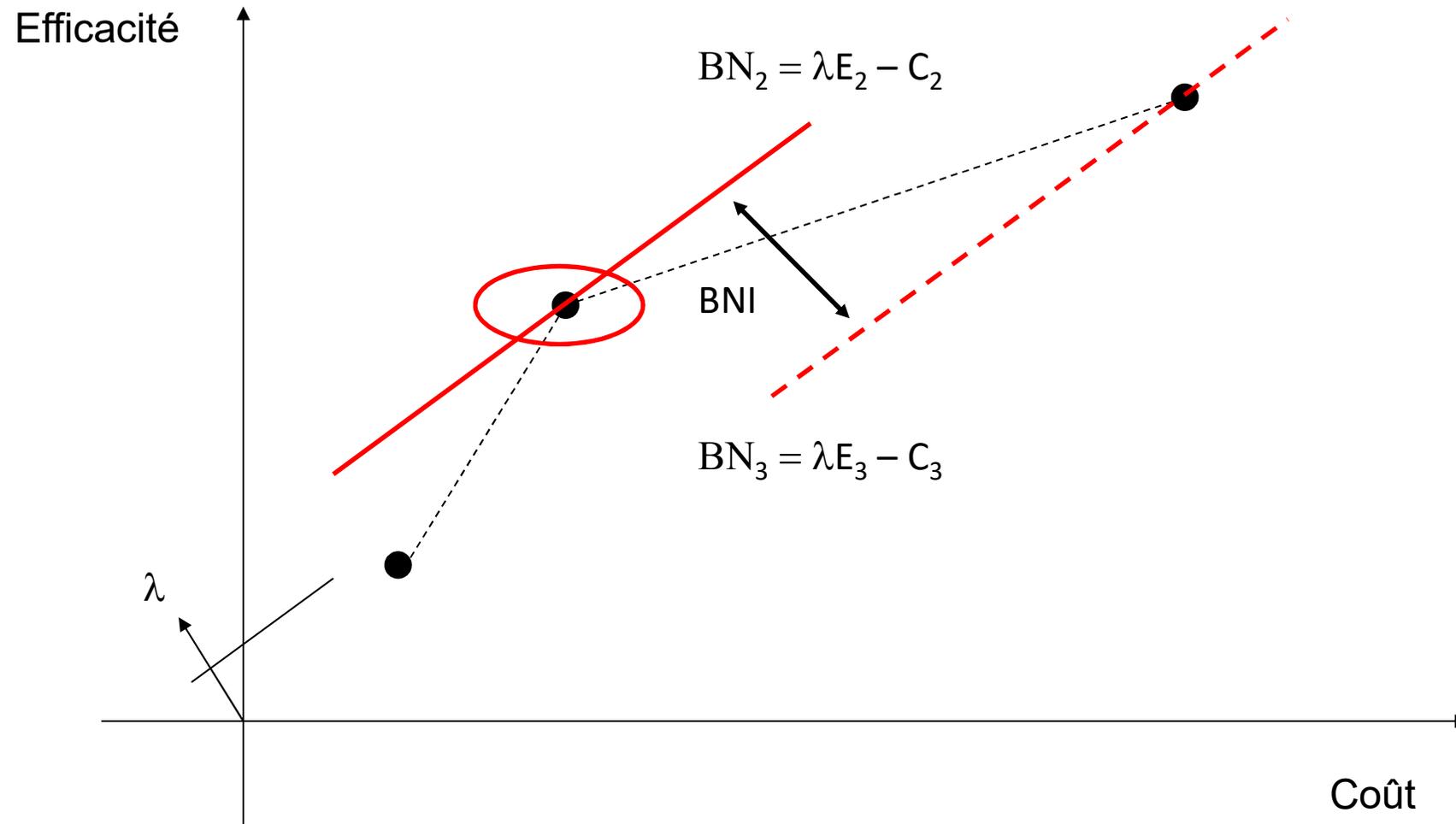
$$\Delta C / \Delta E < \lambda$$

$$\Rightarrow \lambda \Delta E - \Delta C > 0$$

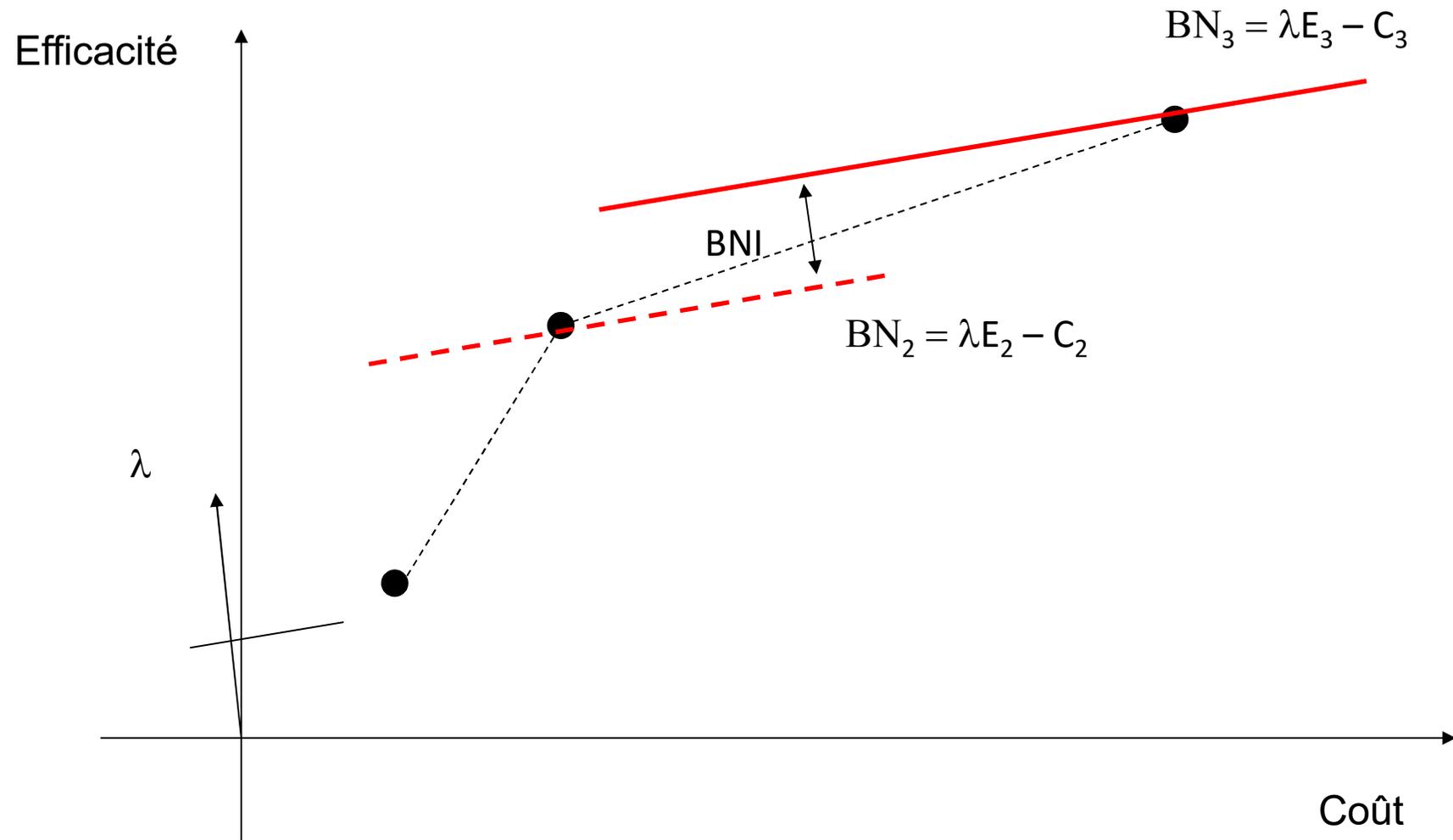
$$\text{ou } \Delta E - \Delta C / \lambda > 0$$

$$\text{BNI} = \lambda \Delta E - \Delta C$$

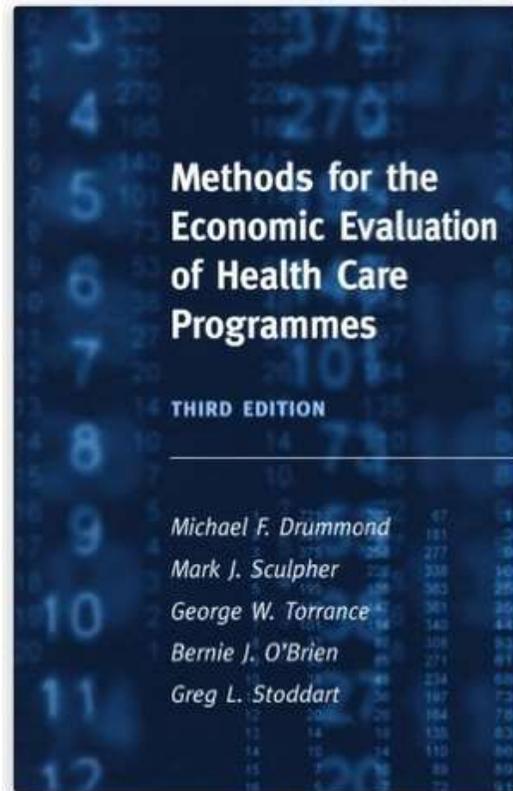
Le bénéfice net incrémental (2)



Le bénéfice net incrémental (3)



Une référence incontournable



Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes (Anglais) Broché – 21

juillet 2005

de [Michael F. Drummond](#) (Auteur), & 4 plus



HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

DOCUMENT SOUMIS À CONSULTATION PUBLIQUE

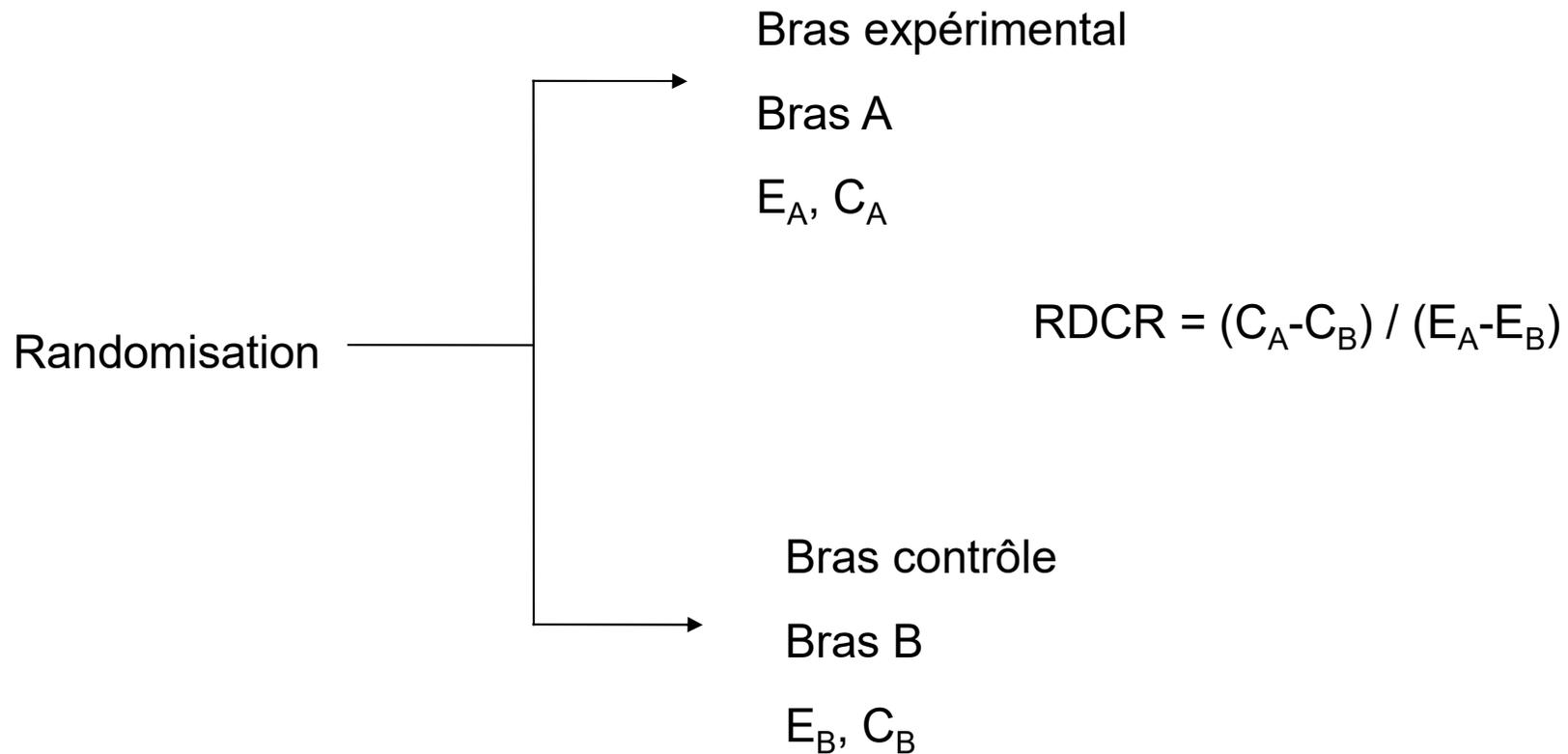
L'évaluation économique
à la Haute Autorité de Santé
Principes et méthodes

La réalisation d'une évaluation économique

Le contexte

- Deux situations possibles :
 - L'évaluation économique est conduite en parallèle à la réalisation d'un essai clinique et repose sur les données colligées à cette occasion
 - L'évaluation économique est réalisée à partir d'une modélisation construite à partir des données issues de la littérature
- Les concepts sont inchangés mais les méthodologies sont (légèrement) différentes

L'évaluation économique adossée à un essai clinique



Oui mais... (1)

- Arbitrage entre :
 - Validité interne : fiabilité du résultat (réel et non biaisé)
 - Validité externe : possibilité de généraliser les résultats à l'ensemble de la population
 - La validité interne d'un essai contrôlé randomisé en double aveugle est forte. La validité externe est moins assurée (choix des critères d'inclusion et/ou d'exclusion, modalités de suivi renforcées...)
 - Efficacité («Efficacy») vs Effectivité («Effectiveness»)

Oui mais... (2)

- Choix du critère de jugement :
 - Critère clinique (OK pour analyse coût-efficacité)
 - Critère intermédiaire ou de substitution → anticipation de l'effet du traitement (incertitude)
- Choix de l'horizon temporel :
 - Contrainte sur la durée de suivi des patients inclus : coût et faisabilité de l'essai
 - Pour l'évaluation économique, un horizon de temps suffisamment long est requis pour intégrer toutes les conséquences de l'intervention

Oui mais... (3)

- Calcul du nombre de sujets :
 - Calculé sur le critère de jugement principal
 - Manque potentiel de puissance pour les critères de jugement secondaires (qualité de vie, coûts...)
 - Incertitude +++
- Toutes les interventions ne sont pas comparées entre elles. Les essais cliniques ont deux ou trois bras
- Pour le calcul des coûts :
 - Certains coûts sont liés à la recherche (ex. les visites, examens biologiques ou d'imagerie surnuméraires...)

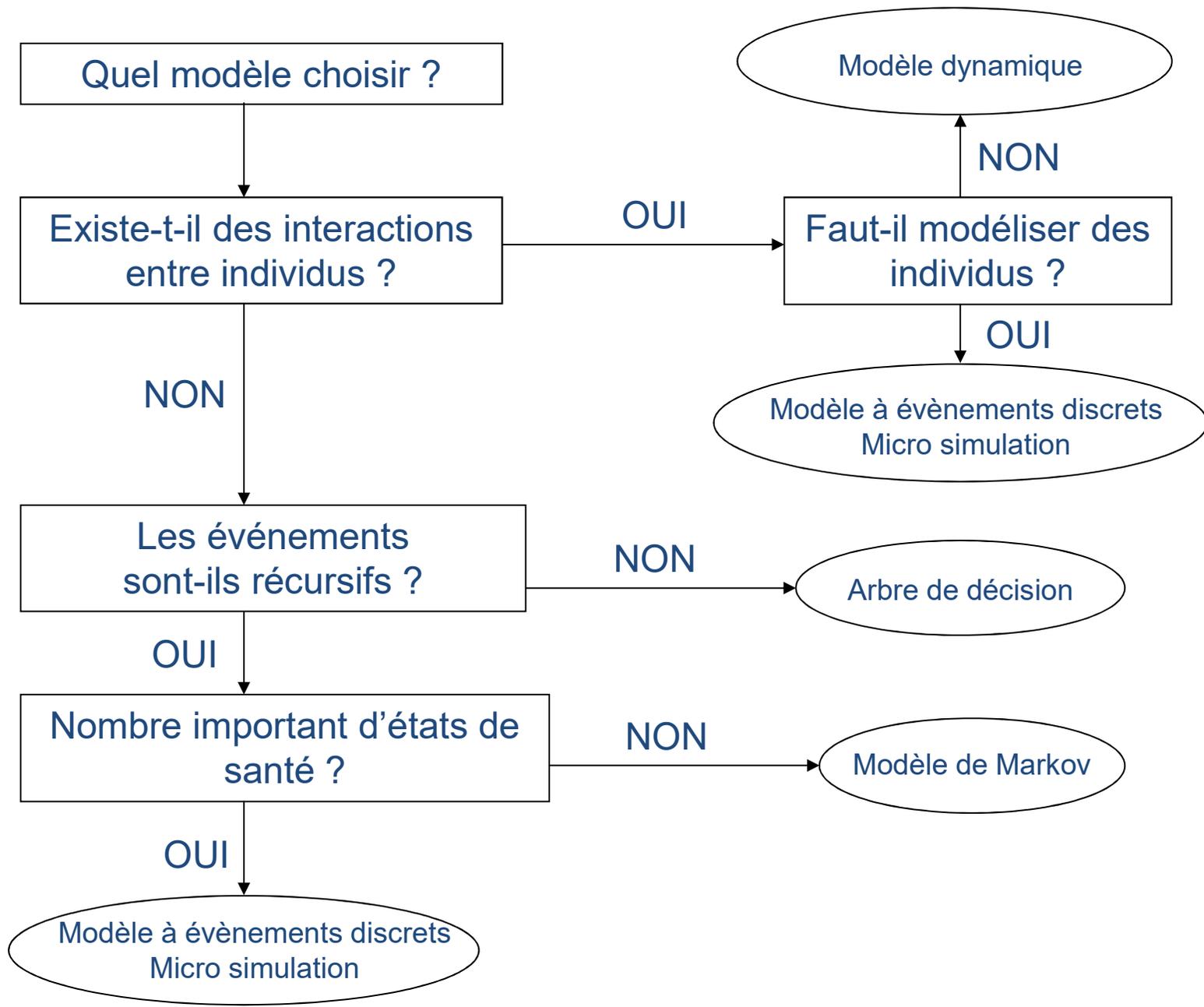
Dès lors...

- Importance de la modélisation pour :
 - Extrapoler les données fournies par les essais cliniques
 - Faire le lien entre les critères intermédiaires ou de substitution et les critères cliniques
 - Elargir l'horizon temporel
 - Comparer l'ensemble des alternatives pertinentes
 - Mettre en cohérence des données disponibles, de nature différente
 - épidémiologiques [incidence, sévérité]
 - cliniques [efficacité, sécurité]
 - comportementales [sur l'observance, la persistance]
 - économiques [coûts] ...
 - Prendre en compte l'incertitude

Table 2. Summary of types of decision model structures

Model Type	General Description	Type of Decision Best Suited For
Decision tree	Diagrams the risk of events and states of nature over a fixed time horizon.	Interventions for which the relevant time horizon is short and fixed.
Markov (cohort) model	Simulates a hypothetical cohort of individuals through a set of health states over time.	Modeling interventions for diseases or conditions that involve risk over a long time horizon and/or recurrent events.
Microsimulation (individual) model	Simulates one individual at a time; tracks the past health states of individual and models risk of future events stochastically.	Modeling complex disease processes, when Markov models are too limiting.
Dynamic model	System of differential equations that simulates the interactions between individuals and the spread of disease.	Modeling interventions for communicable diseases, such as vaccinations.
Discrete event simulation model	Simulates one individual at time as well as interactions among individuals or within a health care system.	Evaluating alternative health care systems (e.g., workflow, staffing) though flexible enough to address questions in several different areas.

AHRQ (2007)

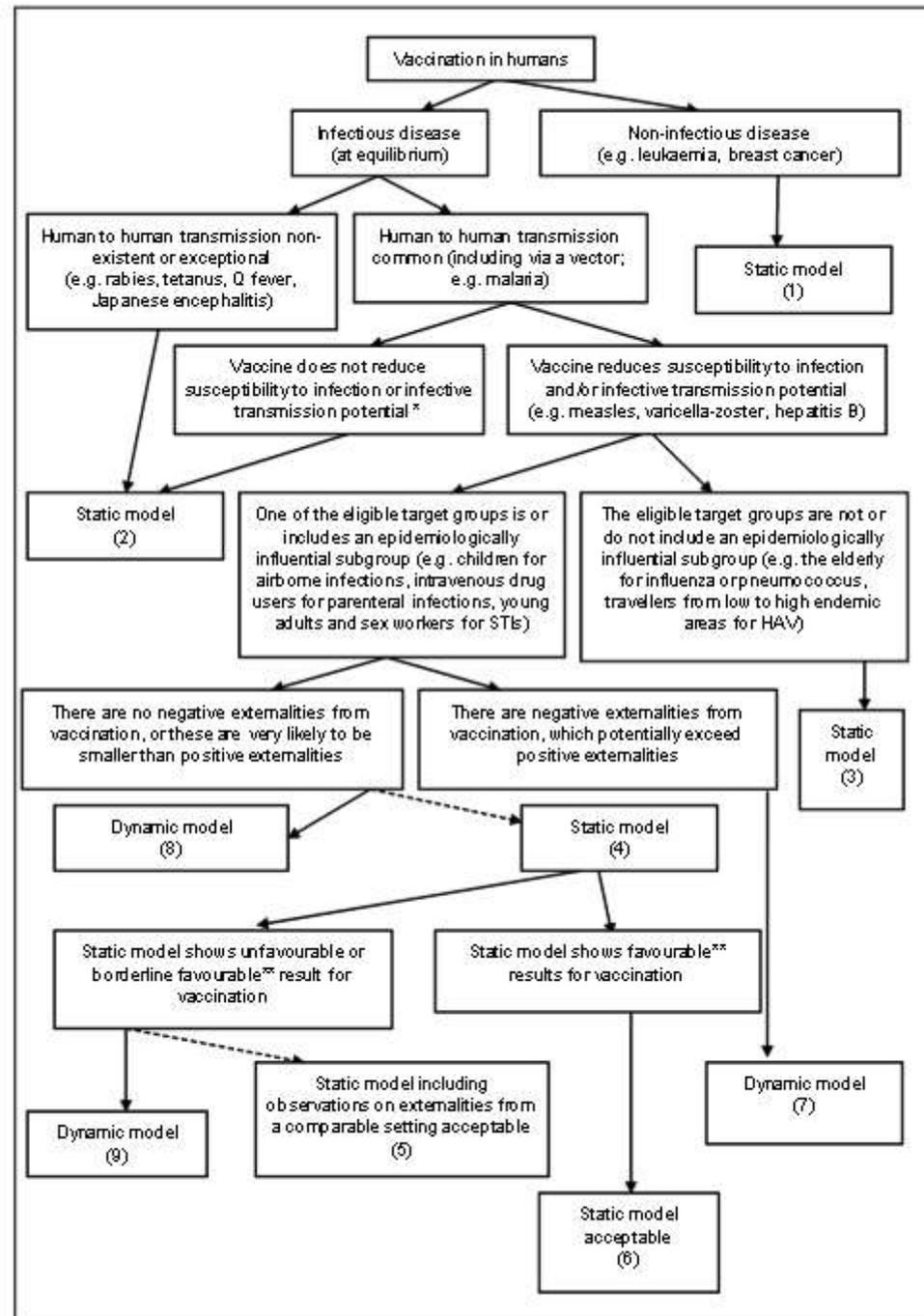


Dans le domaine des maladies transmissibles

- Distinction importante entre modèle statique et modèle dynamique (2 types de modèles à compartiments) :
 - Modèle statique : la force de l'infection est constante dans le temps
 - Modèle dynamique : la force de l'infection évolue dans le temps en fonction de l'état du système
- Dans le domaine de la vaccination, un modèle statique sous-estime souvent les bénéfices (non prise en compte des externalités)
- La primauté doit être donnée aux modèles dynamiques sauf lorsque la vaccination concerne une population-cible ayant un rôle peu important pour la transmission du pathogène dans la population générale

WHO guide for standardization of economic evaluations of immunization programmes

Immunization, Vaccines and Biologicals



La mesure de l'efficacité

Qualité de vie liée à la santé
QALY

QALY et DALY

- Des mesures tenant compte simultanément de l'espérance de vie et de la morbidité
 - Les années de vie ajustées sur la qualité (**QALYs** pour Quality Adjusted Life Years)
 - Les années de vie ajustées sur l'incapacité (**DALYs** pour Disability Adjusted Life Years)
- Une idée commune
 - Pondérer les années de survie par un coefficient qui traduit soit la préférence des individus sur les états de santé (QALY), soit le degré de limitation d'activités (DALY)
- MAIS deux approches très différentes
 - Sur le plan théorique
 - Sur le plan méthodologique

La mesure de la qualité de vie

- Point de vue = patient (PRO)
- Les dimensions usuelles :
 - Dimension de la douleur
 - Dimension de l'anxiété (douleur morale)
 - Dimension de l'intégrité physique et des fonctionnements de base
 - Dimension de la capacité de fonctionner au quotidien
 - Dimension de la capacité à entretenir des relations avec autrui et de mener une vie en société (capacité à travailler)

La mesure de la qualité de vie

- Des questionnaires très nombreux !
- Une distinction importante entre les outils :
 - génériques, s'appliquant à tous les contextes de pathologies (SF36, EQ-5D, HUI...)
 - spécifiques, développés pour certaines maladies (EORTC QLQC30 pour le cancer, MSQOL-54 pour la sclérose en plaques, etc..)
- Un site utile : www.proqolid.org

EQ-5D

Mobilité

- Je n'ai aucun problème pour me déplacer à pied
- J'ai des problèmes pour me déplacer à pied
- Je suis obligé(e) de rester alité(e)

Autonomie de la personne

- Je n'ai aucun problème pour prendre soin de moi
- J'ai des problèmes pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e)
- Je suis incapable de me laver ou de m'habiller tout(e) seul(e)

Activités courantes (*exemples : travail, études, travaux domestiques, activités familiales ou loisirs*)

- Je n'ai aucun problème pour accomplir mes activités courantes
- J'ai des problèmes pour accomplir mes activités courantes
- Je suis incapable d'accomplir mes activités courantes

Douleurs/gêne

- Je n'ai ni douleurs, ni gêne
- J'ai des douleurs ou une gêne modérée(s)
- J'ai des douleurs ou une gêne extrême(s)

Anxiété/dépression

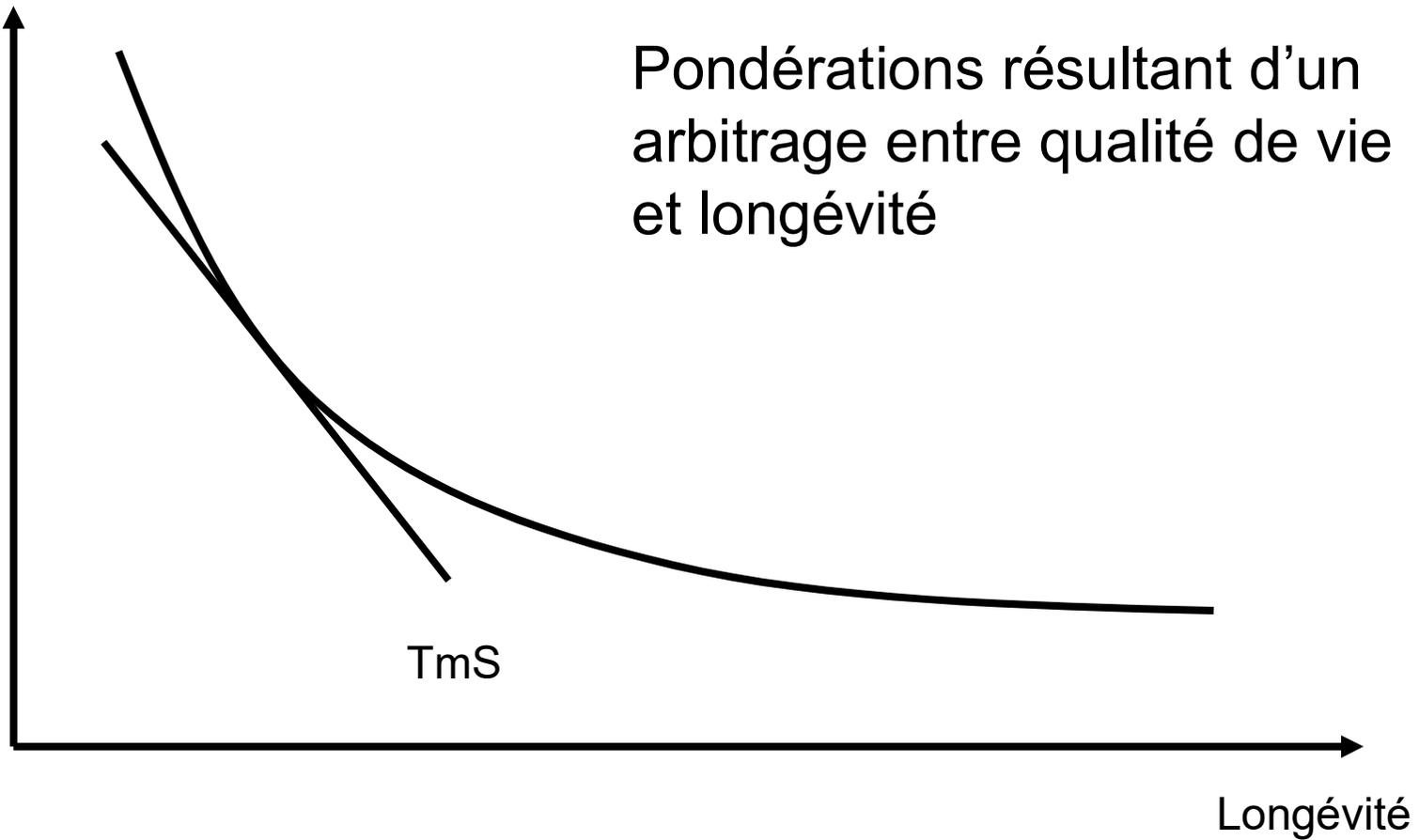
- Je ne suis ni anxieux(se), ni déprimé(e)
- Je suis modérément anxieux(se) ou déprimé(e)
- Je suis extrêmement anxieux(se) ou déprimé(e)

243 états

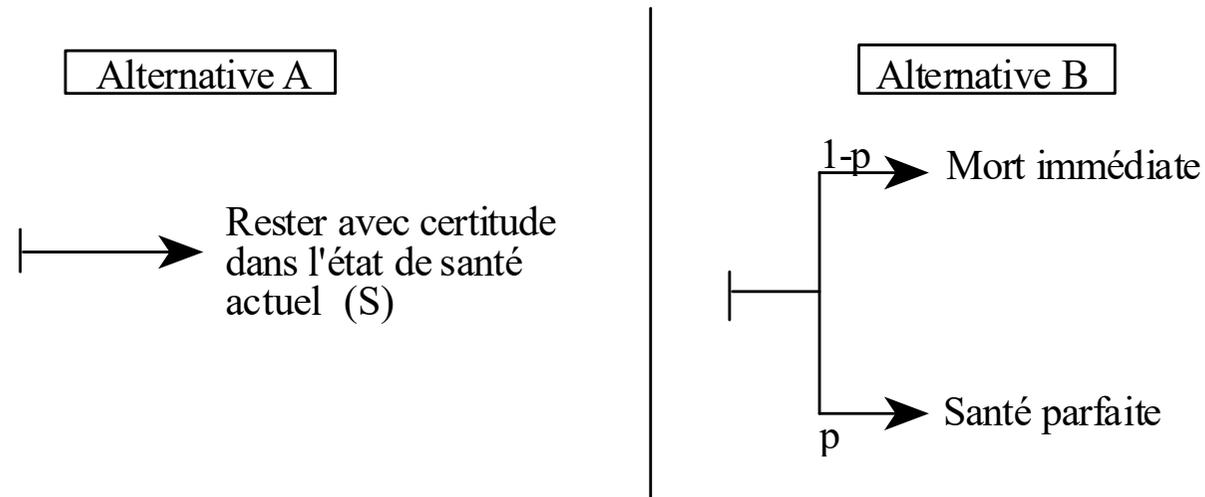
Les QALYs

Arbitrage entre quantité et qualité

Qualité de vie



La loterie standard (SG)



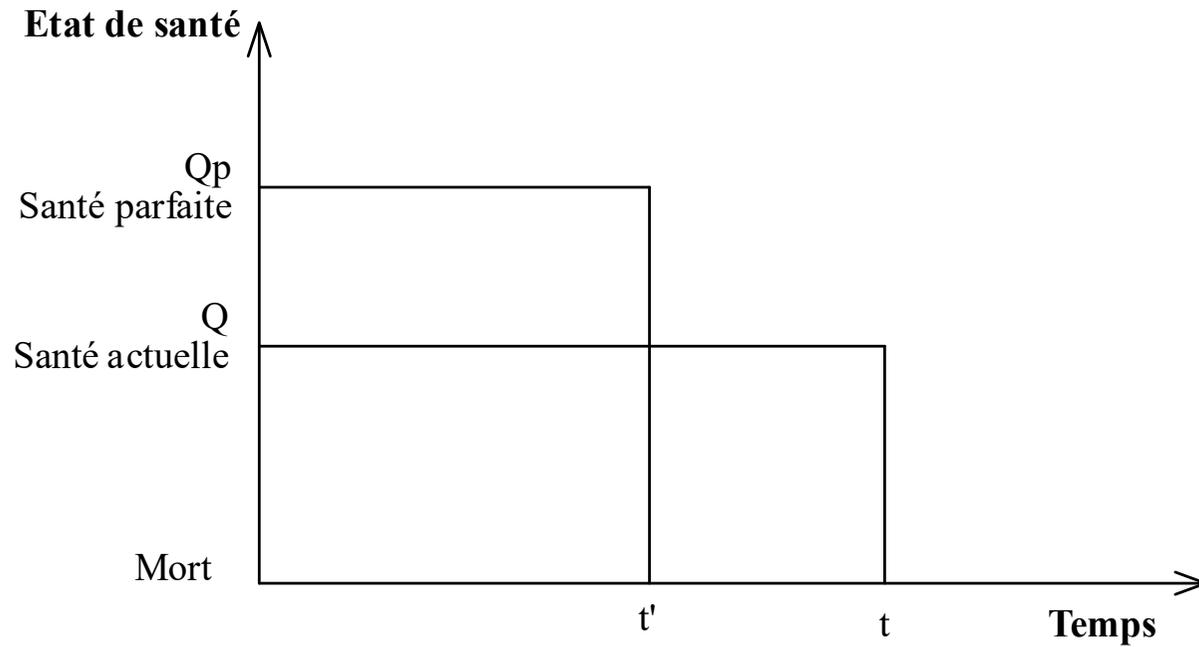
Si $p=1$, la loterie conduit à l'état de santé parfaite.

Si $p=0$, la loterie conduit à coup sûr au décès

$$U(S) = p^* U(\text{santé parfaite}) + (1-p^*) U(\text{mort immédiate})$$

$$U(S) = p^* 1 + (1-p^*) 0 = p^*$$

L'arbitrage-temps (TTO)



$$U(S) = t' / t$$

Le value-set pour l'EQ-5D en France

		Parameter estimates
MO2	1 if « mobility » is level 2; 0 otherwise.	0.15
MO3	1 if « mobility » is level 3; 0 otherwise.	0.37
SC2	1 if « self-care » is level 2; 0 otherwise.	0.21
SC3	1 if « self-care » is level 3; 0 otherwise.	0.32
UA2	1 if « usual activities » is level 2; 0 otherwise.	0.16
UA3	1 if « usual activities » is level 3; 0 otherwise.	0.19
PD2	1 if « pain/discomfort » is level 2; 0 otherwise.	0.11
PD3	1 if « pain/discomfort » is level 3; 0 otherwise.	0.26
AD2	1 if « anxiety/depression » is level 2; 0 otherwise.	0.09
AD3	1 if « anxiety/depression » is level 3; 0 otherwise.	0.20
N3	1 if any dimension is at level 3; 0 otherwise.	0.17

$$U(11111) = 1.0$$

$$U(21111) = 1.0 - 0.15$$

$$U(31111) = 1.0 - 0.37 - 0.17$$

Les questions soulevées

- Capacité des questionnaires de qualité de vie (notamment génériques) à apprécier tous les dimensions importantes du point de vue du patient
- Propriétés métrologiques (ex. effet-plafond pour l'EQ-ED → EQ-5D-5L)
- Propriétés théoriques (notamment la prise en compte de la durée de vie dans l'état de santé)
 - Aversion au risque de longévité
 - « Maximal endurable time »

D'autres méthodes...

- Les méthodes de révélation des préférences (DCE pour « Discrete choice experiment »)
 - Définition des attributs et des niveaux (description des états de santé)
 - Elaboration des plans d'expérience (D-optimalité)
 - Collecte et analyse des données
- L'approche par la théorie des capabilités de Amartya Sen (prix Nobel d'économie en 1998)
 - ICECAP (Université de Birmingham)

La mesure des coûts

La mesure des coûts

- Coût = estimation monétaire du volume des ressources mobilisées (ou libérées) par une intervention → volume des moyens de production nécessaires
- Estimation difficile à réaliser dans le domaine sanitaire : système de prix administrés et de tarifs
- Importance de la perspective choisie :
 - La collectivité
 - Le payeur (l'Assurance Maladie)
 - Le prestataire de soins (par exemple, hôpital)
- Le perspective à l'autre peut modifier les résultats de l'évaluation
 - Par exemple, le développement des alternatives à l'hospitalisation classique

La notion de coût d'opportunité

- En principe, la mesure du coût doit refléter le coût d'opportunité de la ressource (c'est-à-dire la valeur produite par la ressource utilisée autrement)
- Pour les économistes, le prix de marché (sous certaines conditions rarement vérifiées) reflète ce coût d'opportunité
 - Ex. le taux de salaire représente la productivité marginale du travail en valeur (point de vue de l'employeur) et l'utilité marginale du travail par rapport au loisir (point de vue du salarié)
- Dans le domaine de la santé, le marché a peu de place comme mécanisme de régulation
- Les tarifs se substituent aux prix. Ces prix administrés reflètent rarement le coût d'opportunité

La typologie des coûts (1)

- Coûts directs :
- l'ensemble des ressources consommées et des dépenses directement attribuables au programme
 - Coûts directs *médicaux* : hospitalisation, soins médicaux et paramédicaux, tests diagnostiques, services de prévention ou de rééducation, équipements spéciaux, médicaments
 - Coûts directs *non médicaux* : frais de transport du patient vers les structures de soins, dépenses liées aux soins fournis par la famille, éventuelles gardes d'enfants pour cause de maladie, aide domestique, entretien ou adaptation du domicile du patient, services sociaux...

La typologie des coûts (2)

- Coûts indirects :
 - Pertes de production (décès, absentéisme du patient ou d'un proche lié à la maladie, dans le cadre de soins, d'examens...)
 - Valorisation :
 - Approche par le capital humain
 - Approche par les coûts frictionnels

Les recommandations méthodologiques

- Il faut toujours préciser (et justifier) la perspective choisie
- Trois étapes :
 - Identifier les éléments de coûts
 - Les quantifier (ex. durée des interventions, nombre d'actes, kms parcourus...)
 - Les valoriser
 - La valorisation doit être en cohérence avec la perspective retenue

Les modalités de recueil

- Plusieurs modalités, non mutuellement exclusives, peuvent être mobilisées :
 - Le recueil direct (ex. dans le CRF)
 - Les données de littérature (attention aux questions de transposabilité d'un contexte national à l'autre)
 - L'établissement de parcours de soins type (à dire d'experts...)
 - Les données de l'Assurance-Maladie (SNIR-AM)

La prise en compte de l'incertitude

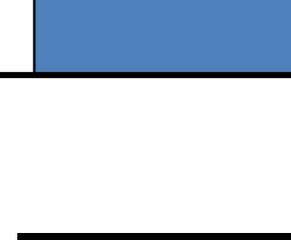
Eclairer les choix

- Toute décision est prise en situation d'incertitude
- Il existe donc un risque de prendre une mauvaise décision
- L'appréciation de ce risque est incontournable
 - Analyses de sensibilité (tester la robustesse des conclusion et identifier les paramètres clefs)
 - S'interroger sur l'opportunité de produire de nouvelles données (valeur de l'information)

L'analyse de sensibilité (1)

	Uni variée	Multi variée
Déterministe		
Stochastique		

Monte Carlo
Micro simulations
Bootstrap



L'analyse de sensibilité (2)

- Analyse de sensibilité probabiliste :
 - Tirages aléatoires sur les distributions des paramètres du modèle (probabilités, coûts, scores d'utilité...)
 - Calcul des bénéfices nets de chaque stratégie évaluée (en faisant varier la valeur du lambda)
 - Dénombrement du nombre de fois où chaque stratégie domine les autres (i.e. présente un bénéfice net supérieur)

La courbe d'acceptabilité

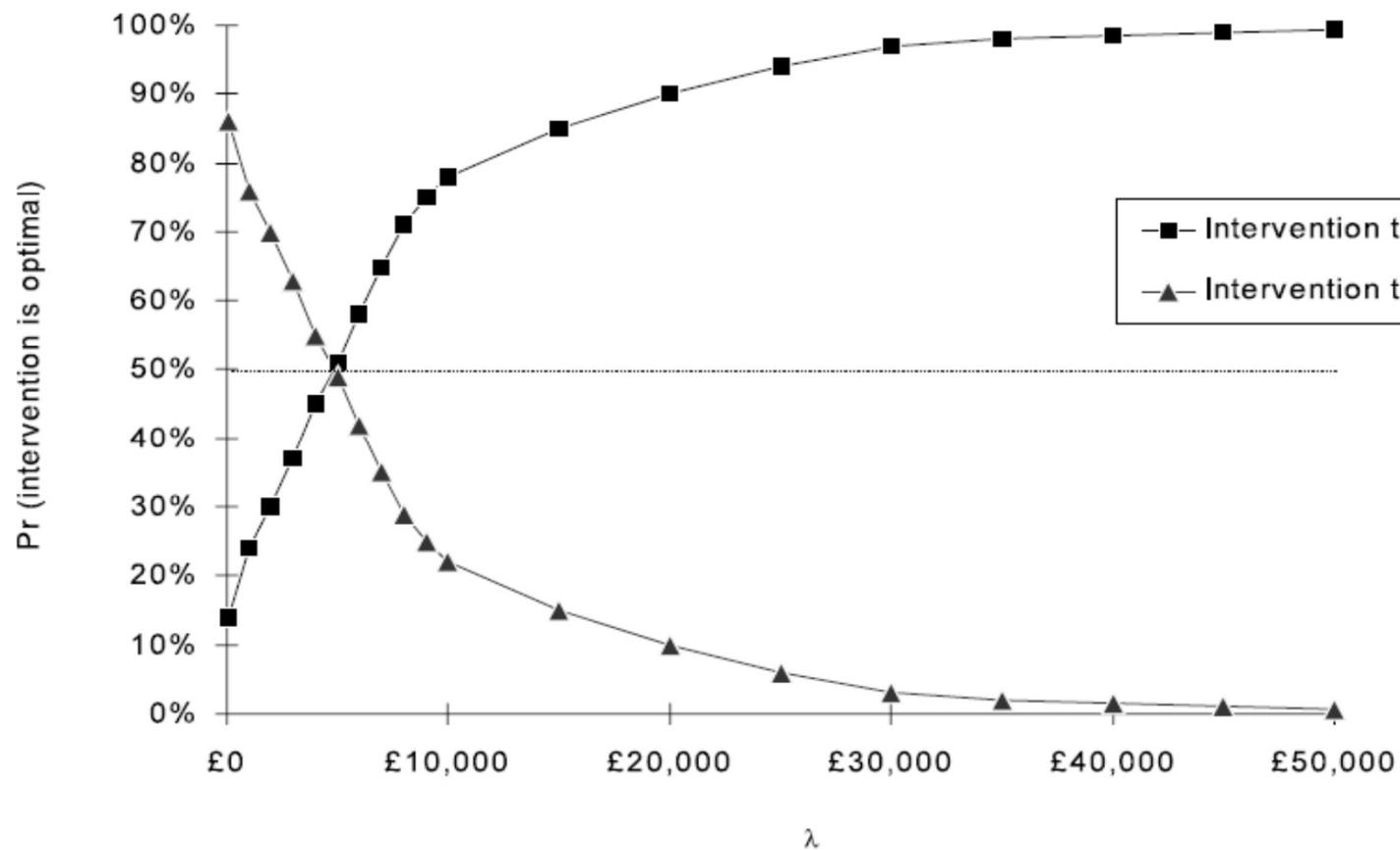


Figure 2. CEAcc curves for decisions involving two options

Merci de votre attention

benoit.dervaux@chru-lille.fr

benoit.dervaux@univ-lille2.fr