

PLAN CANCER¹ ET EVALUATION DE L'INNOVATION

Robert Launois

Correspondance : Pr Robert LAUNOIS – 28 rue d'Assas – 75006 PARIS
Email : launois.reesfrance@wanadoo.fr - Site internet : <http://www.rees-france.com>

L'évaluation économique d'un choix thérapeutique est loin d'être immédiate et ne saurait se limiter au coût d'acquisition des traitements médicamenteux. Elle ne peut se passer de la mise en œuvre de techniques spécialisées, de plus en plus précises et sophistiquées, qui ont fait de la médico-économie une discipline à part entière qui se différencie à la fois de la recherche clinique et de la recherche marketing. Les modèles d'analyse médico-économique en reconstituant la complexité du système de santé dans des conditions parfaitement contrôlées, tentent de reproduire et de schématiser la diversité des attitudes et des choix auxquels le plan thérapeutique le mieux validé peut donner lieu. La dynamique des interactions entre cliniciens et patients y est mise en situation dans des contextes institutionnels variés. La réalité des comportements de prescription et d'observance et la diversité des modes de prise en charge sont intégrées dans l'analyse, ce qui produit de nouvelles données qui enrichissent les résultats des essais randomisés. Le modèle devient alors l'équivalent d'une soufflerie qui permet de tester ex ante en laboratoire les actions de santé sans risque politique et pour un coût restreint. Il rassemble, à partir de données qui sont toutes chiffrées les pièces d'un puzzle intégrant le taux de prévalence de la maladie, les caractéristiques nosologiques des tests, l'efficacité des traitements, la sévérité des effets indésirables, la diversité des parcours dans le système de soins, l'ampleur des efforts qui sont déployés en faveur des malades et leurs coûts, ainsi que les préférences et les jugements de valeur de la personne traitée. Cette démarche croise trois disciplines : l'épidémiologie clinique pour tenter d'éclaircir la complexité du génie évolutif de la maladie, le traitement statistique des données pour tenir compte des aléas et incertitudes consubstantielles à l'activité médicale et l'analyse de décision pour cerner les conséquences dommageables ou bénéfiques associées aux différentes options thérapeutiques.

1. LE PLAN CANCER UN ENGAGEMENT FORT EN FAVEUR DE L'INNOVATION

Le Plan Cancer mobilise l'ensemble des acteurs des soins et de la recherche au profit d'un devoir de solidarité nationale envers les patients pour prévenir, dépister, soigner, accompagner, former comprendre et découvrir. Il est difficile devant des objectifs aussi généreux de dresser un état des lieux, et encore plus d'évaluer l'impact pour les patients et sur la population de la multitude d'initiatives qui ont été prises depuis le lancement du plan 2003-2007 et la mise en place de l'INCA en 2004. C'est la transformation de l'ensemble de la filière de soins qu'il convient d'appréhender en chiffrant à la fois l'ampleur des moyens

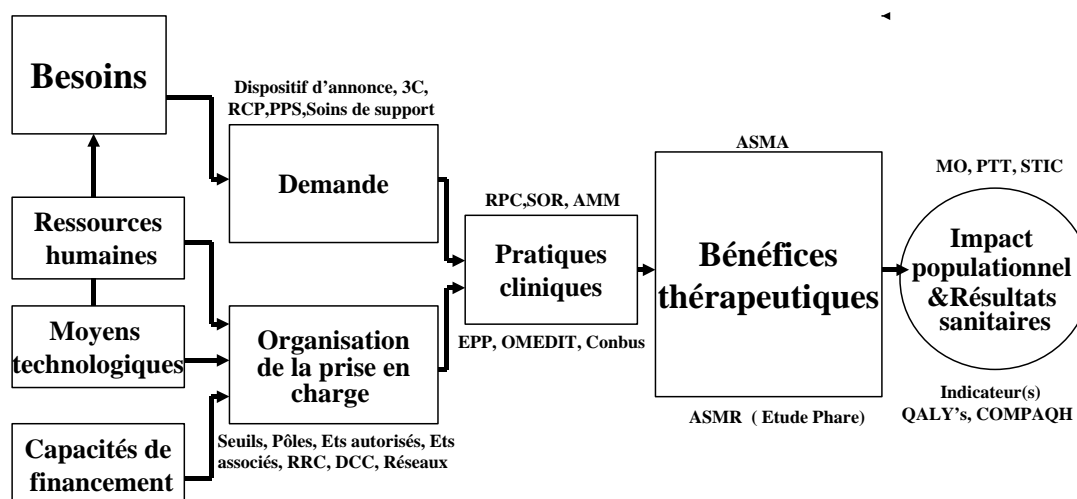
¹ La situation du cancer en France en 2007. Institut National du Cancer. Paris 2008

mobilisés et l'importance des résultats obtenus. Travail titanesque compte tenu du nombre des acteurs et de la multiplicité des textes réglementaires adoptés

Le meilleur moyen de gérer la complexité est de décomposer le plan cancer en sous-ensembles élémentaires par rapport auxquels les différentes actions seront identifiées. Analysons le dispositif sous les trois angles attaques proposées par A Donabedian : structure, processus, résultats. Enrichissons cette classification : Une structure est un lieu où se rencontre une demande et une offre : la demande de soins est fonction des besoins, l'offre est fonction de l'ampleur des moyens matériels, humains et financiers disponibles. Les résultats de santé attendus sont susceptibles d'être décomposés de la même manière selon que l'on se place au niveau individuel ou collectif. Le bénéfice thérapeutique individuel a donc été clairement distingué des résultats sanitaires obtenus au niveau de l'ensemble des populations prises en charge. Ce qui distingue fondamentalement ces deux niveaux ce sont les conditions d'accès à l'innovation thérapeutique.

DEM

Le Plan Cancer : Un engagement fort en faveur de l'innovation



2. DEMANDE ET OFFRE DE SOINS EN CANCEROLOGIE

Un des objectifs majeurs du plan est de répondre au besoin d'humanité et d'écoute dont le patient est très demandeur par la mise en place d'un dispositif d'annonce de la maladie mobilisant médecins et soignants, l'obligation de discuter la stratégie de prise en charge dans le cadre de la réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP), la remise au patient d'un plan personnalisé de soins (PPS) et l'offre d'un soutien psychologique conjointement au traitement dans le cadre des soins de support. Les centres de coordination en cancérologie (3C) sont chargés de veiller à la mise en place de ces actions dans les établissements

Du côté de l'offre une nouvelle organisation en réseaux gradués de prise en charge a été mise en place. La fixation de seuils d'activité minimale par établissement et la définition de critères de fonctionnement sont appelées à jouer un rôle majeur dans ce processus de restructuration de l'offre. Grâce au PMSI, une estimation fine des capacités d'accueil par territoire de recours et de proximité est devenue possible. La graduation des soins a pu être organisée sur la base d'une distinction entre les pôles régionaux disposant de l'ensemble des ressources de recours et responsable de l'organisation de la recherche clinique, les établissements de Santé et les établissements privés bénéficiant d'une autorisation d'activité de soins de « traitements de cancer » (chirurgie, radiothérapie, chimiothérapie, curiethérapie, utilisation thérapeutique des radioéléments) et les structures de soins associés hôpitaux locaux, réseaux territoriaux. Le maillage de l'ensemble est assuré par le réseau régional de cancérologie (RRC) ; Véritable cellule régionale d'évaluation de la qualité, il est chargé d'adapter les référentiels nationaux, de mettre en place le dossier communicant en cancérologie (DCC) et d'analyser les données relatives à l'activité de soins régionale transmises notamment par les 3C et l'OMEDIT.

3. EVALUATION DES PRATIQUES

Les stratégies thérapeutiques dans ce cadre se fondent sur les recommandations de pratique clinique dont l'élaboration est assurée au niveau national par l'INCA en collaboration avec la HAS (ALD), l'AFSSAP (médicament) et la FLNCC (programme SOR). Afin d'évaluer la mise en œuvre de ces recommandations, des référentiels d'évaluation des pratiques professionnelles ont été constitués. Le référentiel définit des objectifs et des exigences de qualité déclinés en critères d'évaluation. Ces critères sont concrets, observables et peu nombreux. L'outil permet d'évaluer les pratiques professionnelles, qu'il s'agisse de pratique libérale ou en établissement de santé, de médecins ou de professionnels paramédicaux. C'est notamment le cas du suivi des molécules innovantes facturé en sus du GHS. Neuf référentiels de bon usage ont été établis ou le seront dans les mois à venir et 22 observatoires des médicaments, des dispositifs médicaux et des innovations thérapeutiques (OMEDIT) ont déjà été mis en place au niveau régional ou interrégional pour en assurer le suivi. Les sanctions prévues par les contrats de bon usage (Conbus) des molécules onéreuses ou des dispositifs médicaux pourront donc être appliquées si les engagements pris ne sont pas respectés.

4. EVALUATION DU BENEFICE THERAPEUTIQUE

En ce qui concerne l'évaluation et la réévaluation du bénéfice thérapeutique des médicaments, des produits et des actes les méthodes sont plus rigoureuses. La preuve de l'efficacité repose essentiellement sur l'expérimentation. Pour les médicaments, des essais randomisés, dits de phase IIIa, visant à démontrer l'efficacité de la nouvelle molécule contre placebo ou traitement de référence, sont conduits dans 100 % des cas pour l'autorisation de mise sur le marché. L'expérimentation aboutit alors à démontrer l'efficacité et la tolérance « maximales », dans les conditions idéales et à optimiser ainsi le bénéfice attendu du traitement dans les indications les plus favorables. Pour l'admission au remboursement, le produit doit prouver, par comparaison à des traitements de référence actifs, soit une amélioration du service médical attendu (ASMA) lorsqu'il s'agit d'un médicament, soit une amélioration du service attendu (ASR) lorsqu'il s'agit d'un produit de santé. Cinq critères président à cette évaluation : la sévérité de la maladie, l'efficacité, la tolérance, la place dans la stratégie thérapeutique et l'intérêt de santé publique. On cherche alors à se placer dans des conditions aussi « naturelles » que possible, telle est l'approche des essais dits de phase IIIb, peu protocolés et reposant sur une approche multicritères. Après mise sur le marché et

fixation du prix, il s'agit de vérifier que les promesses sont bien au rendez-vous, en constatant en pratique médicale quotidienne l'amélioration du service effectivement rendu (ASMR). La distinction entre ces deux stades des procédures de la commission de la transparence correspond bien à la distinction anglo-saxonne entre *efficacy* et *effectiveness*. La première appellation recouvre l'efficacité et la tolérance théorique, mesurées dans les essais IIIa. La seconde désigne la valeur thérapeutique ajoutée en condition normale d'usage par rapport à un traitement actif de référence et relève des essais de phase IIIb dits « naturalistiques » ou des études quasi expérimental avec comparateurs.

5. EVALUATION DE L'IMPACT POPULATIONNEL

Enfin l'Impact populationnel doit être pris en compte. En termeS de bénéfice absolu et au niveau individuel, un traitement peut-être deux fois plus efficace qu'un autre Toutefois lorsque le raisonnement est conduit au niveau de la population toute entière les conclusions du raisonnement s'inversent, bien que le même critère de jugement soit utilisé, du fait du poids respectif des populations cibles éligibles et effectivement rejointes.

Le concept de *qualité de vie* devrait permettre a priori d'évaluer l'état général de la population, encore faudrait-il s'entendre sur son contenu. S'agit-il d'échelles ordinales multidimensionnelles ou d'une valeur cardinale synthétique sur les années de vie ajustée sur la qualité : les fameux « QALY » ? Dans le cas d'un *indicateur multidimensionnel* de qualité de vie, la tentation de dégager un score global pour pouvoir trancher face à des résultats contrastés est grande, mais il est clair qu'un tel score repose sur des procédés statistiques ou des conventions qui ne reflètent pas véritablement les préférences individuelles. Pour aller au-delà de la simple description par le malade de la nature et de l'intensité de ses plaintes, il faut obtenir *un jugement d'ensemble* : Soit du patient lui-même, qui exprimera son jugement global sur l'expérience qu'il vit, à l'aide d'une mesure du type utilité-préférences (échelles visuelles analogiques, temps psychologiquement équivalents ou jeux de hasard idéalisés), Soit d'un public de bien-portants, consommateurs potentiels, qui fixera la désirabilité relative des situations auxquelles il peut un jour être confronté.

La finalité des deux outils est d'ailleurs différente : l'outil multidimensionnel permet au praticien un suivi en temps réel de l'impact du traitement. Si ce produit est une innovation, auquel un prix élevé a été accordé, la prise de conscience des multiples dimensions en fonction desquelles l'état du malade s'améliore justifiera aux yeux des praticiens le coût élevé de leurs prescriptions. On est dans une démarche strictement marketing : prescrire plus pour augmenter la qualité de la vie. La mesure utilité-préférences QALY's révèle quel pourrait être le véritable choix du patient-consommateur, toutes dimensions confondues, prédictive des attitudes du public.

6. CONCLUSION

L'évaluation économique des stratégies thérapeutiques est appelée à connaître un développement considérable et ce quelle que soit l'évolution ultérieure du système de protection sociale, puisqu'elle apporte des éléments chiffrés sur lesquels les différents partenaires du système de santé peuvent fonder leur décision. Ces techniques évaluatives offrent aux professionnels de santé, dans un système de prix administré, les moyens de justifier les tarifs qu'ils demandent, en apportant aux Commissions administrative la preuve de la valeur du service médical rendu. S'il existe une chance de prouver l'inanité du système

de contrôle des prix, elle passe par la démonstration systématique du bien-fondé des demandes des acteurs