

ECONOMIE MEDICALE 2006

Les Événements de l'Année en Médecine
Palais des Congrès – Paris, 13 janvier 2006

Médecine Fondée sur les Preuves et Décision Publique

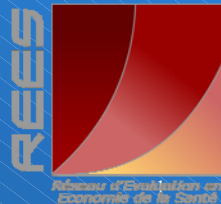
Prof. Robert Launois

28, rue d'Assas

75006 Paris – France

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

E-mail : reesfrance@wanadoo.fr - Web : www.rees-france.com



« La Bonne Santé des Uns Fait La Mauvaise Santé des Autres »

- Les avantages d'une intervention de santé se mesurent en termes de Δ d'efficacité et d'amélioration de qualité de vie
- Ses inconvénients se mesurent en termes de différence de risques et à l'aune de la valeur des actions de santé que l'on aurait pu promouvoir et que l'on a pas pu faire en faisant ce l'on fait... i.e en coûts

Les profils Bénéfice – Risques – Coûts sont au cœur de la notion d'intérêt de Santé Publique

Comment Faire le Bon Choix ?

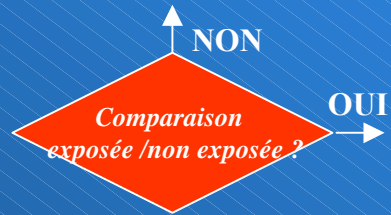
- Une décision sera dite bonne pour la Santé Publique, si la différence entre les avantages et les inconvénients qui en découlent en termes d'état de santé de la population est strictement supérieure à celle qui aurait été observée si la décision n'avait pas été prise

Gains nets de Santé Publique	=	Amélioration de l'état de santé de la population	-	Virtualités de santé sacrifiées du fait des investissements réalisés
------------------------------------	---	--	---	--

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

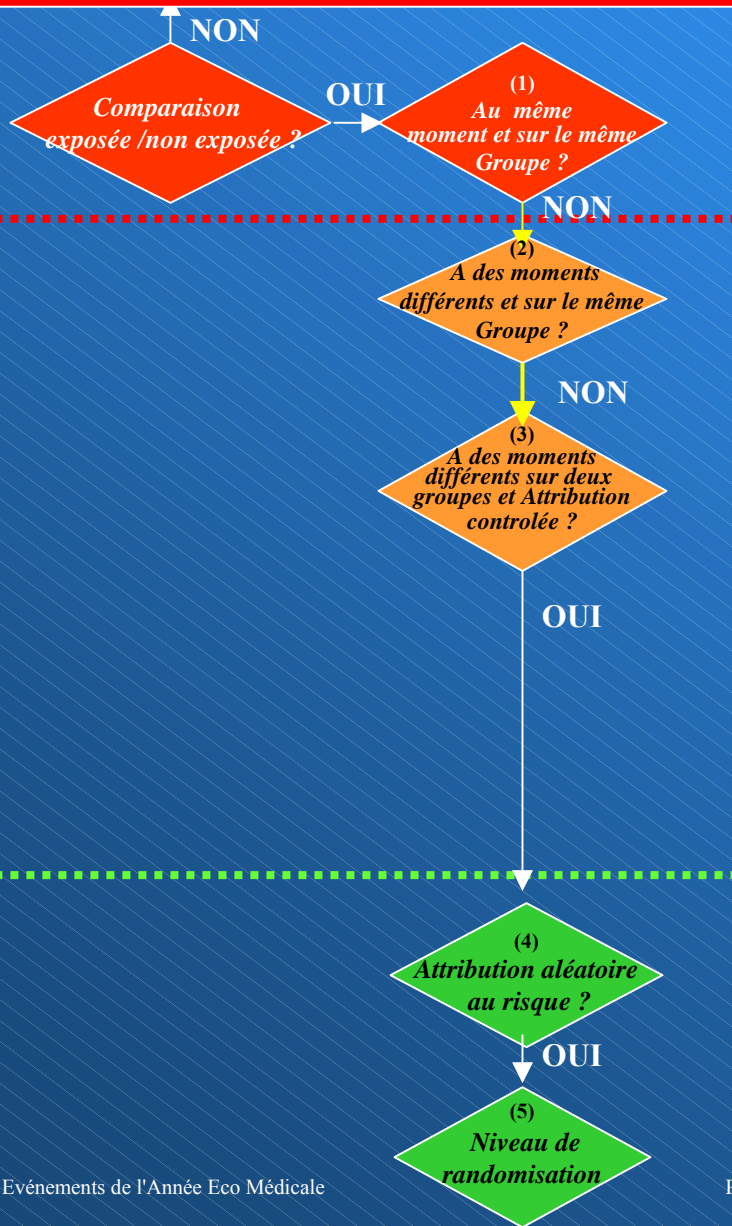
Une Médecine Fondée Sur Des Preuves.. Mais De Quelles Preuves S'agit Il?

Classification des Schémas d'Etude



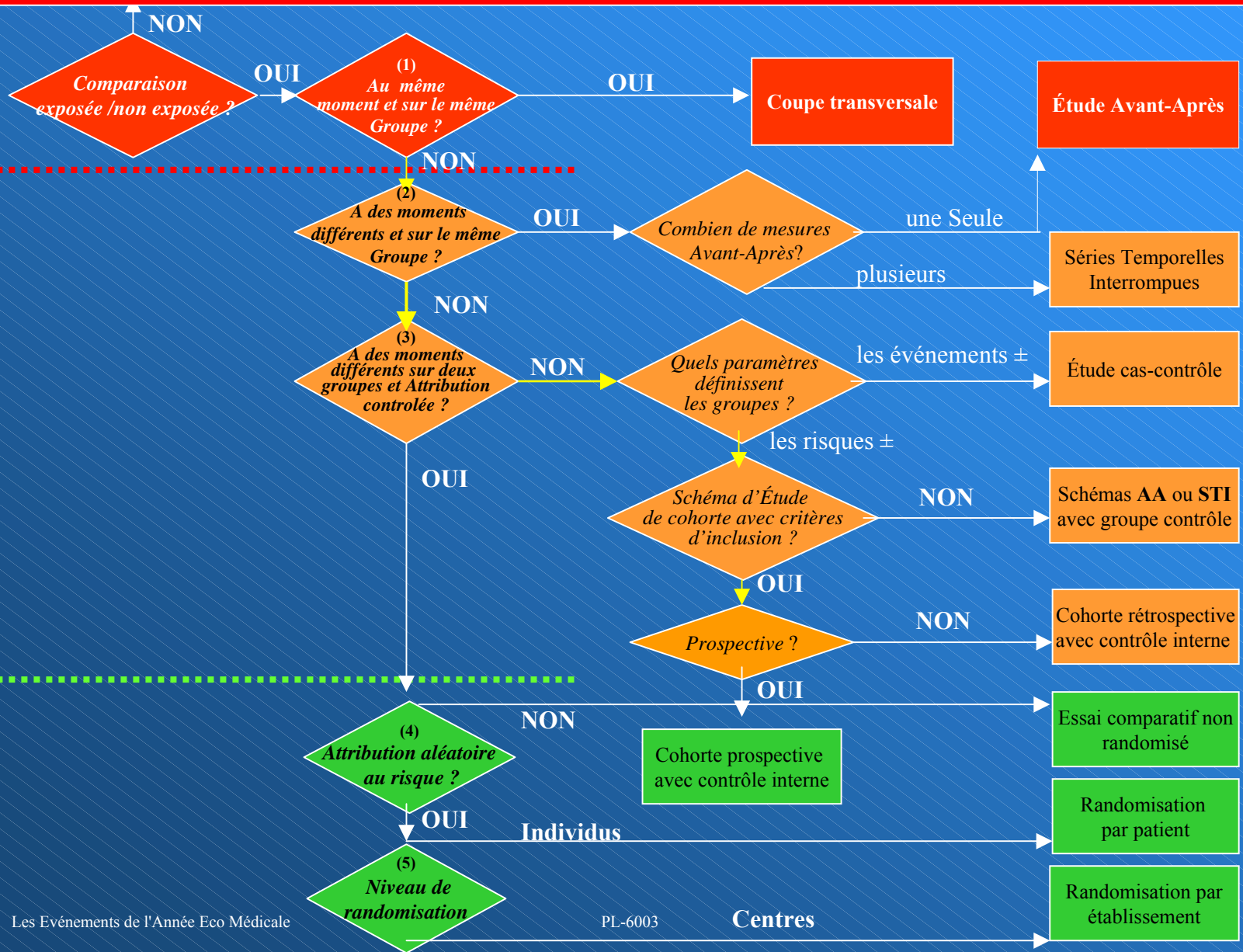
Classification des Schémas d'Etude

Étude descriptive–Étude normative



Classification des Schémas d'Etude

Étude descriptive–Étude normative



L'Etude Idéale

- **Randomisation** → *Populations comparables*
 - Distribution identique des facteurs de risques
 - Pas nécessairement toujours vrai (nouveaux médicaments & nouveaux utilisateurs)
- **Placebo** → *Effets comparables*
 - Neutralisation des facteurs de confusion susceptibles d'affecter les résultats
 - Pas d'effet structure, pas d'effet patient, pas d'effet blouse blanche
- **Double aveugle** → *Même information*
 - Elimine les jugements a priori sur l'efficacité
 - A tous les niveaux : patient, médecin, évaluateur, analyste, etc ...
- **Mais de puissants biais de sélection !**

Les Limites des Essais Randomisés

- Comparaison impossible de toutes les options thérapeutiques
- Vision tronquée du génie évolutif de la maladie
- Négation des réalités épidémiologiques et institutionnelles locales
- Scotomisation d'éléments décisifs pour la prise de décision politique (*Evénements indésirables, QdV, trajectoires et contacts, diversité des modes de prises en charge , toutes informations autres que celles se rapportant à la taille des effets)*

Les Risques de Biais dans les Etudes Observationnelles

Biais de Sélection

Structure des pathologies

Régression vers la moyenne

Effet Hawthorne

Taux d'attrition

Erreur de mesure

Nouvelle technologie

Tendance spontanée

Conditions d'accès

Variation saisonnière



Vieillesse des techniques

Augmentation des PU

Conditions de remboursement

Prestations remboursées

Inférence parasitaire du traitement

Hierarchie des Schémas d'Etude

- Essais cliniques randomisés, Essais comparatifs
- Cohorte prospective et retrospective
- Series temporelles interrompues avec séries comparatives
- Etude Avant-Après avec groupe contrôle
- Series temporelles interrompues sans séries comparatives
- Etude Avant-Après avec groupe contrôle
- Etude Cas- Contrôle
- Coupe transversale
- Etude descriptive non comparative : series d'observations, and normative study

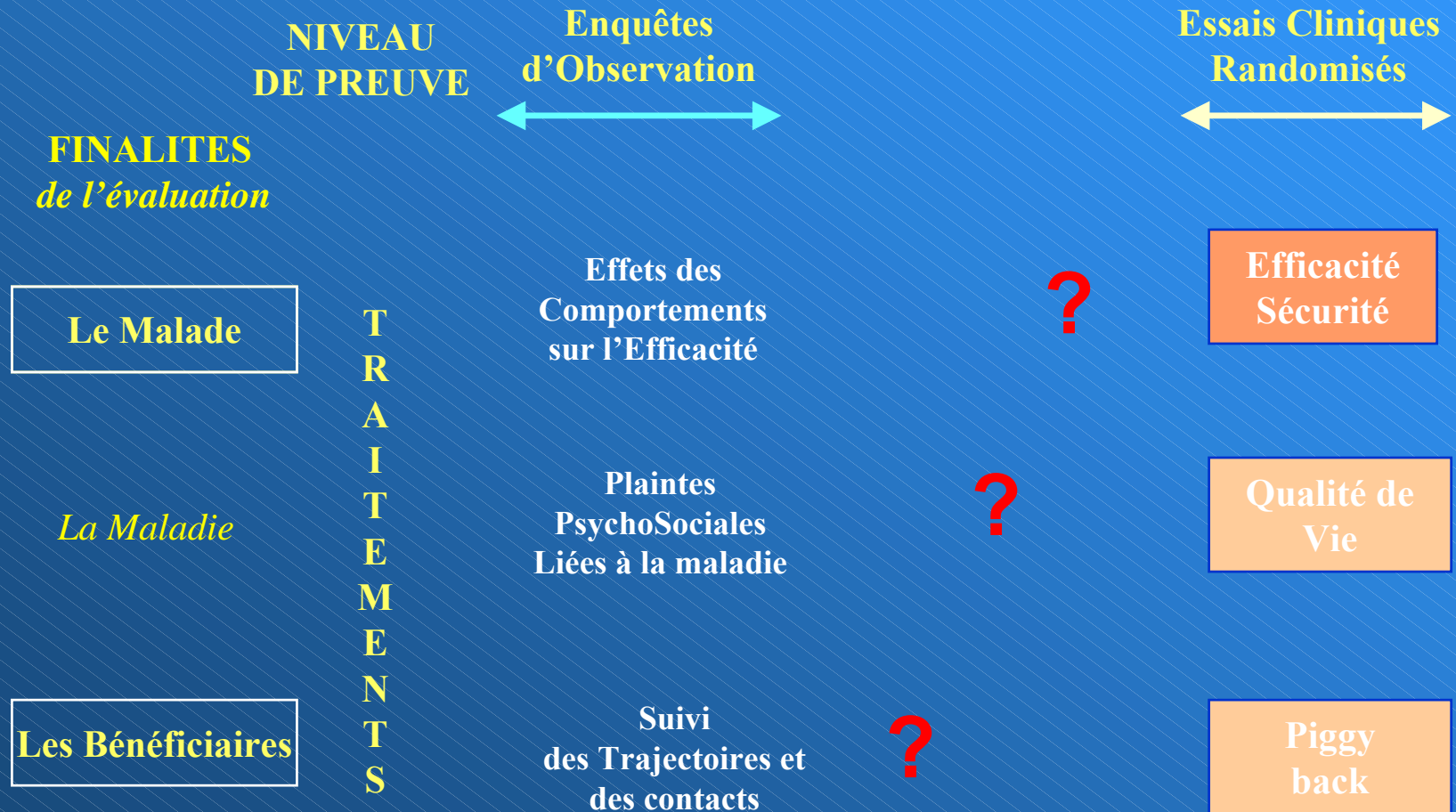
**Forte
adéquation**

**Adéquation
modérée**

**Adéquation
faible**

**Absence
de preuve**

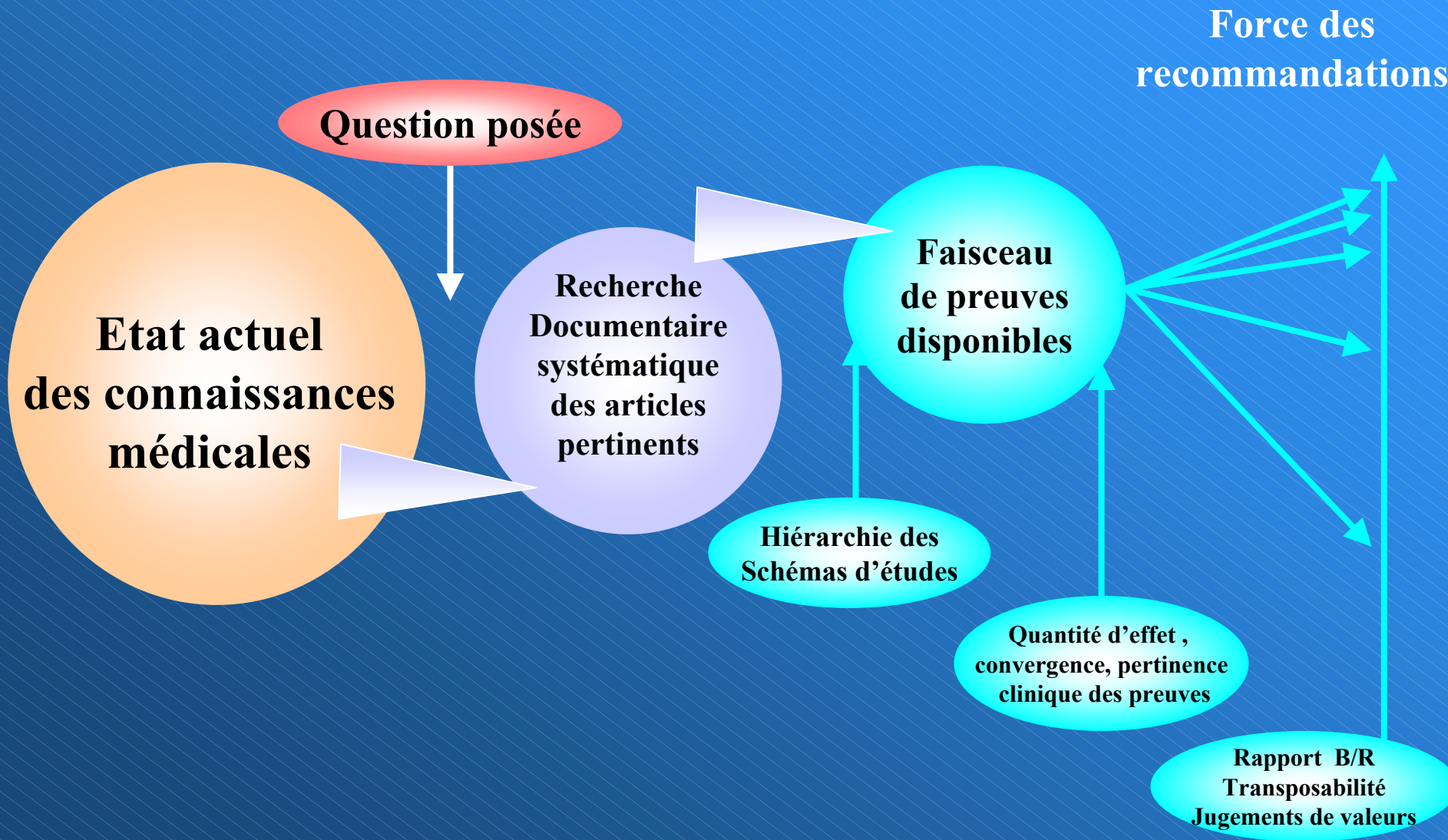
Comment Comblent l'Écart Entre la Vie et l'Expérimentation ?



L'Analyse Bayésienne : un Nouvel Outil de Synthèse

- L'analyse Bayésienne ne pose pas la question « quel est l'effet de A par rapport à B » mais « comment votre opinion vis-à-vis de A par rapport à B a changé suite à la publication des résultats de l'étude »
- L'analyste doit définir une distribution de probabilité a priori qui ne tient pas compte des résultats de l'étude, intégrer la vraisemblance des valeurs de résultats possibles qui découlent de l'essai et combiner les 2 sources pour produire une synthèse globale
- L'approche Bayésienne introduit donc explicitement des données probantes extérieures à l'essai dans l'interprétation de ses résultats. Elle permet d'intégrer l'ensemble des données disponibles : avis d'expert, jugement de valeur et données observationnelles.

Les Lois De La Preuve Médicale



Pourquoi S'Intéresser aux Coûts ?

La Question Économique :

**Où Faut-il Placer Son Argent Pour
Mieux Prendre En Charge La
Maladie ?**

**Traitement Conventionnel ou Traitement
innovant ?**

Réponse :

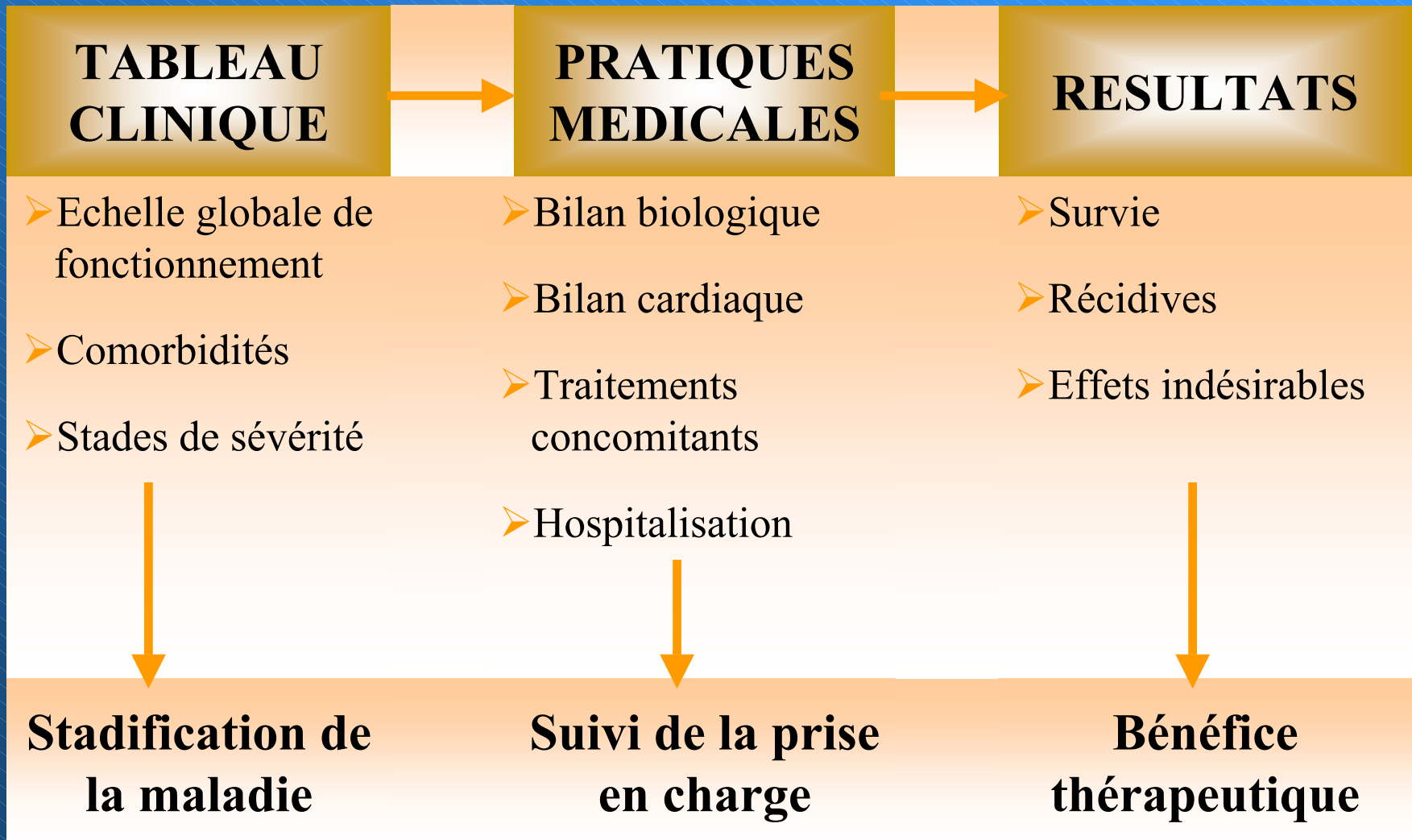
**Privilégier la Mise en Œuvre
du Traitement qui Offre
les Meilleurs Bénéfices Thérapeutiques,
Humains et Financiers
par Unité Monétaire Investie**

L'Analyse Médico-Économique est une Discipline Subsidaire d'Aval de la Prise en Charge Médicale

L'évaluation économique est à la science, ce qu'est
l'art dentaire par rapport à la médecine

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

Les Données Cliniques sont des Données Individuelles et Aléatoires



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

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

Comment Organiser la Transversalité?

EXPERTISE MEDICALE

☐ *Population cible et enjeux de santé publique : « SMR »*

- ✓ *Sévérité de la maladie*
- ✓ *Efficacité*
- ✓ *Sécurité*
- ✓ *Place dans la stratégie thérapeutique*
- ✓ *Intérêt de santé publique*
- ✓ *QdV/ Impact sur l'organisation des soins*

☐ *Quantité d'effet de l'innovation: « ASMR »*

- ✓ *5 niveaux*

POUVOIRS ADMINISTRATIFS

☐ *Impact budgétaire: CEPS*

- ✓ *ASMR*
- ✓ *Prix Européens,*
- ✓ *Population cible*
- ✓ *Parts de marché,*
- ✓ *Accords prix volume*

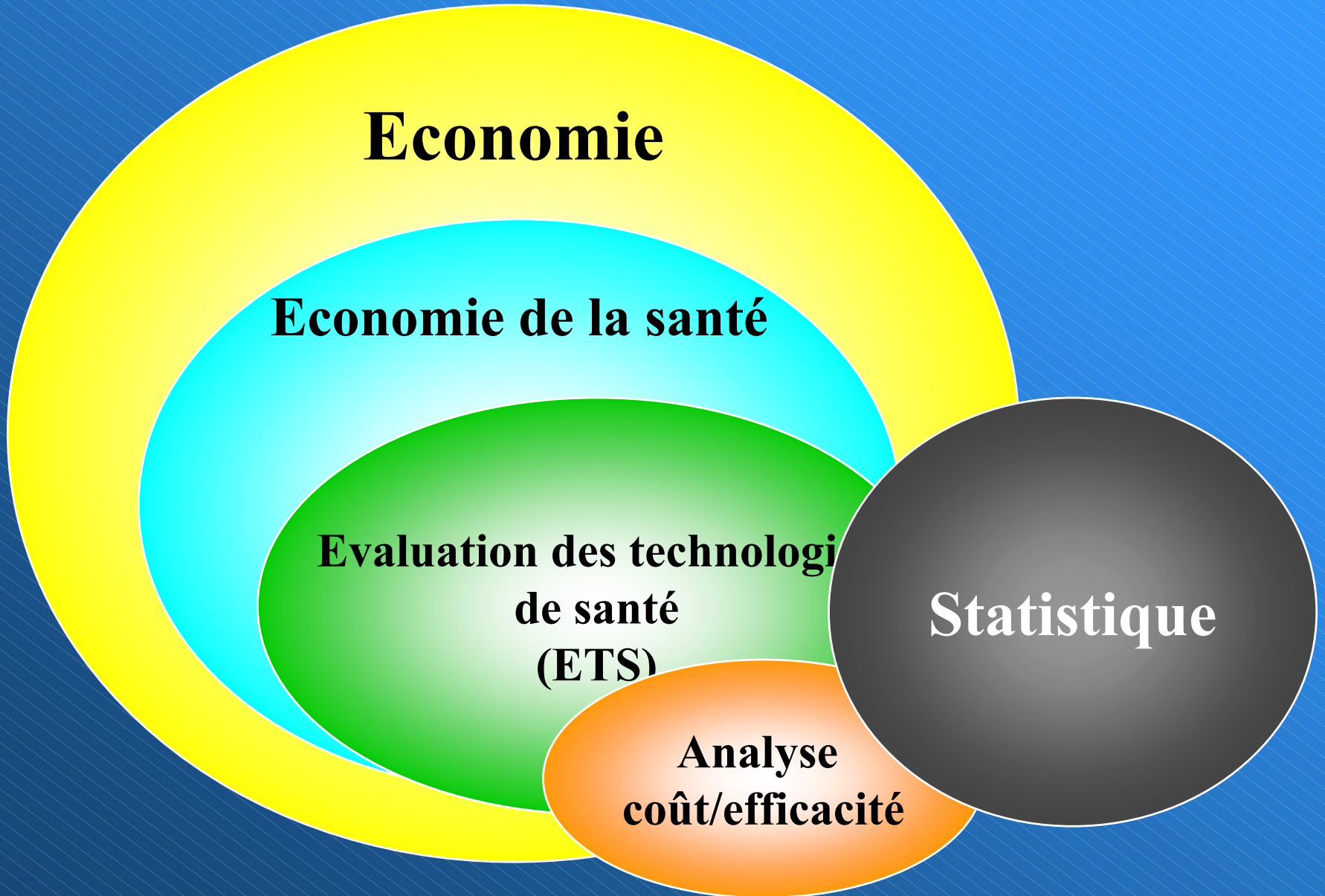
☐ *Rigidités réglementaires; Domaines de compétence fixés par décrets:*

- ✓ *Prix fixés par le CEPS*
- ✓ *Admission au remboursement Ministre*
- ✓ *Taux de remboursement UNCAM-UNOCAM*

☐ *Réaction des cercles d'influence*

- ✓ *Cabinets Ministériels*
- ✓ *Assemblées Parlementaires*
- ✓ *Lobbies - Médias*

Un Lien entre Science & Décision : L'ETS



Vers une Vision Intégrée de l'Interêt Général?

EXPERTISE MEDICALE

□ Population cible et enjeux de santé publique : « SMR »

- ✓ Sévérité de la maladie
- ✓ Efficacité
- ✓ Sécurité
- ✓ Place dans la stratégie thérapeutique
- ✓ Intérêt de santé publique
- QdV/ Impact sur l'organisation des soins

□ Quantité d'effet de l'innovation: « ASMR »

- ✓ 5 niveaux

EXPERTISE ETS

Approche systémique

Optimisation de la répartition des moyens entre les spécialités et les traitements



Quels retours sur investissement (ROI) en termes clinique, humain et financier?



Classement des projets en fonction de leur ROI relatif



Acceptabilité pour les Parties prenantes

POUVOIRS ADMINISTRATIFS

□ Impact budgétaire: CEPS

- ✓ ASMR
- ✓ Prix Européens,
- ✓ Population cible
- ✓ Parts de marché,
- ✓ Accords prix volume

□ Rigidités réglementaires; Domaines de compétence fixés par décrets:

- ✓ Prix fixés par le CEPS
- ✓ Admission au remboursement Ministre
- ✓ Taux de remboursement UNCAM-UNOCAM

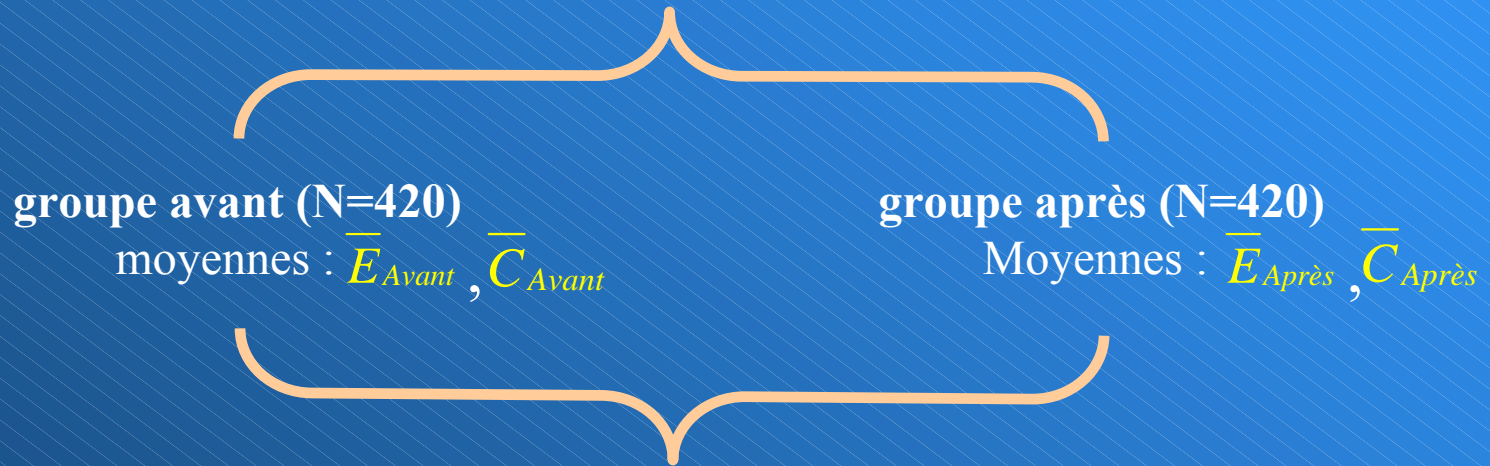
□ Réaction des cercles d'influence

- ✓ Cabinets Ministériels
- ✓ Assemblées Parlementaires
- ✓ Lobbies - Médias

Quel Montant Doit-on Investir Pour Obtenir le Résultat Attendu ?

Le Rapport Investissement additionnel/Quantité d'Effets Induits:

Deux populations indépendantes appariées
par la méthode du score de propension



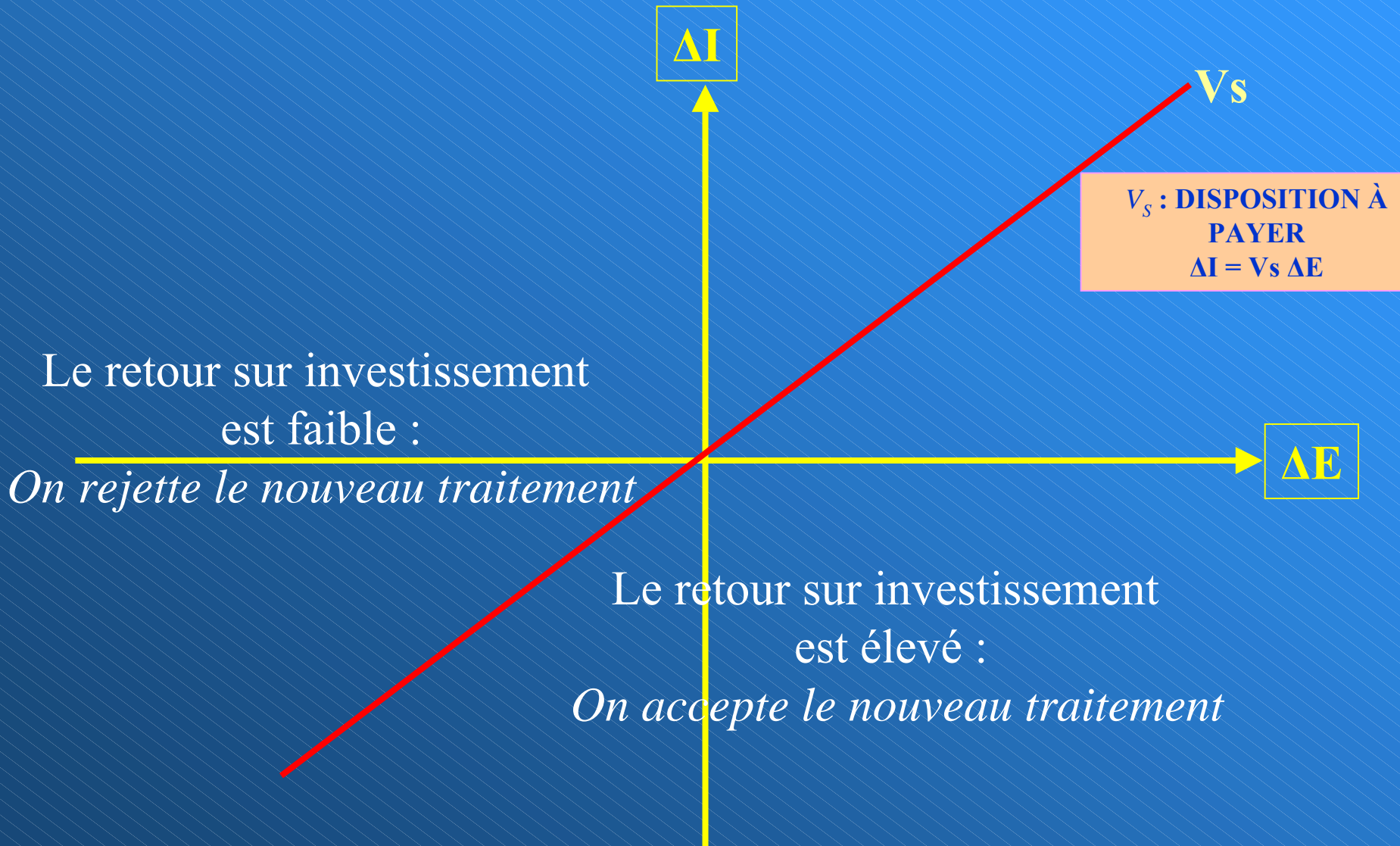
Ratio coût efficacité différentiel

$$R = \frac{\Delta C}{\Delta E} = \frac{\bar{C}_{Après} - \bar{C}_{Avant}}{\bar{E}_{Après} - \bar{E}_{Avant}}$$

Règles de Décision sur la Base du Retour sur Investissement

- Lorsque le ratio n'est pas situé dans le quadrant des stratégies dominantes ou dominées, la prise de décision sur la base du rapport coût/efficacité est impossible.
- 1^{ère} solution : l'acheteur formule un jugement de valeur en arrêtant un prix par unité d'efficacité supplémentaire
 - \$50,000 per QALY utilisé par les guidelines Internationales
- 2^{ème} solution : comparaison avec les valeurs retenues pour les innovations déjà mises sur le marché.

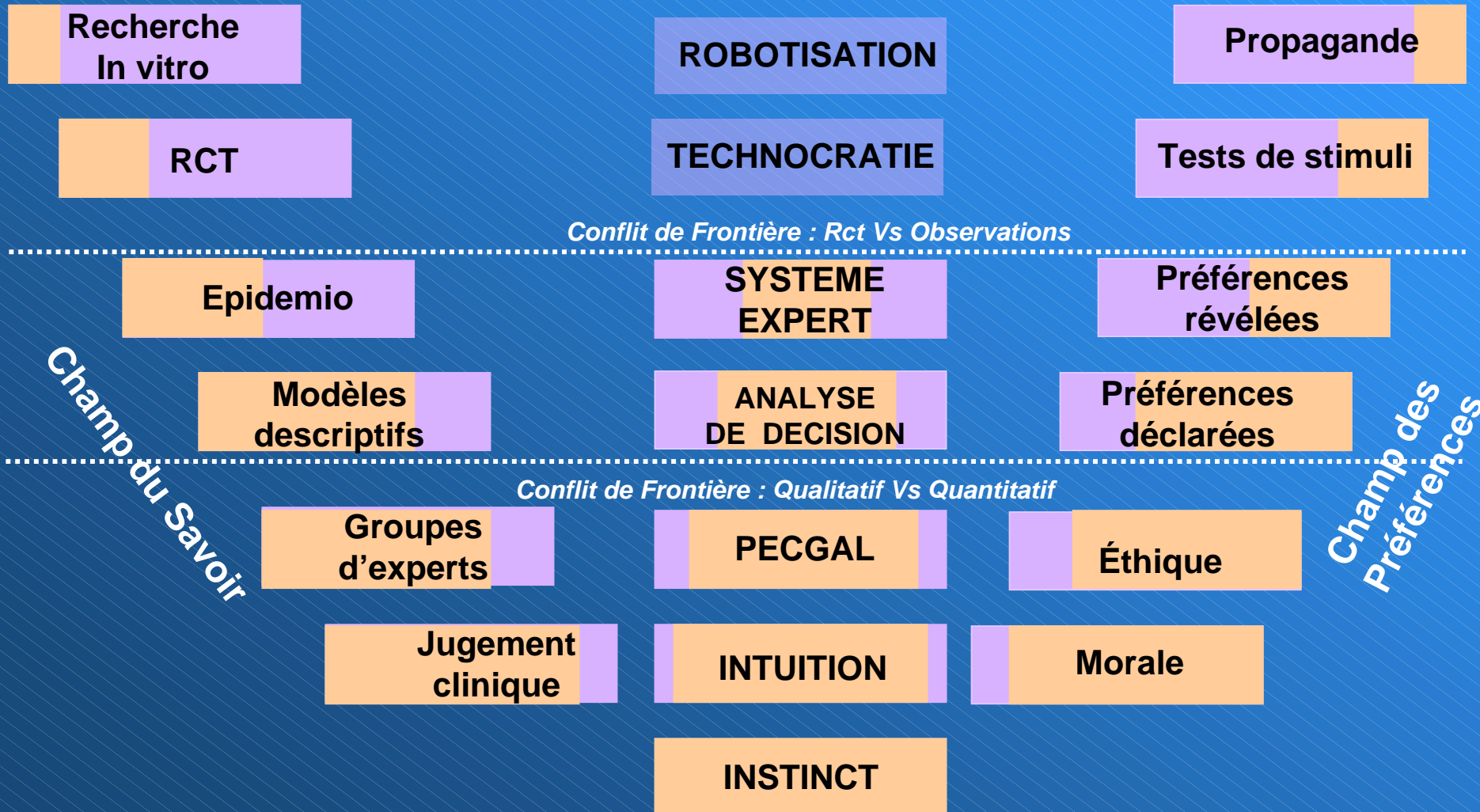
Les Limites de La Solidarité



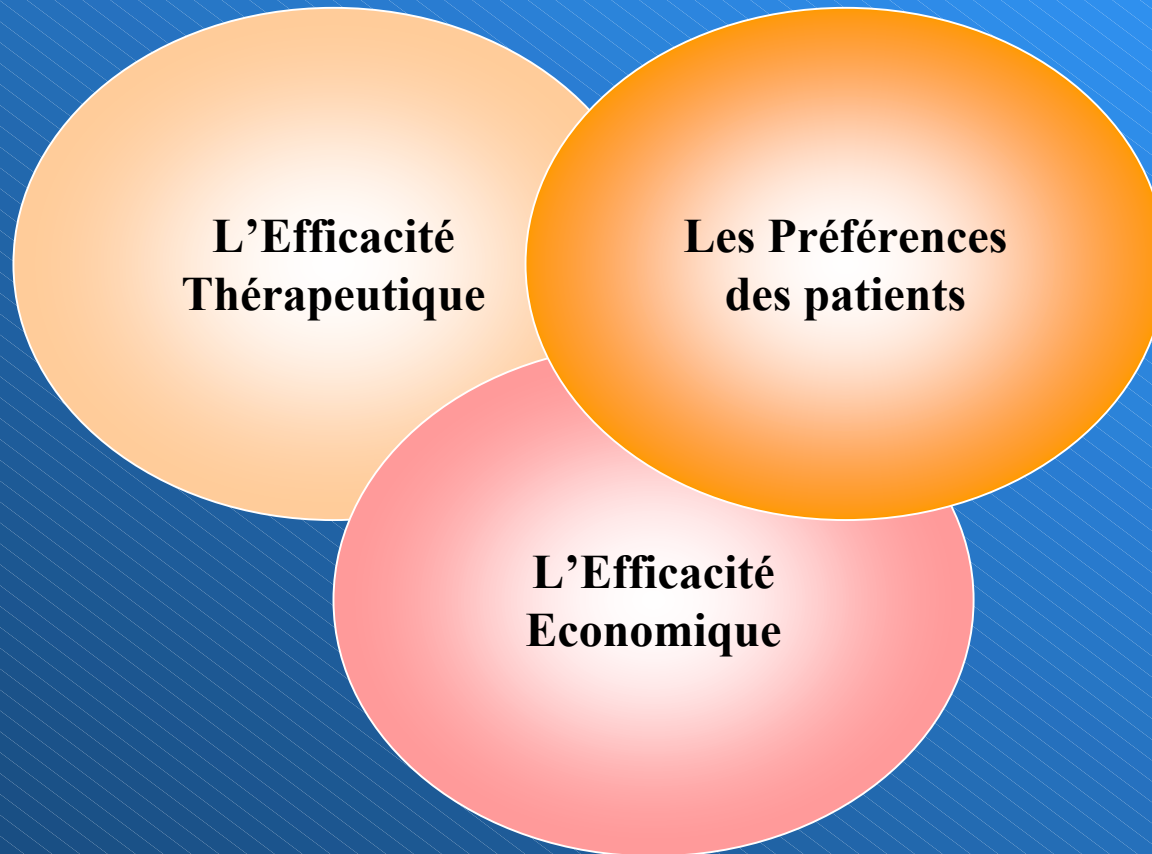
Comment Eclairer La Prise de Décision Politique ?

Technologies du Savoir, de la Révélation des Préférences et de la Prise de Décision

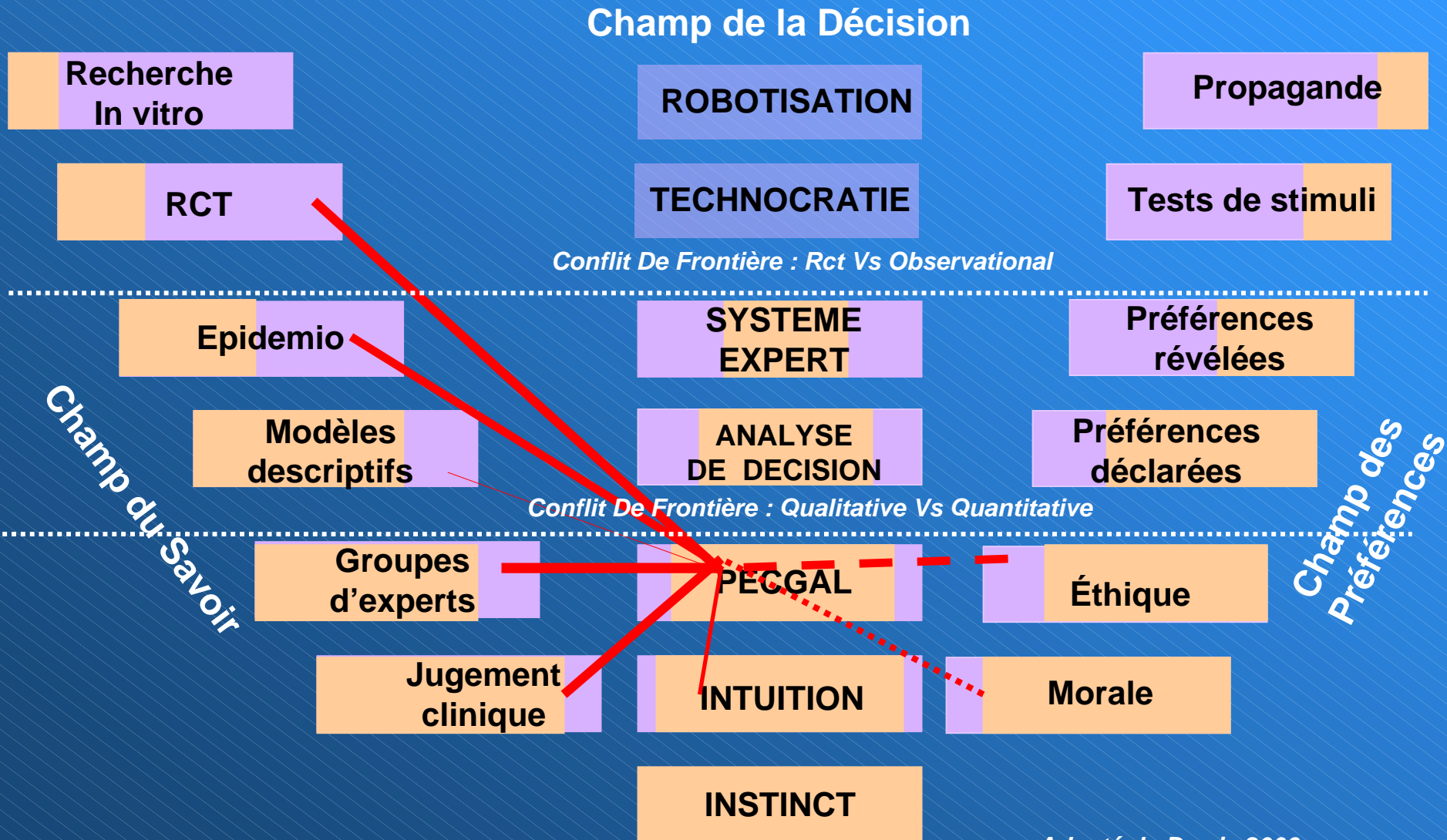
Champ de la Prise de Décision



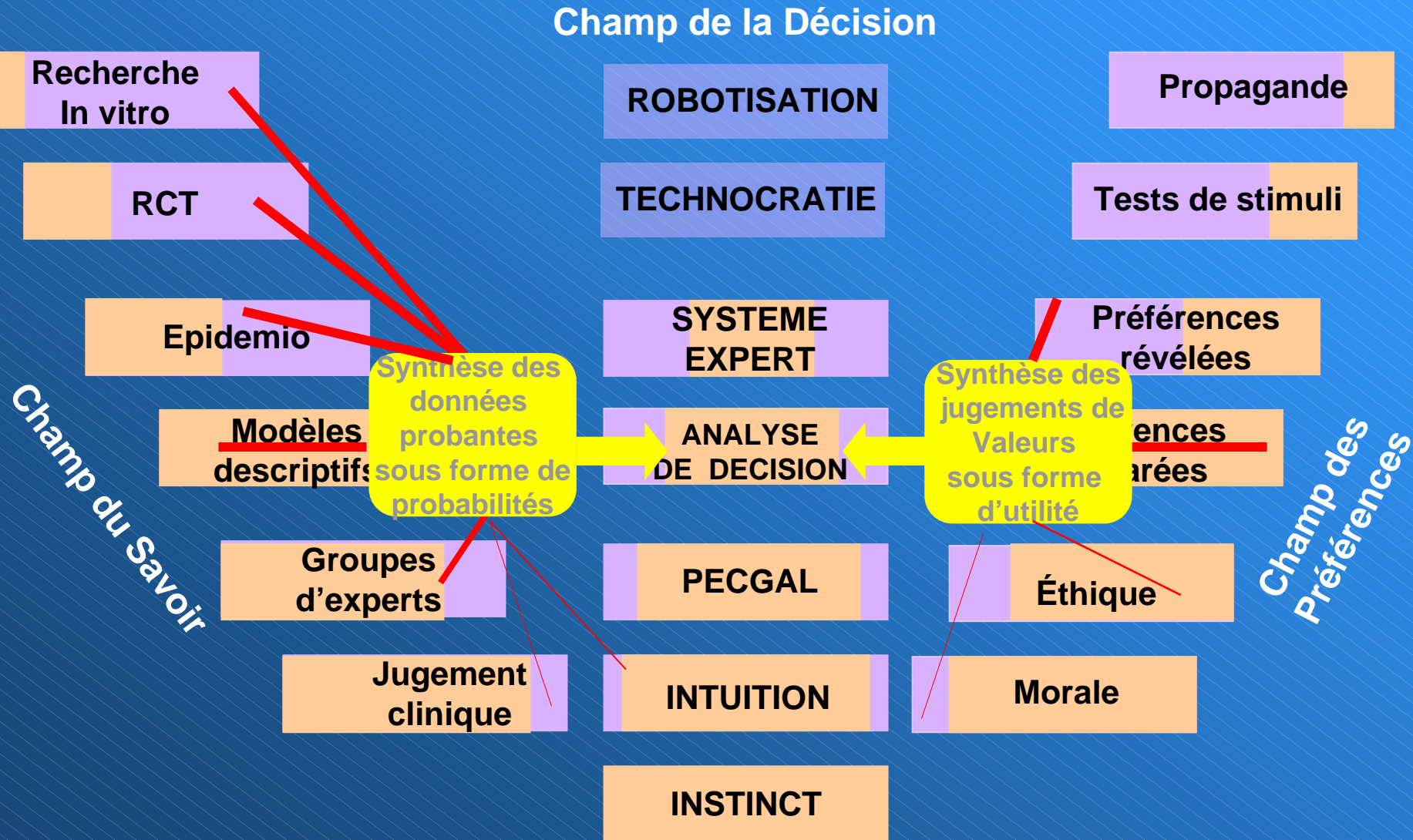
Un Impératif : Rassembler Tous les Eléments qui Participent à la Prise de Décision



Prendre en Compte et Garder à l'Esprit « PECGAL » : Une Synthèse Purement Intuitive



L'Analyse Décisionnelle: Un Outil de Synthèse Quantitatif et Explicite



A Utiliser en Première Intention ...

Pour :

- **Structurer** l'information dans un **cadre de référence unique**
- **Considérer simultanément** les bénéfices, les risques et les coûts
- **Estimer quantitativement**, non plus de manière intuitive, mais la fréquence de survenue des événements évolutifs
- **Reconstituer les trajectoires** de prise en charge et de chaîner les coûts

... Pour Colliger les Preuves et Estimer l'Efficiace Attendue et Rendue

- **Synthétiser** des critères de jugement cliniques hétérogènes à l'aide d'un **indicateur de résultats composite de morbi-mortalité**
- **Réintroduire les préférences** des patients ou des citoyens dans les choix individuels et collectifs
- **Extrapoler** les résultats à d'autres populations ou à d'autres pratiques
- Isoler les variables-clés et **caracteriser l'incertitude qui les entourent**

Une Nécessité : *Prendre Acte de L'Incertitude* *Qui Préside aux Règles du Jeu*

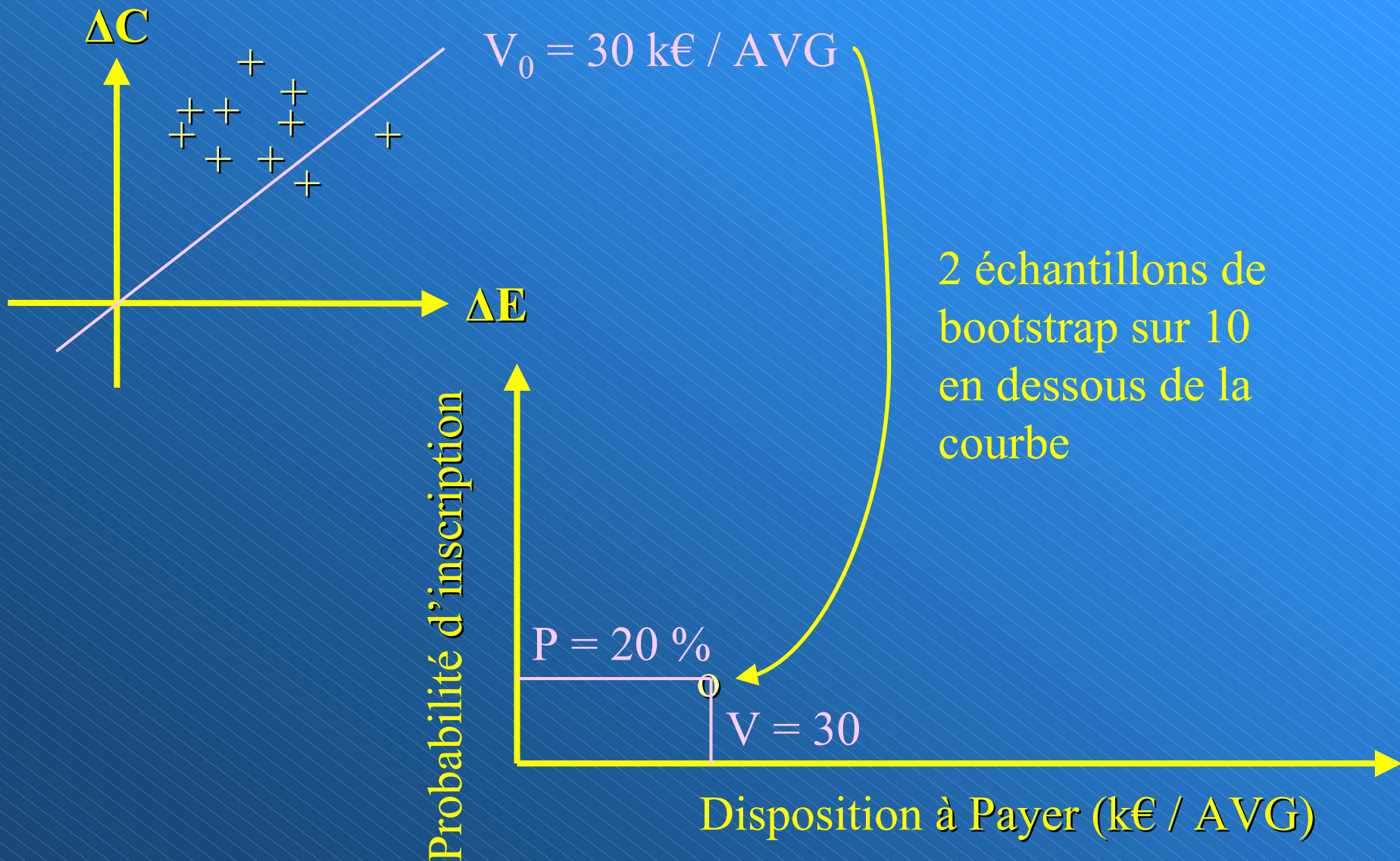
- La valeur (V_s) accordée par la Société à une quantité d'effet supplémentaire est une **donnée socio-politique** sur laquelle l'évaluateur n'a pas à se prononcer
- Les résultats doivent être analysés à la lumière des différentes **dispositions à payer possibles** de l'acheteur en construisant une courbe d'acceptabilité du traitement par la tutelle
- Cette courbe donne la probabilité que le traitement soit considéré comme **efficace** par les autorités pour toutes les valeurs possibles de V_s ,
- **Procédure d'estimation** : Générer par bootstrap B couples $(\Delta E, \Delta I)$ - Calculer la proportion de points sous la droite pour toute les valeurs de V

Une Solution: le Bootstrap

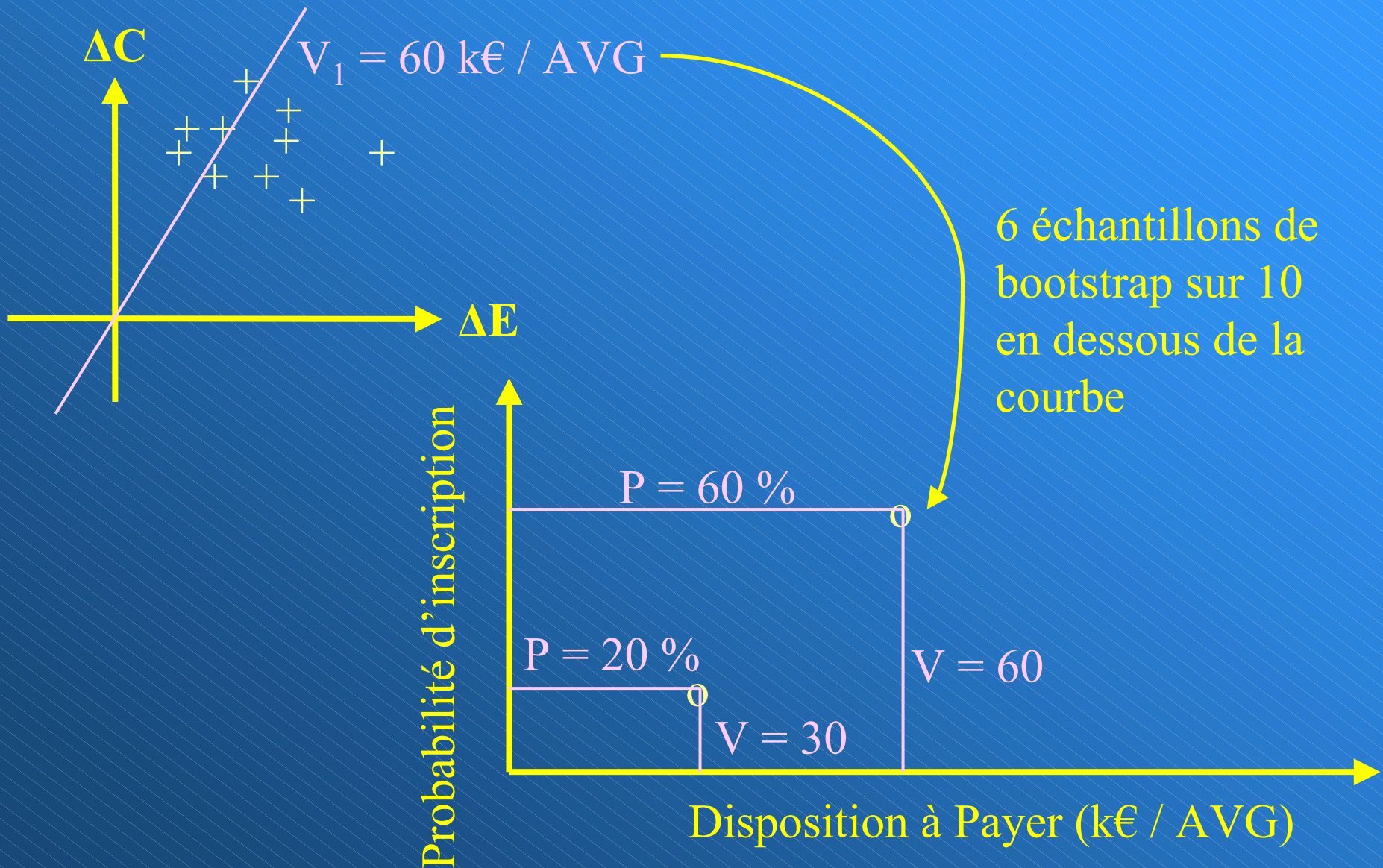
la technique est opérationnalisée en quatre étapes:

1. Tirez aléatoirement avec remise n_j individus appartenant au groupe contrôle et calculez le coût moyen et l'efficacité moyenne pour cet échantillon
2. Tirez aléatoirement avec remise n_k individus appartenant au groupe ttx innovant et calculez le coût moyen et l'efficacité moyenne correspondantes
3. Calculez par différence le ratio coût efficacité différentiel entre les deux échantillons bootstrapés
4. Répétez l'opération B fois pour obtenir une estimation de la distribution du RCED dans le plan ACE

Admissibilité au Remboursement par les Autorités de Tutelle *en fonction de l'effort financier qu'elles acceptent de déployer*

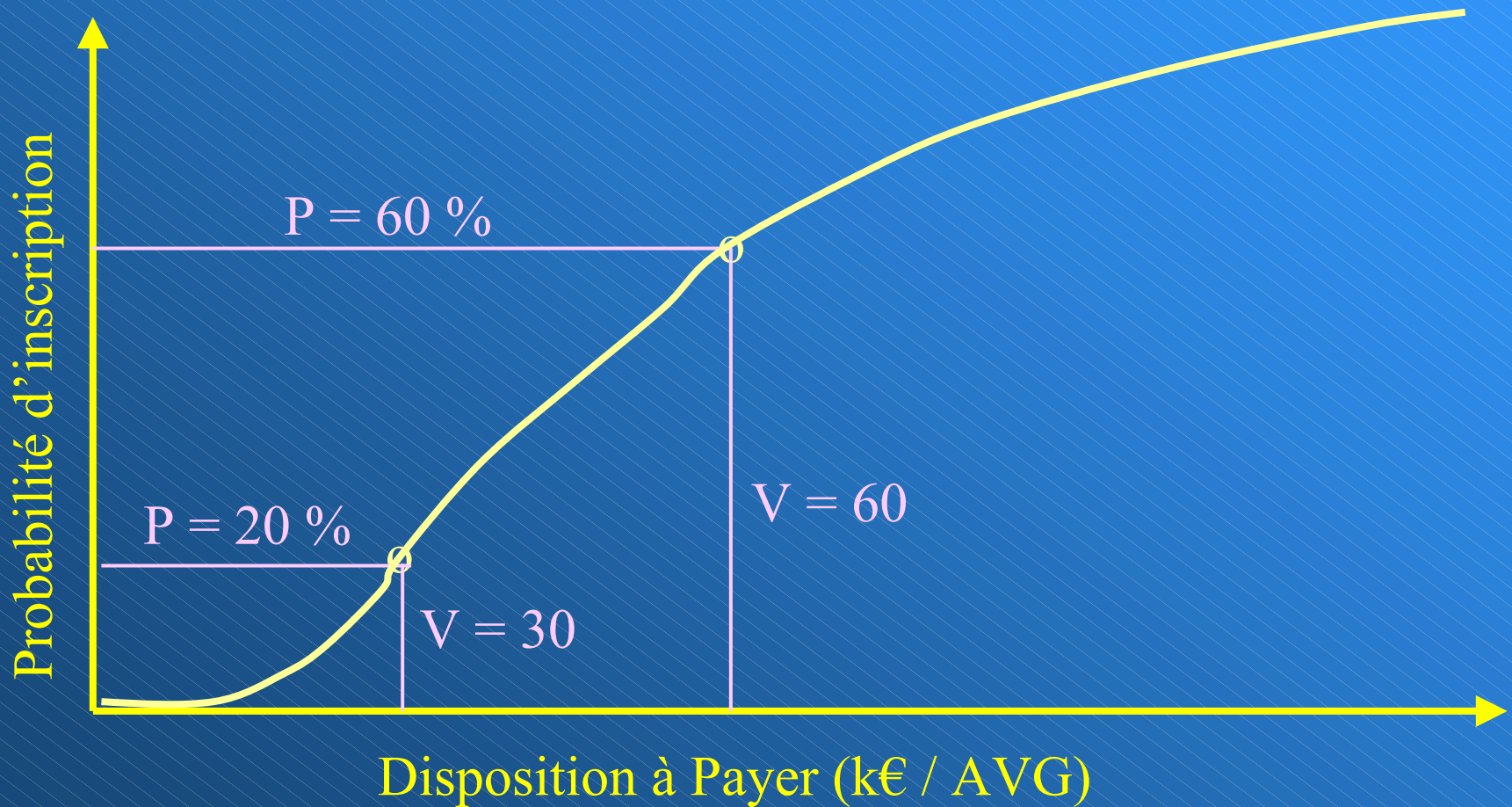


Admissibilité au Remboursement par les Autorités de Tutelle en fonction de l'effort financier qu'elles acceptent de déployer



La Courbe d'Admissibilité au Remboursement par les Autorités de Tutelle : « *CARAT* »

Un Outil de cohérence pour les Pouvoirs Publics



Conclusions

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

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