

Critères d'évaluation médico-économique

Stéphane BILLON – Université Paris-Dauphine

5ème Université d'été Recherche et Evaluation en Cancérologie
du 22 au 25 septembre 2010

La recherche en économie de la santé : un axe mal connu

Q Fondements de l'analyse médico-économique

Q Exemple : application à une stratégie de traitement adjuvant du cancer du sein

La recherche en économie de la santé : un axe mal connu

- Q Les objets de l'analyse économique comprennent d'une part **les coûts** et d'autre part les conséquences de **la mise en œuvre des programmes médicaux**.
- Q Les coûts considérés sont des **coûts d'opportunité**, qui représentent l'ensemble des ressources consommées par un programme médical et qui, du fait de leur immobilisation, ne sont plus disponibles pour une autre utilisation
- Q « Le coût d'opportunité d'une ressource correspond à ce qu'elle rapporterait dans l'utilisation la plus rémunératrice parmi toutes les stratégies réalisables ». *(Bremond)*

La finalité des études de radi co-économie est
d'aider le décideur à faire des choix

Les études médico-économiques : pour quoi faire ?

- ❑ Les études dites de médico-économie (ou d'évaluation économique des stratégies thérapeutiques) sont un complément utile des études d'évaluation proprement médicale.
- ❑ En ajoutant la prise en considération des **coûts** et des **bénéfices des stratégies thérapeutiques**, l'approche médico-économique entend participer à **l'amélioration de l'allocation des ressources** dans le domaine de la santé.
- ❑ L'établissement de ratios coût-efficacité ou coût-utilité de différents types d'interventions dans le domaine médical, peut en effet contribuer à cet objectif à différents niveaux de contrainte budgétaire.

Les études médico-économiques : pour quel rôle ?

Q Processus décisionnels sollicitant ces études sont très divers :

§ Choix de stratégies de recherche ou de positionnement des produits pour l'industriel,

§ Choix des médicaments les plus efficaces pour le prescripteur,

§ Choix qui pourraient être opérés pour la fixation du prix et le remboursement des produits,

§ etc...

Q Perspective d'aide à la décision **multifactorielle**

Les études dans le processus décisionnel : point de vue /perspective

- q Toute évaluation économique des programmes de Santé suppose que l'on précise le **point de vue** adopté et l'objectif poursuivi.
 - § Les organismes payeurs (Assurance Maladie, hôpitaux...),
 - § Les professionnels de santé (prescripteurs hospitaliers ou libéraux),
 - § Les producteurs de biens de santé,
 - § Les patients
 - § La société toute entière
- q Il n'y a pas de règle générale pour choisir une perspective de travail, cela dépend de l'objectif de l'étude
- q Dans la mesure où l'étude s'adresse à un décideur bien identifié, la perspective retenue doit être la sienne
- q Quelle que soit la perspective retenue, il convient de la justifier

Etudes d'environnement

Q Approches complémentaires:

§ Le coût de la maladie et la prévision budgétaire

Q Etudes de type coût de la maladie: en amont de l'évaluation économique

§ Eléments descriptifs généraux sur la pathologie concernée par le traitement étudié. (épidémiologie descriptive)

- Incidence / Prévalence,
- Histoire naturelle
- Conséquences en termes de morbidité
- Handicap et mortalité
- Modes de prise en charge usuelle dans le système de santé
- Coûts associés (directs et indirects).

Q L'analyse du retentissement peut inclure des études de qualité de vie

Population-cible

Q La population-cible est :

§ Dans un sens restrictif: la population susceptible de bénéficier du programme de Santé dans le cadre des indications

§ Dans un sens plus extensif, la population potentiellement bénéficiaire du traitement.

§ La population rejointe est la population qui reçoit le traitement en pratique médicale courante (Celle-ci peut être plus ou moins éloignée de la population-cible)

Alternatives de traitement et choix du comparateur

- Q Une évaluation économique étant comparative, il convient que le comparateur constitue une alternative vraisemblable à l'usage du programme évalué
 - § Produit ayant la même indication thérapeutique,
 - § Technologie substitutive (chirurgie, par exemple)
 - § « ne rien faire » quand il n'existe aucune alternative

- Q Le meilleur comparateur est celui qui caractérise la pratique courante à laquelle le programme évalué est susceptible de se substituer

Types d'études

On distingue classiquement 4 types d'études d'évaluation pharmaco-économique :

1. L'étude de minimisation des coûts,
2. L'étude coût-efficacité
3. L'étude coût-utilité
4. L'étude coût-bénéfice

- Chacune de ces méthodes d'analyse possède son champ d'application et ses limites propres.
- Le type d'étude choisi doit être clairement énoncé et justifié en fonction du problème posé et doit être précisé en tête de l'étude.
- Il est de surcroît souhaitable que l'auteur donne sa définition du type d'étude qu'il a retenu.

Types d'études

q Les méthodes d'évaluation diffèrent les unes des autres par:

§ Leurs objectifs spécifiques

§ Leur contexte de mise en œuvre

§ Les indicateurs économiques et médicaux qu'elles utilisent, notamment. l'expression des résultats

- En termes monétaires, on parle alors de « bénéfices »
- Ou en unités physiques

q Choisir la méthode d'évaluation la mieux adaptée au problème posé suppose une connaissance préalable:

§ Du but de la démarche d'évaluation

§ De l'environnement dans lequel elle s'inscrit

§ Des données dont on dispose pour la réaliser

Les études de minimisation des coûts

- q Les études de minimisation des coûts sont utilisées dans les cas où les stratégies comparées diffèrent uniquement par les coûts qu'elles mettent en œuvre
- q Lorsque deux stratégies ont la même efficacité thérapeutique, les mêmes conséquences (médicales et sociales pour le patient), mais des coûts différents, on recherche la stratégie la moins chère

Les études coût-efficacité

- q Les études coût-efficacité sont utilisées quand on cherche à déterminer la stratégie qui dégagera une efficacité maximale pour un coût donné ou inversement, lorsque l'on cherche à atteindre un objectif médical donné, au moindre coût
- q Elles permettent également d'apporter une information au décideur sur le supplément d'efficacité obtenu au travers d'un supplément de coût

Ceci implique nécessairement que toute analyse coût-efficacité comporte une stratégie de référence, par rapport à laquelle seront évaluées toutes les autres stratégies.

Les études coût-utilité

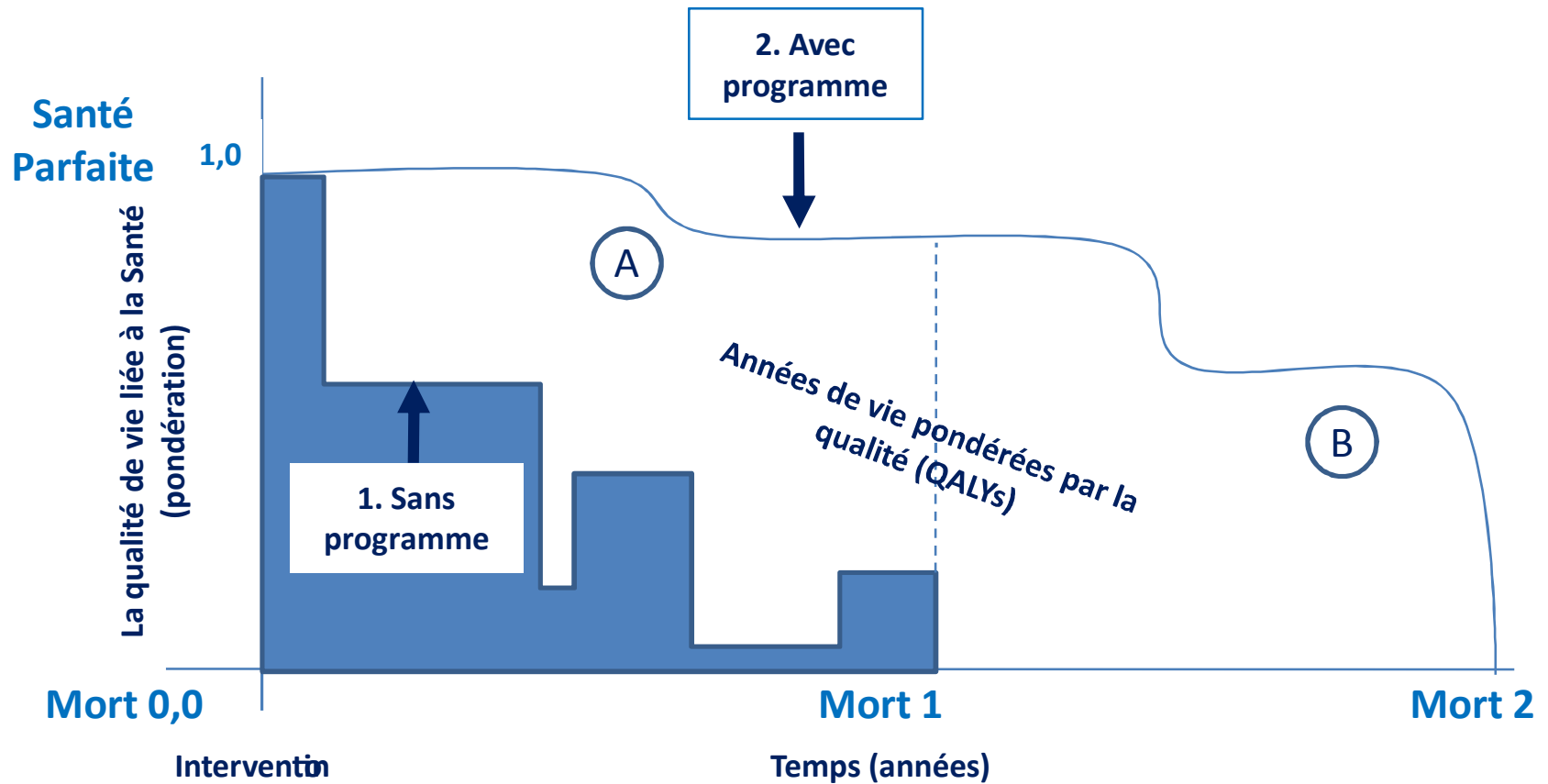
- q Les études coût-utilité constituent un cas particulier des études du type coût-efficacité concernant le résultat obtenu
- q Cette analyse nécessite de connaître les préférences des patients

L'analyse coût-utilité est particulièrement indiquée lorsque les impacts sur la survie et/ou la qualité de vie sont des critères importants pour juger des résultats des effets d'un médicament.

Les études coût-utilité

Comment mesurer la relation entre les coûts et l'utilité ?

Q Les QALY: ("Quality Adjusted Life Year " année de vie ajustée sur la qualité)



Les études coût-bénéfice

- q Les études coût-bénéfice ont pour but de déterminer si une nouvelle stratégie thérapeutique engendre un bénéfice net pour la société
- q L'analyse coût-bénéfice se distingue donc de l'analyse coût-efficacité en ce qu'elle implique que tous les coûts et toutes les conséquences de la stratégie évaluée soient exprimés en termes monétaires

Cependant, la valorisation monétaire des résultats de santé pose de nombreux problèmes, surtout s'agissant des effets non marchands

Définitions et mesure des coûts

q Trois types de coûts :

- § Coûts directs
- § Coûts indirects
- § Coûts intangibles

q On considère les coûts évités grâce au traitement comme une expression partielle des bénéfices

Définitions et mesure des coûts

Les coûts directs :

- § Ces coûts correspondent à la valeur de l'ensemble des ressources consommées, liées à la prise en charge de la pathologie (*il s'agit de bénéfices si certains de ces coûts sont évités grâce à un traitement*)
- § **Les coûts directs médicaux**, qui recouvrent différents aspects tels que la consommation radiologique, l'utilisation de ressources médicales (hospitalisation, consultations et visites de médecins, examens de laboratoires et explorations, coût du traitement des effets secondaires, etc.)
- § **Les coûts directs non médicaux**, qui ont trait au transport du patient dans le cadre de sa prise en charge médicale, aux aides à domicile et aux soins fournis par des bénévoles, etc.

Définitions et mesure des coûts

Les coûts indirects :

- § Les pertes de productivité à un niveau macro-économique qui concernent:
 - Le patient
 - Son entourage
- § Le temps de loisir perdu, par le patient et par son entourage.

Dans un contexte de chômage important, une partie des chômeurs peut suppléer aux absences de longue durée des malades. Par ailleurs, les mécanismes de flexibilité internes à l'entreprise (heures supplémentaires, répartition des tâches) ou externes (intérimaires) permettent dans une large mesure de remédier aux absences de courte durée

La recherche en économie de la santé : un axe mal connu

q Fondements de l'analyse médico-économique

q Exemple : application à une stratégie de traitement adjuvant du cancer du sein

Impact médico-économique du docetaxel dans le traitement adjuvant du cancer du sein

(Miadi-Fargier et al, Journal d'Economie Médicale 2009 ;27 (7-8) : 67-81.)

Extension d'indication du docetaxel (Taxotère®) au traitement adjuvant du K Sein non métastasé

q Evaluation médicale

- § Essai clinique randomisé contrôlé mené par le Breast Cancer International Research Group comparant
 - § protocole TAC (docetaxel (taxotère®), doxorubicine et cyclophosphamide)
 - § protocole FAC (5-fluorouracile, adriamicyne et cyclophosphamide)
- § 1 491 patientes sur un suivi médian de 55 mois montrant
 - § **réduction de 28 % du risque de rechute (p=0,001)**
 - § **réduction de 30 % du risque de décès (p=0,008)**
 - § **Soit respectivement 75% et 68 % de survie sans évènement à 5 ans**

q Coût des médicaments (France, 2004) :

- § coût TAC : **7 122 €**
- § coût FAC : **615 €**

q Population cible :

- § Patientes atteintes d'un K du sein
- § Stade T1 à T3, N1, M0

Etude coût/efficacité

Quelles questions se posent ?

- q Combien d'années de vie sauvées pour une population donnée grâce à la stratégie TAC ? \Rightarrow extrapolation des données à 5 ans sur vie entière
- q Le coût supplémentaire est-il compensé partiellement (ou totalement) par les économies liées aux rechutes évitées ?
- q Si le bilan économique fait apparaître un coût additionnel de la stratégie TAC, celui-ci est-il acceptable pour le financeur au regard du nombre d'années de vie sauvées ?
- q L'analyse effectuée pour la France est-elle transposable à un pays du Maghreb, et si oui :
 - § Sous réserve de quelles adaptations ?
 - § Pour guider quel type de décision ?

De l'essai clinique à l'analyse économique (1)

Résultats de santé : années de vie sauvées

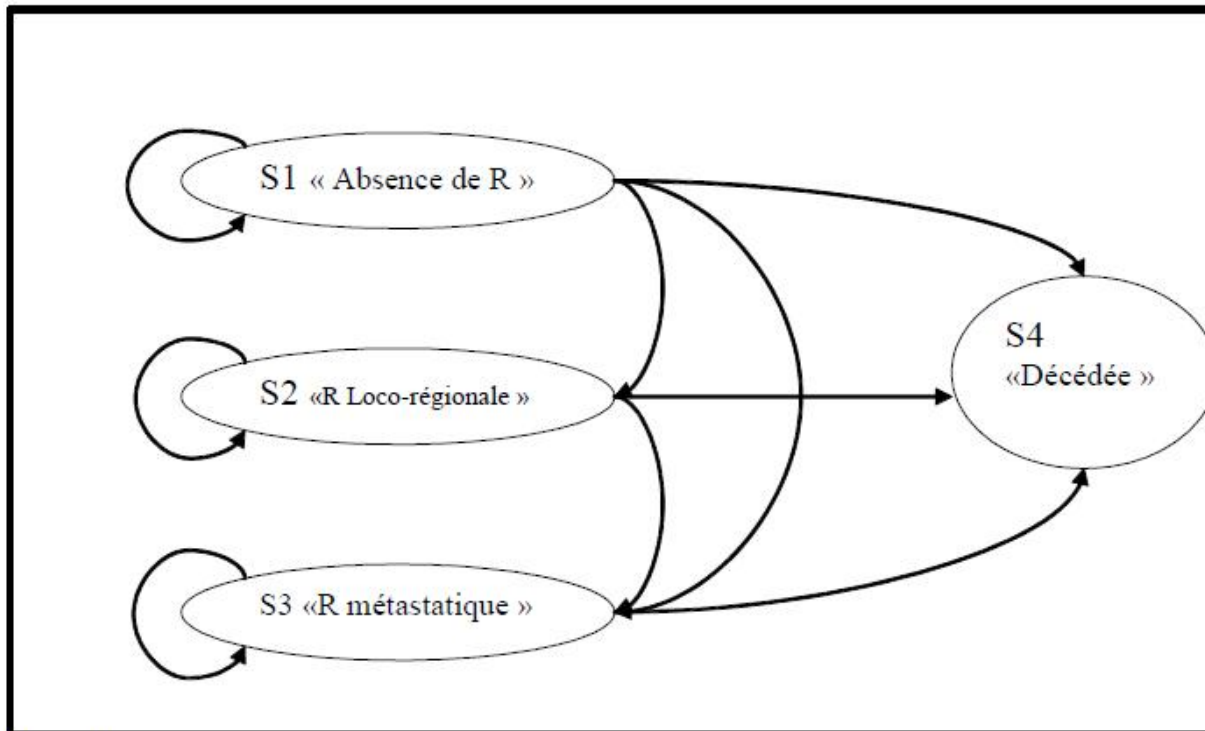
- q Année de vie sauvées liées à l'absence de rechute : extrapolation de l'espérance de vie sur base des femmes françaises de 54 ans, pondérée par le risque de rechute au-delà de 5 ans
- q récurrence loco-régionale ou métastatique : espérance de vie après chacune des situations

Coûts médicaux directs du point de vue du payeur

- q Coût de la chimio adjuvante (médicament, administration, effets indésirables)
- q Coût de suivi ambulatoire
- q Coûts des rechutes loco-régionales
- q Coûts des rechutes métastatiques (jusqu'à 5 lignes)
- q Valorisation des coûts sur base des tarifs français sécurité sociale

De l'essai clinique à l'analyse économique (2)

Figure 1: Modèle de Markov à 4 " états de santé "



R : Rechute

Modèle de Markov

permettant de modéliser dans le temps l'évolution d'un patient qui passe d'un état de santé à un autre

4 états de santé définis

Chaque transition entre états de santé est définie par une probabilité d'occurrence

Cycles de 6 mois

Résultats du « cas de base »

Critère	Protocole TAC	Protocole FAC	Différentiel TAC - FAC	Différentiel (%) TAC – FAC
<i>Effi c i t é</i>				
Patients sans événements (à 5 ans) 7	9 %	1% 8	%+	11, 0%
Mortalité toute cause (à 5 ans)	11%	17%	6%	- 35 %
Durée moyenne sans événement (à 5 ans)	52,92 mois	49,92 mois	3 mois	+ 6 %
Espérance de vie des patients 2	8, 6 ans 2	6, 3 ans 2	, 28 ans +	8 7 %
<i>Coût</i>				
À 5 ans	18 061 €	13 552 €	4 509 €	+ 33,3 %
Vie Entière 2	0 87 €	6 13 €	04 €	29, 1 %
<i>Coût/effi c i t é</i>				
Années de vie gagnées (2,28 ans) / Coût supplémentaire vie entière (4 04 €) = 2 059 € par année de vie gagnée				

Quelle confiance avoir dans le modèle et ses résultats ?

q Validation interne et externe du modèle

q Analyse de sensibilité monovariée) →
è quelle variable influe le plus sur les résultats moyens ?

Exemple : coût de la rechute
Cas de base RCEI = 2 059 €
- 15 % : RCEI = 2 259 €
- 30 % : RCEI = 2 459 €
- 50 % : RCEI = 2 725 €

q Analyse de sensibilité multivariée) →
par une « simulation de Monte-Carlo » è
distribution statistique

Exemple : espérance de vie
(10 000 individus) pour TAC
• Moyenne cas de base 56,76
semestres
• Ecart-type : 24,31
• Médiane : 69,47
• IC 95 % : 56,29 – 57,23

q Représentativité de l'essai clinique :
développement de variantes

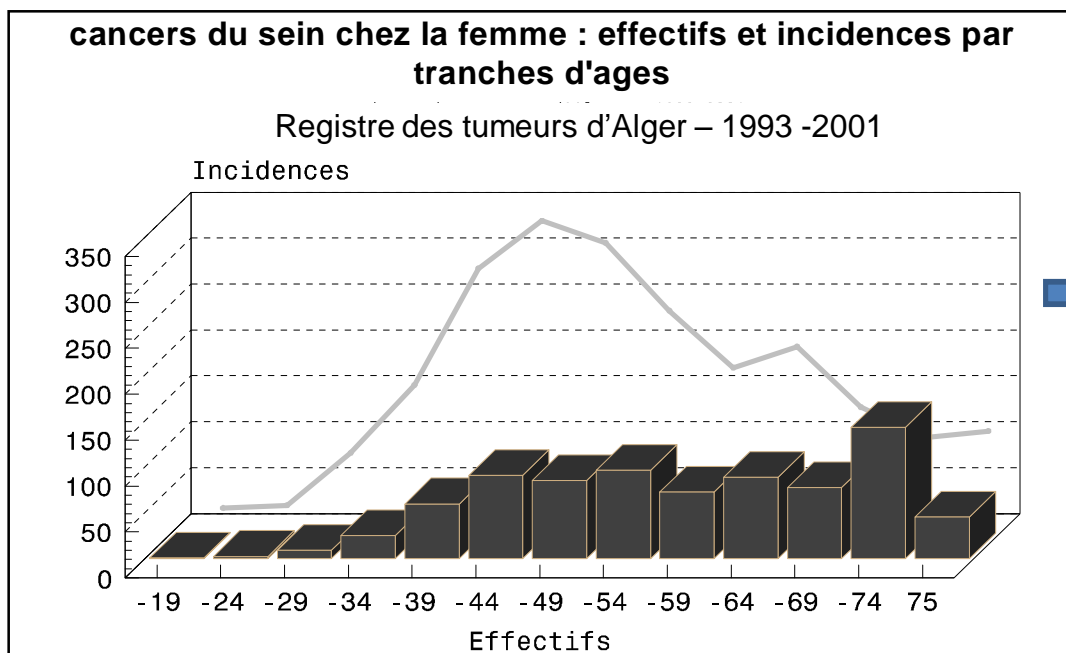
- § Pratiques françaises (protocole FEC, prophylaxie primaire par facteur de croissance (pratiques françaises))
- § Prise en compte de la cardiotoxicité à long terme (synergie anthracyclines et taxanes)

Intérêt dans le contexte maghrebain : une épidémiologie différente du K Sein

Incidence et mortalité du cancer du sein		
	incidence (ASI) / 100 000	décès (ASD) / 100 000
France	72	24
Algérie	26	18
Maroc	21	11
Tunisie	23	12
Lybie	25	13

source : www.who.int/infobase - 2002

Une incidence trois fois moins importante qu'en France, mais un taux de décès moitié moins important seulement



Un âge médian d'incidence inférieur (47 ans en Algérie) et une incidence croissante à partir de 35 ans

Source : D.Hammouda, N. Aït-Hamadouche, A. Bouhadef

Intérêt dans le contexte maghrebain: une organisation des soins différente

Stades d'évolution des cancers (tous types) au moment du Diagnostic (Enquête 2004 – Algérie)

Stade d'évolution	Nb de cas	%
Stade 1 (local)	8 706	29.9
Stade 2 (loco-régional)	6 093	20.9
Stade 3 (métastases à distance)	4 202	14.4
Stade non renseigné dans le dossier	10 061	34.9

Source : D. Hammouda – juillet 2008 – INSP

Absence de dépistage systématique

è une prise en charge plus tardive

è Impact de santé publique d'une stratégie coût/efficace au stade précoce moins important

Intérêt dans le contexte maghrebin : des pratiques et des coûts différents

- q Pratiques médicales et capacité à financer :
 - § Jusqu'à 5 lignes de chimiothérapie dans CSM en France, 2 au plus en Afrique du Sud ou en Corée du Sud
 - § Utilisation des facteurs de croissance

- q Rapidité et égalité d'accès aux soins (diagnostic, thérapeutique)

- q Des structures de coûts différentes : coûts relatifs des hospitalisations et des soins ambulatoires par rapport à celui des médicaments importés

- q Coût des médicaments lié au statut de propriété intellectuelle et au circuit d'importation et de distribution : variable la plus sensible dans l'analyse française (coûts 2004, docetaxel encore sous brevet)

Conclusion

- q L'analyse médico-économique est un outil d'aide à la décision dont les résultats doivent être interprétés en fonction du contexte dans lequel les stratégies radicales sont utilisées
- q Il convient de préciser quel est l'objectif décisionnel poursuivi : adopter une stratégie dans un référentiel local, décider du remboursement, évaluer l'impact budgétaire, organiser le parcours de soins
- q La transposabilité à un contexte différent est possible sous réserve d'avoir accès au modèle d'analyse et de disposer des données nécessaires.