

Evaluation médico-économique: Les instruments

Stéphane BILLON – Université Paris-Dauphine

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

Les études médico-économiques : un consensus sur la méthode

- La recherche de consensus entre les différents acteurs concernés vise à normaliser les pratiques méthodologiques en vue d'assurer :
 1. la crédibilité des résultats, grâce à la transparence des méthodes et des sources de données ainsi que grâce à des analyses de sensibilité,
 2. la qualité des études par le choix et la mise en œuvre des techniques les plus appropriées à chaque cas,
 3. la comparabilité des résultats obtenus par le choix d'indicateurs de coût et de résultat dont le contenu aura été rigoureusement précisé

Place des études dans la vie d'un produit

- Les études pharmaco-économiques peuvent être réalisées au cours des différentes étapes de la vie d'un produit, mais le plus souvent au cours des phases II à IV
- Lors d'une demande de renouvellement d'inscription, les pouvoirs publics sont très attachés à une confirmation ou à une mise à jour des résultats pharmaco-économiques obtenus avant la mise sur le marché.
- Les critères de jugement à utiliser peuvent être différents
 - les études qui précèdent la mise sur le marché s'appuient, par nécessité, sur les essais cliniques de phase II et III
 - lors de la réinscription, l'évaluation portera principalement sur l'utilisation du produit en pratique médicale courante.

Horizon temporel et validité spatiale

- **Horizon temporel** : Plusieurs horizons temporels peuvent être envisagés:
 - On peut s'attacher à l'impact du programme de Santé pendant toute la vie de l'individu (notamment dans le cas de maladies chroniques)
 - Ou au contraire se limiter à une période de temps plus restreinte (histoire naturelle de la pathologie)
 - le choix de l'horizon temporel de l'étude est souvent restreint par les données disponibles (notamment celles provenant des essais cliniques)
 - Néanmoins, une modélisation peut permettre d'estimer les conséquences à long terme tant au niveau des coûts que des résultats de santé (*problèmes des effets non marchands*)

Horizon temporel et validité spatiale

- **Validité spatiale**

- Les données épidémiologiques et surtout les modes de prises en charge médicale et sociale peuvent être extrêmement variables selon les pays
- De même, le recueil des données, les coûts pris en compte et leur valorisation dépendent largement du contexte national dans lequel s'inscrit l'étude
- Si les données internationales d'épidémiologies, d'efficacité ou de ressources consommées sont utilisées, il convient de justifier la responsabilité de ces données

Types de résultats retenus et leurs mesures

- Le principe : rapprocher le coût des traitements de leur résultat
 - La variabilité des indicateurs de résultat dépend du but de l'étude, du type de l'étude, de la nature des données disponibles, des indicateurs du produit figurant dans l'AMM, etc. On retiendra principalement quatre variantes :
 - l'efficacité
 - La qualité de vie
 - L'utilité
 - La disposition à payerOn évoquera ensuite l'expression qui en est proposée par des indicateurs synthétiques

L'efficacité

- Efficacité expérimentale (efficacy) et efficacité en situation réelle (effectiveness)
 - Les études cliniques mesurent l'efficacité expérimentale au sens où leurs résultats sont obtenus dans des protocoles expérimentaux ou dans des situations de prescription contrôlée
 - C'est l'efficacité à un usage courant, «en routine» qui intéresse le décideur
 - Dans la mesure du possible, pour les études de pharmacoeconomie, on privilégiera l'efficacité en situation réelle par rapport à l'efficacité théorique

L'efficacité

- Efficacité intermédiaire (surrogate endpoints) et efficacité finale (final endpoints)
 - L'utilisation d'indicateurs d'efficacité intermédiaire (réduction du niveau tensionnel ou du taux de cholestérol, par exemple) dans une évaluation économique, soulève deux sortes de difficultés :
 - La première est une difficulté de comparaison: seuls les traitements qui abaissent le niveau tensionnel ou le taux de cholestérol pourront être comparés entre eux
 - La deuxième est une difficulté d'interprétation: que signifie le coût d'un abaissement de 20 % de l'un de ces paramètres ?
 - Ces difficultés ne peuvent être résolues que si l'on peut valablement établir une relation entre l'efficacité intermédiaire et l'efficacité finale.

Choix d'indicateurs pertinents de l'efficacité finale

- Un ou plusieurs indicateurs
 - Les effets d'un traitement peuvent être multiples et l'expression de l'efficacité par plusieurs indicateurs pose le problème de son « interprétabilité »
 - Un indicateur synthétique soulève des problèmes méthodologiques d'adéquation et de pondération
 - Un indicateur unique, il revient à postuler que l'efficacité est unidimensionnelle, ce qui devra être justifié ou au minimum expliqué
- Événements évités ou durée de survie ?
 - Événements critiques évités plus ou moins spécifiques (fractures évitées, ulcères évités, voire décès évités)
 - Avantage: s'inscrit dans la démarche des cliniciens
 - Inconvénient: ne permet aucune comparaison avec d'autres pathologies

La qualité de vie

- Définition

- La mesure de la qualité de vie liée à l'état de santé est un complément (parfois un substitut), de l'évaluation de l'efficacité
- Elle est souvent indispensable pour comparer des traitements affectant non seulement la durée de vie mais aussi sa qualité et est particulièrement adaptée au contexte des pathologies chroniques ou récurrentes.
- Elle permet de prendre en compte: le point de vue du patient (ou de son représentant) et d'ajouter aux critères d'évaluation purement médicaux (biologiques, cliniques - souvent intermédiaires) des critères fonctionnels, sur les plans physique, social, affectif, etc
- Elle fournit donc une appréciation du patient (ou de son représentant) sur les diverses conséquences de sa maladie et/ou de son traitement.

L'utilité

- Définition
 - Pour la théorie économique, l'utilité d'un bien ou d'un service est pour un agent économique la contrepartie du coût qu'il accepte de payer pour l'obtenir.
 - Dans le domaine de la santé, l'utilité accordée à différents états de santé exprime, au moyen d'indicateurs appropriés, les préférences que les individus (patients, population générale) révèlent à l'égard de ces différents états
 - L'utilité d'un médicament n'est pas prise en compte en tant que telle, mais au travers des jugements de valeur portés par les individus sur l'état de santé obtenu grâce au traitement

Mesure de l'utilité : méthodes de révélation des préférences

- Echelles visuelles analogiques
 - Chaque état est repéré sur une échelle et sa place exprime la valeur que lui accorde l'interrogé par rapport aux références (par exemple, 0 = mort | = parfaite santé) qui lui sont proposées
- Utilisation des loteries (Standard gamble)
 - Les états de santé envisagés, comme alternatives de l'état actuel, sont affectés de probabilités d'occurrence
- Marchandage-temps (Time trade-off)
 - Il conduit à exprimer le nombre d'années de survie dans un état de qualité donnée, que les individus sont prêts à échanger contre un certain nombre d'années de vie en parfaite santé (ou de qualité supérieure)

La disposition à payer (Willingness to pay)

- La disposition à payer (willingness to pay)
 - Permet d'estimer la valeur que les agents économiques attribuent à un bien ou un service, et ceci par le biais de la somme que ces individus déclarent être prêts à payer pour en bénéficier
 - Cette méthode intègre l'intégration des préférences individuelles dans des analyses de type coût-bénéfice et permet d'exprimer en termes monétaires un jugement global sur le résultat (état de santé obtenu à la suite d'un traitement)

La modélisation

- Un modèle est une représentation simplifiée, raisonnée et formalisée d'un phénomène réel que l'on cherche à analyser
 - Les modèles sont utilisés pour rendre compte de situations trop complexes pour être appréhendées directement et en cas d'information imparfaite
 - Dans l'évaluation économique des traitements médicaux, les modèles ont plusieurs domaines d'application:
 - Clarifier les conséquences de processus décisionnels
 - Simuler l'effet de politiques alternatives
 - Retracer des chaînes causales complexes
 - Ils complètent ces dernières quand elles sont trop partiales (données à court terme pour évaluer un processus de longue période)
 - Les enseignements d'un modèle étant essentiellement dépendants des hypothèses qui ont présidé à sa construction, il importe de s'assurer de leur robustesse par des analyses de sensibilité.

La modélisation / Exemple

- Titre : Coûts de l'asthme en France : modélisation médico-économique par un modèle de Markov (1)
 - Auteur(s) : CHOUAID C. & al.
 - **Introduction** . En France, l'asthme concerne 3.5 millions de personnes, son coût annuel est estimé à 15 milliards d'euros. Peu de données sont disponibles sur les déterminants de ces coûts.
 - **Objectif** . Elaborer un modèle médico-économique permettant d'identifier le coût annuel d'un patient asthmatique, les composantes de ce coût et les conséquences des différentes modalités de prise en charge (ambulatoires et hospitalières).
 - **Méthodes** Réalisation d'un modèle de Markov homogène de premier degré à partir des données de la littérature, permettant d'identifier les différents états de santé, leurs valorisations et les probabilités de transition d'un état à l'autre.
 - stratégie la plus réductrice des coûts

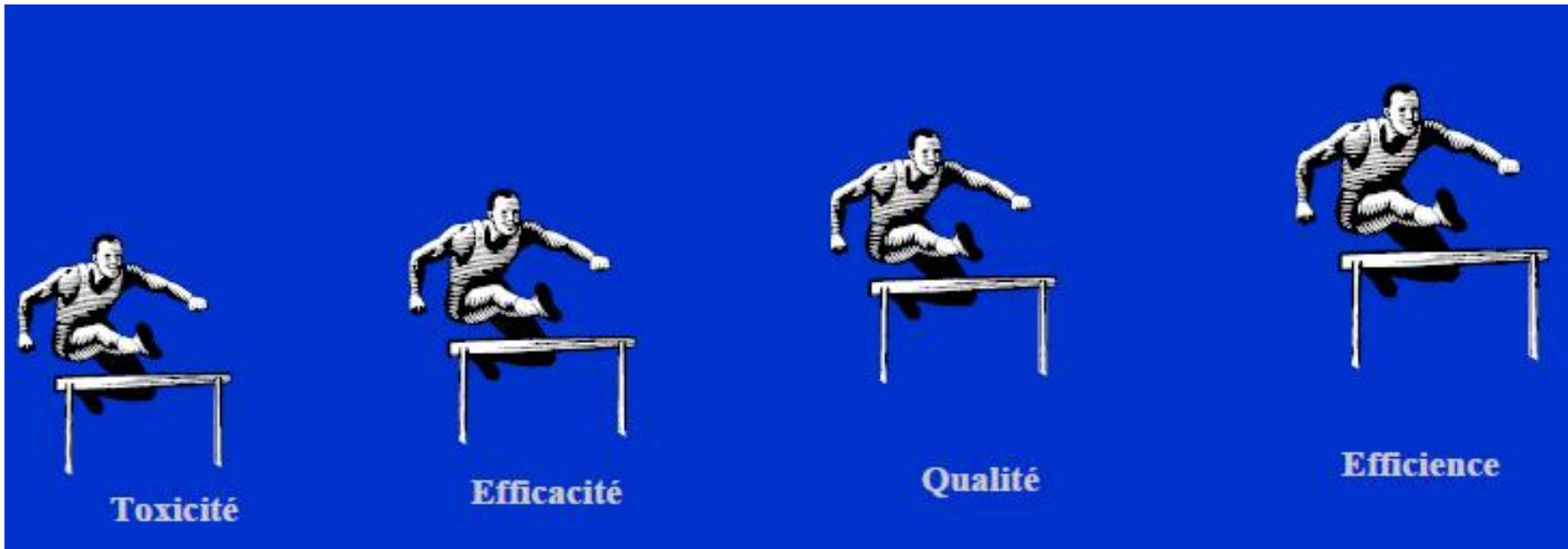
La modélisation / Exemple

- Titre : Coûts de l'asthme en France : modélisation médico-économique par un modèle de Markov (2)
 - **Résultats** .Le coût moyen annuel est de 631 ± 299 euros, 298 euros pour les patients stables et respectivement 1052 et 3811 euros pour les patients ayant fait au moins une crise et ceux hospitalisés dans l'année. Les actions améliorant le contrôle de la maladie en ambulatoire (prévention et gestion des crises) permettent une plus importante réduction des coûts moyens que les actions réalisées chez les patients vus aux urgences ou hospitalisés.
 - **Conclusions**. Du point de vue de la Société, un meilleur contrôle de l'asthme en ambulatoire est la stratégie la plus réductrice des coûts

Pharmaco-économie et analyse d'impact budgétaire :

La place de l'évaluation économique

- L'évaluation économique est souvent intégrée au dispositif d'évaluation



De l'évaluation économique à l'analyse d'impact budgétaire

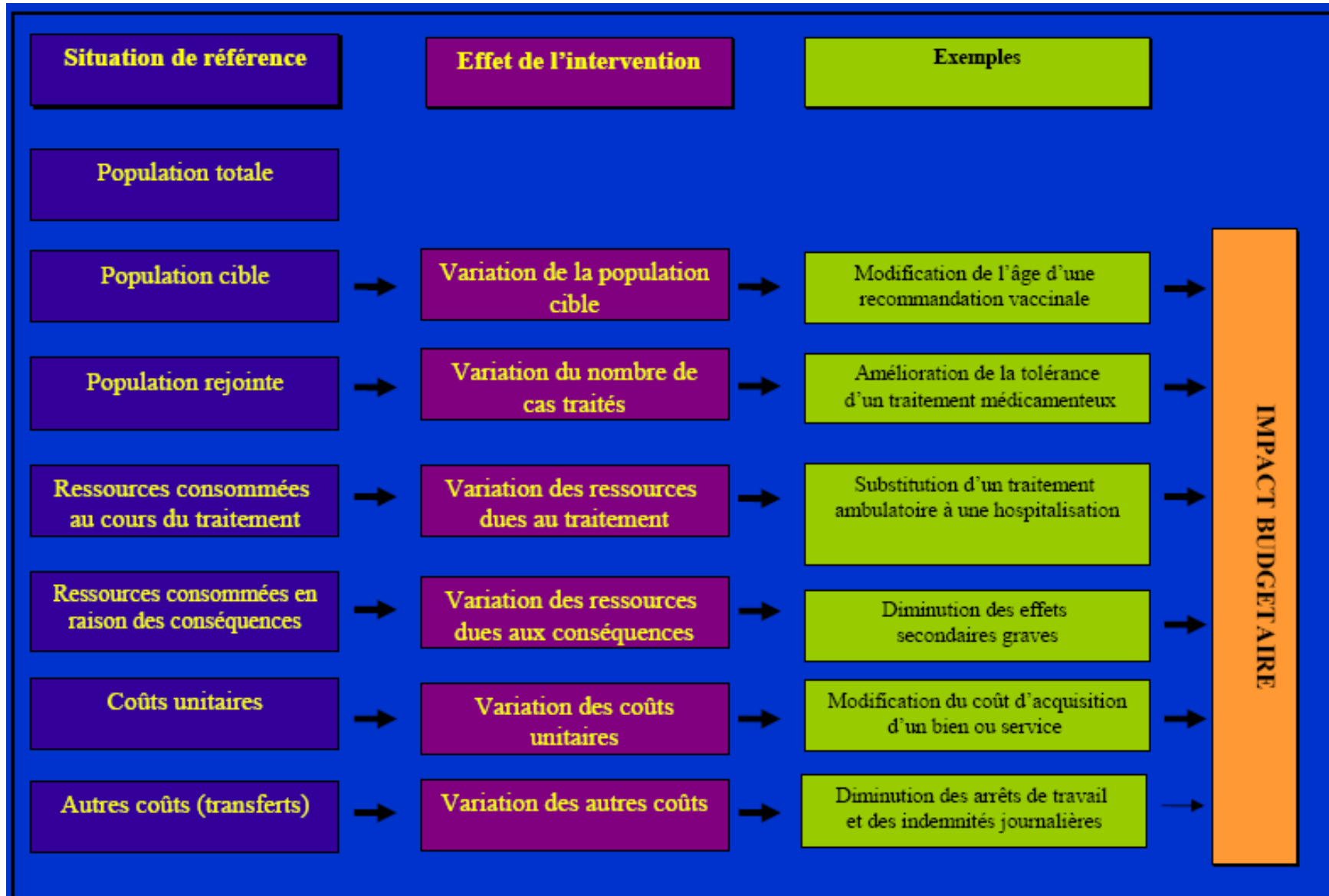
- L'Analyse d'Impact Budgétaire (AIB) trouve sa source dans les limites pratiques de l'évaluation économique (EE)
- Elle se présente comme une analyse complémentaire de l'évaluation économique
- L'AIB traite d'un problème différent de celui de l'EE
 - Affordability vs Efficiency
 - L'acceptabilité ou accessibilité financière

L'objet de l'analyse d'impact budgétaire

- Il s'agit d'estimer l'incidence financière, sur le budget d'un acteur, de l'introduction d'une stratégie thérapeutique
- Ce critère de la capacité à payer correspond à l'ajout d'une 5ème haie
 - Documenté à travers l'Analyse d'Impact Budgétaire (AIB)
- En usage dans différents pays : Australie (PBAC), Canada, USA, Angleterre, Pays-Bas, Pologne...



Le schéma générique d'une analyse d'impact budgétaire



Vérification de la robustesse des conclusions de l'étude

- La démarche d'évaluation économique repose sur une analyse en situation d'incertitude
- L'incertitude peut se mesurer de deux manières :
 - Une **analyse de sensibilité** consiste à faire varier les paramètres pertinents du modèle autour des valeurs initialement retenues. Elle ne dispense pas de la justification de ces valeurs initiales et de leur intervalle de variation à partir de données existantes sur des populations comparables, mais elle permet de vérifier la robustesse des conclusions et d'identifier les variables-clés du modèle.
 - L'étude classique des **distributions statistiques** sera effectuée sur les coûts et les résultats. Ainsi, à l'exemple des paramètres d'efficacité les propriétés de distribution des coûts, en particulier médiane, moyenne, intervalle de confiance, premiers quartiles et valeurs aberrantes, seront examinées.

Présentation des résultats

- Contribuer à la transparence de l'étude
 - La plupart des « **guidelines** » contiennent des recommandations quant à la liste-type des items que doit contenir la présentation
 - les enjeux du problème traité
 - Le point de vue (la perspective) adopté
 - Le type d'étude retenu et les raisons de ce choix
 - La population concernée
 - Les comparateurs pris en compte
 - Les données médicales sur lesquelles repose l'analyse
 - Les différents types de coûts pris en compte, leur source et leur expression (en indicateurs physiques et en valeur)
 - Les différents effets du traitement, leur expression et leur source
 - Les procédures et modalités de l'actualisation
 - Les méthodes de prise en compte de l'incertitude
 - Les ratios différentiels et leur variabilité
 - Les limites de l'évaluation présentée.

Quelques questions que vous devez vous poser en commençant une étude...

Quelques questions que vous devez vous poser en commençant une étude

1. Qui a besoin de cette étude et pour quoi ?

- Quels sont les points de vue qui peuvent être étudiés et/ou qui sont légitimes ?
- Celui qui demande l'évaluation envisage-t-il un point de vue trop restreint ?
- L'évaluation est-elle sérieuse, i.e. y a-t-il une chance pour que les résultats changent quelque action ou quelque politique que ce soit ?
- Sera-t-il possible d'agir à partir des résultats d'évaluation, quels que soient ces résultats, i.e. les procédures de gestion ou de décision nécessaires existent-elles ?
- De façon générale, y a-t-il une ouverture d'esprit suffisante quant aux résultats possibles de l'évaluation ?

Quelques questions...

2. Comment sommes-nous parvenus aux options considérées ?

- Plusieurs options sont-elles proposées, sinon le comparateur impliqué est-il le statu quo ?
- Qu'arriverait-il si le statu quo était maintenu ?
- Des options importantes ont-elles été oubliées ?
- Quand une option a été définie, a-t-elle résulté de recherches antérieures, ou bien cela correspondait-il à une « marotte » ?
- En ce qui concerne la taille des programmes considérés, ne serait-il pas préférable de la réduire, ou au contraire de l'augmenter ?

Quelques questions...

3. Que savons-nous de l'efficacité des options proposées?

- A-t-il été montré que les options envisagées faisaient plus de bien que de mal à l'aide d'études contrôlées (caractérisées notamment par une répartition randomisée des sujets entre les options)?
- Si c'est le cas, que savons-nous des qualités méthodologiques de ces études et comment savons-nous que les mêmes résultats seraient obtenus dans notre propre contexte?
- Si ce n'est pas le cas, les promoteurs de l'évaluation économique que envisagent-ils sérieusement d'entreprendre une étude contrôlée sur l'efficacité des options nouvelles, en comparaison avec les approches existantes? Et sinon, quel est le sérieux de la démarche?
- Comment peut-on justifier une évaluation économique si on ne dispose pas de preuve concernant l'efficacité?

Quelques questions...

4. Que savons-nous des coûts probables des options proposées et de leur mode de financement ?

- A combien estimez-vous (à 200\$ près) les ressources supplémentaires nécessaires pour financer le nouveau programme (s'il est efficace) ?
- Cette somme est-elle importante si on la compare aux coûts probables de l'évaluation (en particulier celui de votre temps) ? Sinon, pourquoi vous impliquer ?
- Y a-t-il une chance pour qu'on trouve les ressources supplémentaires nécessaires à l'application du programme, soit d'un transfert de ressources, soit d'un financement nouveau ?
- Qu'il s'agisse d'un transfert de ressources ou d'un financement nouveau, sera-t-il difficile à obtenir ?

Quelques questions...

5. Comment mener à bien cette évaluation?

- Quelles sont les ressources nécessaires (moyens en personnel, capacité de calcul etc.)?
- Sont-elles déjà disponibles, ou doit-on recourir à des ressources supplémentaires? Si c'est le cas, a-t-on réfléchi à la façon de les obtenir? En particulier, sait-on comment faire pour bénéficier de subvention de recherche?
- Quelle sorte de soutien moral pouvez-vous attendre de ceux qui demandent l'évaluation, surtout à l'intérieur de votre propre organisation?
- Quand les résultats de l'évaluation sont-ils attendus? Ce qui peut être réalisé dans le temps imparti, compte tenu des moyens dont on dispose, est-il clair pour tout le monde?
- Quels sont ceux avec qui vous devrez collaborer? Seront-ils volontaires ou contraints?
- Aimez-vous suffisamment les gens qui sont impliqués dans le projet pour passer avec eux tout le temps nécessaire?

Quelques questions...

6. Comment les résultats de l'évaluation seront-ils diffusés ?
 - Y a-t-il des obstacles à une large diffusion des résultats ?
 - Une publication est-elle prévue ? Si oui, pourrez-vous remplir les critères requis pour publier l'étude ?
 - Les résultats seront-ils connus à temps pour influencer les décisions adéquates ?

Etude de cas 1

Exercice 1 : Evaluation économique greffée sur un essai clinique - Etude de cas sur l'ostéoporose

- **Scenario**

- On vous demande de réaliser l'évaluation économique d'un nouveau médicament utilisé pour le traitement des fractures liées à l'ostéoporose. Un grand essai randomisé est prévu et vous avez la possibilité d'y inclure des critères économiques et de qualité de vie.
- Le médicament a un effet positif sur la reconstruction osseuse et on suppose par conséquent qu'il accélère la guérison des fractures. Un essai clinique multicentrique sur la fracture du col du fémur doit être réalisé aux Etats-Unis et dans quatre pays européens. Le protocole préliminaire de l'essai est le suivant :
- L'essai sera randomisé et réalisé en double aveugle. Le nouveau médicament sera ajouté aux traitements standards à compter du jour de la fracture et sera comparé à un placebo. Le traitement médicamenteux durera trois mois.

Exercice 1 : Evaluation économique greffée sur un essai clinique - Etude de cas sur l'ostéoporose

- **Scenario**

- Les principaux critères cliniques sont :
 - Ø L'indice de densité osseuse
 - Ø La capacité à se tenir debout
 - Ø La capacité à marcher cinquante mètres
 - Ø La durée du séjour à l'hôpital
- Le calcul de la taille de l'échantillon, fondé sur la puissance à détecter une importante différence dans le résultat clinique, suggère qu'il faudrait 200 patients dans chaque groupe.
- Les patients seront évalués au départ, à un, trois et six mois (fin de l'essai).
- A cause de la toxicité potentielle du produit, une surveillance supplémentaire (tests de laboratoire) sera assurée tous les mois. Pour continuer à réaliser l'essai en aveugle, patients sous placebo subiront aussi ces tests.

Exercice 1 : Evaluation économique greffée sur un essai clinique - Etude de cas sur l'ostéoporose

- **Scenario**

- **Questions**

1. Demandez-vous, de façon critique si cet essai est adapté à l'évaluation des critères économiques et de qualité de vie (donner les points positifs et négatifs). Si nécessaire proposez des aménagements au protocole.
2. Précisez les catégories de données relatives à l'utilisation des ressources que vous voudriez recueillir.
3. Discutez l'intérêt d'un recueil de données sur la qualité de vie dans cet essai, et le choix de l'utilisation d'une échelle générale ou d'une échelle spécifique de qualité de vie
4. Précisez les autres données qui, selon vous, seraient utiles à recueillir dans les cinq pays.
5. Bien que les données économiques soient recueillies pendant l'essai clinique, pensez-vous qu'on ait intérêt à utiliser une randomisation et pourquoi ?

Etude de cas 2

Exercice 2 : Lecture critique d'un poster

- **Scenario**
- **Question**
 1. Pourriez-vous faire une analyse critique du poster d'après quant à la méthode, en définir les enjeux en fonction du point de vue et émettre des recommandations ?

ANALYSE COUT-BENEFICE DE L'UTILISATION DE DISPOSITIFS MEDICAUX SECURISES DANS LA PREVENTION DES ACCIDENTS D'EXPOSITION AU SANG AU CENTRE HOSPITALIER D'ARGENTEUIL

Fradi Dridi I.*, Dang Putzolu J.*, Belliard A-M.*, Bizet M-C**, Descamps M-C**, Descoutures J-M.*
 * service de pharmacie, ** service de médecine du travail, Centre Hospitalier Victor Dupouy d'Argenteuil.

INTRODUCTION

Les dispositifs médicaux sécurisés (DMS) jouent un rôle important dans la prévention des accidents d'exposition au sang (AES). Le centre hospitalier d'Argenteuil a généralisé l'utilisation de ces DMS. La priorité a été donnée aux dispositifs médicaux (DM) associés aux gestes les plus à risque de contamination (unités de prélèvement (UP), cathéters courts (CC), aiguilles de Hubert (AH) et autopiqueurs (AP)). L'objectif de cette étude a été d'évaluer le bénéfice lié à la réduction du nombre d'AES déclarés et de le comparer au surcoût engendré par l'utilisation des DMS.

MATERIELS ET METHODES

1- Estimation du coût moyen de la prise en charge d'un AES

Les AES déclarés entre janvier et septembre 2006 ont été analysés pour estimer le coût moyen d'un AES du point de vue de l'hôpital.

Le coût des éléments suivants ont été pris en compte :

- examens biologiques victimes et patients source
- consultations
- chimioprophylaxie anti-rétrovirale ARV
- arrêts de travail
- temps perdu par le personnel

2- Estimation du surcoût engendré par les DMS

- Différence des prix d'acquisition (consommation de 2006)
- Élimination des déchets = coût de transport et de destruction d'une tonne de DASRI par la différence de poids entre DMS et non sécurisé.

3- Nombre d'AES déclarés selon le type de DM en cause (entre 2003 et 2006)

Les nombres d'AES par type de DM ont été pondérés par la consommation du DM en cause (nombres d'AES / 10 000 DM) puis une moyenne des 4 années a été calculée pour chaque type de DM en fonction des données disponibles.

4- Évaluation économique

Le critère de jugement est le coût par AES évité.

Le nombre d'AES évités : la différence des moyennes des AES / 10000 DM du matériel sécurisé et non sécurisé rapportée à la consommation de 2006.

Un coût / AES évité a été calculé pour chaque type de DM :

$$\text{Coût / AES évité} = (\Delta \text{Coût DM} - \Delta \text{Coût AES}) / \text{nombre d'AES}$$

$$\Delta \text{Coût DM} = \text{surcoût DMS (acquisition + déchets)}$$

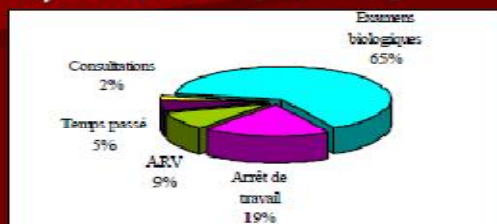
$$\Delta \text{Coût AES} = \text{nombre d'AES évité} \times \text{Coût moyen d'un AES}$$

5- Analyse de sensibilité univariée en faisant varier les principales sources d'incertitude : coût élimination des déchets, coût d'un AES, coût d'acquisition des DM.

RESULTATS

1- Coût moyen d'un AES calculé à partir de 82 AES

→ 237 € (IC à 95 % [128,4- 345,6])



2- Surcoût engendré par les DMS

Surcoût annuel lié à l'acquisition des DMS

	Prix unitaire		Conso 2006	surcoût/ an 2006
	DMS	DM NS		
UP (aiguilles)	0,22	0,05	17994	3059 €
UP (aig à ailettes)	0,6022	0,5	73190	7480 €
Cathéter court	1,35	0,5	87259	74399 €
Aig Hubert	5,8	2,21	4704	16887 €
Autopiqueur	0,078	0,02211	142640	7972 €

Surcoût lié à l'élimination des déchets :

- Forfait destruction DASRI : 411,91 €/Tonne

- Plus grande différence de poids calculée entre DMS et DM non sécurisé : 2,1 g → Surcoût : 0,000865 €/unité.

3- Nombre d'AES/10000 DM selon le type de DM

DM	2003	2004	2005	2006	Moyenne
UP non sécurisés	3,5	4	3	1,7	3,05
UP sécurisés	0,26	0,36	0,6	0,55	0,44
CC non sécurisés	5,4	2,06	/	/	3,73
CC sécurisés	0,3	0,3	0,32	0	0,23
AH non sécurisés	17,4	/	/	/	17,4
AH sécurisés	/	0	0	2,1	0,7
AP non sécurisés	0,4	0,31	/	/	0,355
AP sécurisés	/	/	0	0	0

4- Évaluation économique

DM	AES évités	ΔCoût DM	ΔCoût AES	Coût/ AES évité
Unité de prélèvement	23,8	10617	5640	209 €
Cathéter court	30,6	74475	7252	2197 €
Aiguille de Hubert	7,8	16891	1849	1928 €
Autopiqueur	5,1	8095	1209	1350 €

5- Analyse de sensibilité

Coût/ AES évité (€) en fonction du DMS	UP	CC	AH	AP
Étude de base	209	2197	1928	1350
Sans le coût des déchets	206	2194	1927	1326
Coût d'un AES à 281 €*	165	2153	1884	1306
Remise 10% prix d'achat	6	1808	1578	1108

* Coût évalué au CHU de Poitiers (*Médecine et maladies infectieuses*, 34, 28-36, 2004).

DISCUSSION

Le surcoût lié aux DMS varie fortement en fonction du type de DM et de la consommation.

L'analyse de sensibilité a montré que :

- L'impact économique du surcoût lié à la destruction des déchets est faible
- L'étude reste robuste par rapport au coût d'un AES
- Le coût/AES évité varie fortement avec le prix des DMS.

CONCLUSION

Cette étude a permis de créer un modèle d'impact économique de l'utilisation des DMS pour la prévention des AES afin d'aider au choix des DM sécurisés à utiliser prioritairement dans un contexte de restriction des allocations de ressources.

Solution Etude de cas 1

1. Une étude économique a pour objectif, entre autres, d'apporter de l'information sur les coûts et les résultats susceptibles de survenir en pratique courante. De nombreux problèmes risquent de surgir dans le cadre de cet essai.
 - C'est un essai contre **placebo**, et il faut donc se poser la question de la **pertinence** de cette comparaison. Existe-t-il d'autres traitements, médicamenteux ou non, utilisés dans les différents pays pour traiter la fracture du col du fémur ?
 - **L'essai est-il assez long ?** Le traitement dure trois mois et le suivi 6 mois. Il n'est pas certain que le suivi soit suffisamment long pour qu'on puisse tenir compte des conséquences du traitement en aval, comme la récurrence de la fracture ou les effets indésirables du traitement. Une possibilité serait un suivi complet à 6 mois, prolongé par un suivi à un an plus limité pour les critères économiques.
 - **Est-il souhaitable de mener cet essai dans plusieurs pays ?** Si les pratiques diffèrent entre les États-Unis et l'Europe (et même au sein de l'Europe) il peut s'avérer impossible de rassembler les données économiques de façon pertinentes. Est-il possible de concentrer l'essai sur un continent, ou encore mieux, dans un pays, pour réduire l'hétérogénéité des données économiques ?

2. A côté des **données** sur l'hospitalisation qui seront recueillies dans le cahier d'observation principal, le recueil d'autres données de ressources peut-être intéressant (en fonction du point de vue adopté) :
- Les visites chez le généraliste
 - Le coût des aides ménagères
 - Les médicaments
 - Le coût des maisons de repos
 - Le coût des infirmières libérales
 - Les réhospitalisations.
3. En ce qui concerne le recueil des données de qualité de vie dans cet essai, on peut se demander si la **durée de suivi** (6 mois) est **suffisamment longue** pour permettre la **détection de changements cliniques importants** chez ces patients. Pour le choix entre une mesure globale ou spécifique à la maladie on peut souhaiter avoir à la fois une mesure spécifique, **sensible aux changements faibles** mais cliniquement importants, et une mesure plus générale (comme une mesure d'utilité) **permettant la comparaison avec d'autres maladies ou d'autres modalités thérapeutiques**. En **pratique**, il faut savoir si les **mesures choisies ont été validées** et sont disponibles dans les différents pays où l'étude a lieu. On peut aussi essayer de mesurer la qualité de vie des soignants qui s'occupent des malades. Avant de décider d'inclure une quelconque mesure de qualité de vie dans l'essai, il est utile de **rechercher les données déjà disponibles** pour savoir si les mesures envisagées pourront détecter le type de changement susceptible de se manifester.

4. A cote de l'information sur les ressources recueillies dans l'essai, il sera nécessaire de disposer dans chacun des pays de trois types d'information.

- **Les prix à attribuer aux ressources rasurées** : les prix hospitaliers, les prix des médicaments, le cout des visites médicales, ainsi que, par exemple, les taux de rémunération sur le marché du travail si le temps productif doit être évalué.
- **Les modèles de pris en charge de la fracture du col du fémur** dans chacun des pays seraient utiles à connaître. L'objectif est en effet d'avoir un essai qui représente la pratique courante. Par ailleurs, si on envisage de synthétiser l'information sur les cinq pays ou de transposer l'information d'un pays à l'autre, il est nécessaire de savoir dans quelle mesure les pratiques peuvent varier.
- **La connaissance des mécanismes de remboursement** pourrait également être utile pour expliquer les variations de prise en charge entre les pays. Par exemple, les médecins sont-ils payés à l'acte ou sont-ils salariés ? Les hôpitaux sont-ils remboursés sur la base des couts par case-mix, de sorte qu'il y a incitation à réduire la durée de séjour ? Et ainsi de suite.

5. On peut avoir recours à la **modélisation** pour répondre à deux types de questions :

- **Une modélisation peut être nécessaire pour extrapoler quel que soit un des critères cliniques intermédiaires en résultats finaux** . Par exemple, à 6 mois, nous pouvons savoir dans quelle mesure l'os s'est reconstruit. Mais cela a-t-il se traduit par une diminution du risque de récurrence de fracture l'année suivante ? D'où le besoin potentiel de modèles épidémiologiques qui permettent de passer de la densité et de la masse osseuse au risque de fracture.
- **La modélisation peut aussi être nécessaire pour tenter de transposer les résultats de cette étude multicentrique aux pays de l'étude, pris individuellement**, ou à d'autres pays. Il faudrait alors se demander dans quelle mesure le rapport coût-efficacité du traitement est conditionné par les schémas thérapeutiques et par les modalités de remboursement de chacun des pays.