

UN MONDE MÉDICAL ET ÉCONOMIQUE EN PLEINE ÉVOLUTION : maladies complexes et intérêt de l'évaluation économique des technologies de santé

M. HILIGSMANN (1, 2), J-Y. REGINSTER (3)

RESUME : Les progrès de la médecine et l'allongement de l'espérance de vie ont indirectement contribué au développement de maladies chroniques complexes. Ces maladies, qui accompagnent toute la vie des patients, sont responsables en partie de la hausse des dépenses de santé publique, qui pose de nouveaux défis à notre système de sécurité sociale. Compte tenu des restrictions budgétaires de plus en plus importantes, il est devenu primordial de maîtriser les dépenses de santé tout en maximisant l'état de santé de notre population. En rapportant le coût d'actions de santé à leur efficacité, l'évaluation économique est un outil extrêmement intéressant qui permet d'évaluer l'efficacité de stratégies de santé afin d'aider les preneurs de décisions à prendre des décisions rationnelles. Cet article a pour objectif de présenter le rôle et les enjeux de l'évaluation économique dans le secteur de la santé, et d'expliquer brièvement les types et les méthodes d'évaluation économique.

MOTS-CLÉS : *Coût - efficacité - Économie - Analyse décisionnelle*

**A CHANGING MEDICAL AND ECONOMIC WORLD :
COMPLEX DISEASES AND INTEREST IN ECONOMIC EVALUATION OF HEALTH
TECHNOLOGIES**

SUMMARY : Medical advances and increasing life expectancy have indirectly contributed to the development of chronic complex diseases. Chronic diseases, which last for a lifetime, are responsible, at least in part, for the increase in health care expenditures which poses new challenges to healthcare systems. Under increasing economic pressure, it has become increasingly important to efficiently allocate scarce healthcare resources. By comparing costs and effects of health interventions, health economic evaluation is a powerful tool to help decision makers to make rational decisions. This article introduces the methods for the economic evaluation of health care programs and discusses the challenges of using economic evaluation in medical decision making.

KEYWORDS : *Cost-effectiveness - Decision modeling - Economic*

INTRODUCTION

Les progrès de la médecine et du niveau de vie ont entraîné un allongement de l'espérance de vie. Ces progrès ont également contribué indirectement à l'accroissement du nombre de patients souffrant de certaines pathologies, parmi lesquelles les maladies chroniques complexes. Cette évolution induit un fardeau financier pour le système de sécurité sociale, car ces maladies, qui accompagnent toute la vie des patients, coûtent généralement cher à la société.

Depuis plusieurs années, beaucoup de pays dont la Belgique sont ainsi confrontés à une hausse considérable des dépenses de santé, qui augmentent plus rapidement que le bien-être du pays. Dans le contexte économique actuel difficile et les restrictions budgétaires qui en résultent, il est devenu indispensable de maîtriser les dépenses de santé tout en maximisant l'état de santé de la population. Afin de garantir la pérennité et la qualité de notre système de sécurité

sociale, les autorités de santé publique sont amenées à rationaliser leurs décisions afin d'allouer au mieux les ressources disponibles.

Dans ce contexte et face à la multitude d'alternatives thérapeutiques, l'évaluation des technologies de santé est devenue primordiale pour aider les autorités de santé à prendre des décisions rationnelles. En particulier, l'évaluation économique s'avère un outil très intéressant pour optimiser l'allocation des ressources disponibles. En rapportant le coût d'actions de santé à leur efficacité, l'évaluation économique permet d'évaluer l'efficacité de stratégies de santé afin de concilier les considérations médicales et économiques d'interventions de santé, à priori antagonistes. Le présent article a pour objectif d'introduire les types et les méthodes d'évaluations économiques, et de discuter leur place et leurs enjeux dans un monde médical et économique en pleine évolution.

EVALUATION DES TECHNOLOGIES DE SANTÉ

Afin d'aider les preneurs de décisions à faire des choix éclairés, il est devenu primordial d'évaluer les technologies de santé. L'évaluation des technologies de santé (en anglais, «Health Technology Assessment», HTA) est une discipline née dans les années 1970 qui connaît un essor important ces dernières années (1). Ce domaine de recherche a pour objectif d'analyser les conséquences médicales, sociales, éthiques et économiques (à court et long terme) de toutes

(1) Chercheur associé, Maître de conférences, Département de Santé Publique, d'Epidémiologie et d'Economie de la Santé, Faculté de Médecine, Université de Liège.

(2) Chercheur postdoctoral, Department of Internal Medicine, Department of Clinical Epidemiology and Medical Technology Assessment, CAPRI Research Institute, Maastricht University, Maastricht, the Netherlands.

(3) Professeur Ordinaire, Département de Santé Publique, d'Epidémiologie et d'Economie de la Santé, Faculté de Médecine, Université de Liège.

les technologies de santé (médicaments, dispositifs médicaux, programmes de dépistage ou de prévention, etc.) (2). L'évaluation économique ne constitue qu'une branche de l'HTA, mais une partie de plus en plus importante.

Ces dernières années, le nombre d'évaluations économiques a considérablement augmenté dans la littérature scientifique. On observe également une utilisation accrue des données économiques dans des prises de décisions de technologies de santé, et même une utilisation formelle dans de nombreux pays. Ainsi, en Belgique, les industries pharmaceutiques souhaitant introduire une «spécialité de la classe 1» (spécialités pharmaceutiques présentant une plus-value thérapeutique démontrée par rapport aux alternatives thérapeutiques existantes) doivent inclure une évaluation économique dans leur dossier de demande de remboursement et, ainsi, apporter la preuve de l'efficacité relative de leur médicament (3). On peut s'attendre à ce que ces exigences concernent également le secteur des dispositifs médicaux dans les prochaines années.

Le critère d'efficacité (à savoir un bon rapport coût-efficacité) est, de nos jours, considéré comme le quatrième obstacle au remboursement d'une technologie de santé (4). Les trois premiers critères (qualité, efficacité et sécurité) déterminent l'autorisation de mise sur le marché accordée par l'Agence Européenne du Médicament, et au-delà de ces critères, l'efficacité tend à occuper un rôle croissant dans les décisions de remboursement accordées par les autorités nationales compétentes.

EVALUATION ÉCONOMIQUE

Une évaluation économique complète compare les coûts et les conséquences de plusieurs actions de santé. Il existe quatre types d'évaluations économiques complètes, que l'on peut distinguer selon la manière de mesurer et d'évaluer leurs conséquences (tableau I) (5). L'analyse de minimisation des coûts compare des actions de santé présentant les mêmes conséquences. L'analyse coût-bénéfice relie les coûts et les conséquences d'actions de santé en unités monétaires. Elle évalue le bilan financier de chacune des stratégies et suggère celle qui présente le bilan le plus favorable. Bien que ce type d'évaluation semble attractif, l'estimation des conséquences d'une intervention en unités monétaires pose de nombreux problèmes et limite considérablement leur utilisation dans la pratique. L'analyse coût-efficacité (ACE) compare les coûts d'actions de santé à leurs conséquences exprimées en unités physiques, par exemple, en années de

TABLEAU I. TYPES D'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE

Méthode	Coûts	Conséquences
Analyse de minimisation des coûts	Unités monétaires (€)	Pas de différences
Analyse coût-bénéfice	Unités monétaires (€)	Unités monétaires (€)
Analyse coût-efficacité	Unités monétaires (€)	Unités physiques (années de vie gagnées, nombre de cancers dépistés, etc.)
Analyse coût-utilité	Unités monétaires (€)	Années de vies ajustées par la qualité (QALYs)

vie gagnées, en nombre de cancers dépistés ou en nombre de jours sans crise d'asthme. L'analyse coût-utilité (ACU) relie le coût d'actions de santé au nombre d'années de vie en bonne santé. Elle est souvent considérée comme un cas particulier de l'analyse coût-efficacité (6), où les résultats sont mesurés en années de vie gagnées ajustées par la qualité. En résumant l'efficacité en un indicateur synthétique comme le «Quality-Adjusted Life-Year» (QALY) ou le «Disability-Adjusted Life-Year» (DALY), cette technique offre l'avantage de capturer simultanément les gains de mortalité et de morbidité d'actions de santé. L'ACU s'avère très utile pour établir des priorités entre différentes pathologies.

Les coûts retenus dépendent de la perspective adoptée dans l'étude qui peut être envisagée d'un point de vue sociétal, du payeur des soins de santé, du patient ou encore de l'hôpital. Les perspectives les plus fréquemment rencontrées sont celles du payeur des soins de santé qui inclut les coûts directs médicaux comprenant les paiements issus du budget de santé publique et la participation des patients ainsi que la perspective sociétale qui y ajoute les coûts indirects et les coûts directs non médicaux.

RATIO COÛT-EFFICACITÉ DIFFÉRENTIEL

Les résultats de l'ACE (et de l'ACU) sont exprimés en termes de ratio coût-efficacité différentiel (en anglais, «Incremental Cost-Effectiveness Ratio», ICER) qui se définit comme le rapport entre la différence de coût entre deux alternatives et leur différence en termes d'efficacité. L'ICER représente le surcoût d'une stratégie par unité d'efficacité gagnée, comparé à son alternative. On estime donc un surcoût d'une action de santé, comparé à son alternative, par année de vie gagnée, un surcoût par nombre de cancers dépistés, ou encore un surcoût par QALY gagné. Les résultats de l'ACE peuvent être présentés graphiquement sur le plan de coût-efficacité (Fig. 1), où le différentiel d'efficacité

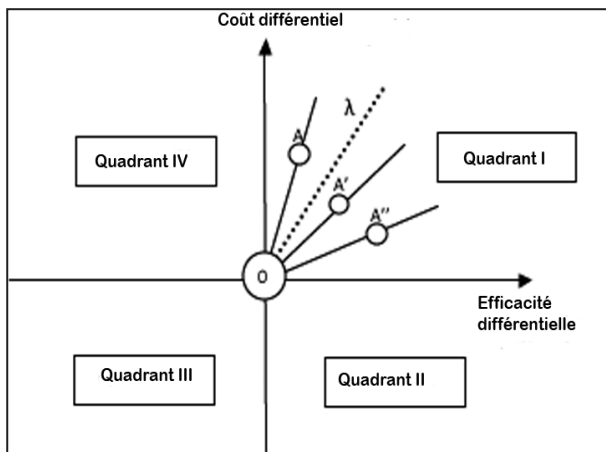


Figure 1. Plan de coût-efficacité

entre les alternatives est représenté en abscisse, le différentiel de coût en ordonnée et l'origine correspond au comparateur.

Le plan de coût-efficacité se décompose en quatre quadrants. Si la stratégie A se retrouve dans le quadrant II, elle est plus efficace et moins coûteuse que son alternative; elle est donc adoptée et dite «dominante». Dans le quadrant IV, la stratégie A s'avère plus coûteuse et moins efficace que la stratégie B, elle est donc rejetée et dite «dominée». La conclusion est moins évidente dans les quadrants I et III où la stratégie A s'avère soit plus efficace et plus coûteuse que la stratégie B (quadrant I), soit moins efficace et moins coûteuse (quadrant III). La valeur de l'ICER est égale à la pente de la droite reliant l'origine au point A. Le choix de la stratégie dépendra des ressources disponibles et de la propension sociétale à payer pour obtenir des bénéfices additionnels (en anglais, «Willingness To Pay», WTP), en d'autres termes, du montant que le décideur est prêt à payer par unité d'efficacité gagnée. Si la WTP est définie, la stratégie est recommandée lorsque l'ICER y est inférieur. Ainsi, dans notre exemple, les stratégies A' et A'' sont adoptées pour une WTP de λ au contraire de la stratégie A qui est rejetée.

La question de la valeur d'une année de vie en bonne santé se pose. En d'autres termes, quel montant maximum le décideur est-il prêt à payer par année de vie en bonne santé? Certains pays utilisent explicitement ou implicitement une valeur seuil pour le coût par QALY gagné d'actions de santé (7). Ainsi, au Royaume-Uni, le National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) considère que les stratégies dont le coût par QALY gagné est inférieur à £ 20.000 sont efficaces (c'est-à-dire qu'elles ont un bon rapport coût-efficacité) et que celles entre

£ 20.000 et £ 30.000 peuvent être qualifiées d'efficaces moyennant la présence de facteurs additionnels (8).

La détermination de valeurs seuils pour le ratio coût-efficacité d'actions de santé se heurte cependant à de nombreuses limites. Tout d'abord, il est arbitraire et éthiquement critiquable de déterminer une valeur seuil de l'ICER sur la base de laquelle une stratégie est adoptée ou rejetée. De plus, la décision d'adopter ou non une action de santé ne peut se limiter aux seuls résultats de l'évaluation économique. D'autres informations, telles que l'impact budgétaire, jouent un rôle important dans la prise de décision. En outre, la valeur seuil de l'ICER est susceptible de fluctuer dans le temps et de différer selon les ressources du pays. Finalement, le seuil de coût-efficacité pourrait également différer selon la sévérité de la pathologie étudiée et, notamment, l'importance vitale d'une action de santé. Pour toutes ces raisons, de nombreux pays, dont la Belgique, n'ont pas spécifié de valeurs seuils pour le rapport coût-efficacité des soins de santé (7). Cela ne peut cependant pas constituer un argument contre l'utilisation de l'évaluation économique dans la prise de décisions en santé. De nombreuses études internationales ont montré que les stratégies présentant un faible ICER ont une probabilité supérieure d'être adoptées que celles avec un ICER élevé (7).

MÉTHODES DE L'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE

Il existe deux approches principales pour mener une évaluation économique en santé : D'une part, l'évaluation économique couplée à un essai clinique (en anglais, «trial-based economic evaluation») et d'autre part, l'évaluation économique sur la base d'un modèle décisionnel.

La première méthode a pour objectif de collecter l'ensemble des coûts et des conséquences durant un essai clinique. Elle est associée à un niveau élevé de validité, mais présente plusieurs limitations. Tout d'abord, ce type d'analyse présente les limitations inhérentes aux essais cliniques, à savoir une comparaison par rapport au placebo, un environnement artificiel, des résultats intermédiaires, etc. (9). En outre, les patients ne sont suivis que pendant une période de temps limitée (10), alors que les effets d'un traitement peuvent perdurer au-delà de l'essai clinique. Cette méthode n'a, dès lors, que des applications limitées et ne peut apporter qu'un élément de réponse partiel à la prise de décision.

Les modèles décisionnels sont, quant à eux, de plus en plus utilisés pour mener des évalua-

tions économiques en santé. Dès que l'observation directe du phénomène n'est pas disponible et ne peut pas être réalisée, le recours à la modélisation s'impose (10). Un modèle décisionnel se définit par l'application de méthodes mathématiques pour synthétiser les informations disponibles relatives à un processus de santé et à ses implications (11). Cette méthode s'avère utile pour étendre les résultats d'un essai clinique sur une plus longue période, pour combiner plusieurs sources de données (cliniques, épidémiologiques et économiques) et ainsi répondre à des questions de santé publique par le biais de comparaisons indirectes avec des comparateurs plus pertinents et d'extrapolations à d'autres populations (12, 13). Elle peut également servir à simuler des scénarios et des hypothèses inédites et à orienter des stratégies de recherche.

La modélisation présente également des faiblesses. Un modèle, par définition, n'est qu'une représentation imparfaite du réel. Sa fiabilité dépend fortement de la capacité du modèle à traduire la complexité d'une pathologie et de ses implications. La modélisation peut ainsi être sujette à des erreurs de structure, à un excès de simplification et à de l'incertitude dans les données. Il est indispensable de développer des modèles représentant la complexité de la pathologie avec un niveau élevé de précision. De nombreuses guidances ont ainsi été développées pour améliorer la qualité, la transparence et l'harmonisation des évaluations économiques en santé (3).

FAIBLESSES ET ENJEUX DE L'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE

L'intérêt des évaluations économiques en santé ne semble plus faire aucun doute. Pourtant, leur utilisation dans le processus de décision de santé demeure, à l'heure actuelle, relativement limitée (14). Une enquête a été réalisée par le Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE) (7) afin d'étudier la place actuelle de l'évaluation économique dans la prise de décision en Belgique. Bien que des efforts pour rationaliser le processus de décision existent, celui-ci demeure un processus interactif délibératif et se base principalement sur la valeur thérapeutique du médicament (7). Il arrive que le rapport coût-efficacité des soins de santé soit pris en compte par la Commission de Remboursement des Médicaments mais plus rarement par le Conseil Technique des Implants. Pour ces deux organisations, l'évaluation économique s'avère en outre moins importante que l'impact budgétaire (7). Plus récemment, une analyse économétrique de

dossiers de remboursement soumis en Belgique entre 2002 et 2007 suggère que le rapport coût-efficacité, tout comme la valeur thérapeutique et l'impact budgétaire, affecte significativement la décision de rembourser ou non un médicament (15).

De nombreuses raisons peuvent expliquer l'importance relativement limitée accordée aux évaluations économiques en santé. Les décideurs politiques semblent tout d'abord avoir des difficultés quant au rôle à octroyer aux évaluations économiques, quant à la manière dont elles sont réalisées et quant à l'interprétation des résultats (16). Le manque de transparence et la faible qualité de certaines évaluations économiques constituent d'autres freins majeurs à leur utilisation dans le processus décisionnel.

L'incertitude inhérente à l'évaluation économique constitue une autre limitation importante. Les données sont parfois insuffisantes ou trop anciennes pour garantir une fiabilité élevée des résultats. L'incertitude peut également provenir des techniques d'estimation des paramètres et de modélisation. Il est dès lors indispensable de tester la robustesse des résultats et de quantifier et représenter leur incertitude par le biais de techniques statistiques appropriées (5). Les résultats des analyses de sensibilité sont probablement aussi importants que les résultats du cas de base (16).

Il convient également de s'interroger sur la transférabilité des résultats des évaluations économiques entre pays et sur la nécessité de mener de telles études en Belgique alors qu'elles sont parfois disponibles dans d'autres pays. La transférabilité des résultats des évaluations économiques entre les pays demeure incertaine. De nombreux facteurs peuvent expliquer des différences de l'ICER parmi lesquels des facteurs démographiques et épidémiologiques, la disponibilité des ressources de santé et les variations des pratiques cliniques, les prix et les coûts relatifs ou encore la propension à investir par unité d'efficacité (6, 17). Par conséquent, l'évaluation économique devrait être propre à chaque pays et recourir au maximum de données locales.

CONCLUSION

Les progrès de la médecine et l'allongement de l'espérance de vie ont indirectement contribué au développement de maladies chroniques complexes. Ces maladies sont responsables, du moins en partie, de la hausse des dépenses de santé publique, qui pose de nouveaux défis à notre système de sécurité sociale. En évaluant la rentabilité relative d'interventions de santé,

l'évaluation économique des technologies de santé s'avère un outil très intéressant pour rationaliser l'allocation des ressources disponibles afin de maintenir un système de soins de santé de qualité et accessible à tous. On observe ainsi, ces dernières années, une utilisation accrue de l'évaluation économique dans la prise de décisions de santé publique.

L'évaluation économique ne constitue toutefois qu'un élément de la décision et de nombreux autres facteurs doivent être pris en considération tels que la sévérité de la maladie, l'impact social du traitement, les implications financières pour le gouvernement, l'absence ou l'inadéquation de traitements alternatifs ou encore des objectifs d'équité. En apportant une dimension supplémentaire et complémentaire, l'évaluation économique permet toutefois une décision plus éclairée et ainsi, probablement, meilleure.

BIBLIOGRAPHIE

1. Banta D, Jonsson E.— History of HTA : introduction. *Int J Technol Assess Health Care*, 2009, **25**, 1-6.
2. INAHTA.— International Network of Agencies for HTA. <http://inahta.episerverhotell.net/HTA/>.
3. Cleemput I, van Wilder P, Huybrechts M, et al.— Belgian methodological guidelines for pharmacoeconomic evaluations : toward standardization of drug reimbursement requests. *Value Health*, 2009, **12**, 441-449.
4. Taylor RS, Drummond MF, Salkeld G, et al.— Inclusion of cost effectiveness in licensing requirements of new drugs : the fourth hurdle. *BMJ*, 2004, **329**, 972-975.
5. Briggs A, Claxton K, Sculpher M.— Decision modeling for health economic evaluation, 2nd edition. New-York. Oxford University Press. 2007.
6. Drummond M, Sculpher M, Torrance G, et al.— Methods for the economic evaluation of health care programmes, 3th edition. New-York. Oxford University Press. 2007.
7. Cleemput I, Neyt M, Thiry N, et al.— Valeurs seuils pour le rapport coût-efficacité en soins de santé. Health Technology Assessment (HTA). Bruxelles. Centre fédéral d'expertise des soins de santé (KCE);2008. KCE Reports, 100B (D/2008/10.273/95), 2008.
8. Raftery J.— NICE. faster access to modern treatments? Analysis of guidance on health technologies. *BMJ*, 2001, **323**, 1300-1303.
9. Soto J.— Health economic evaluations using decision analytic modeling. Principles and practices--utilization of a checklist to their development and appraisal. *Int J Technol Assess Health Care*, 2002, **18**, 94-111.
10. Sheldon TA.— Problems of using modelling in the economic evaluation of health care. *Health Econ*, 1996, **5**, 1-11.
11. Decision analytic modelling in the economic evaluation of health technologies. A consensus statement. Consensus Conference on Guidelines on Economic Modelling in Health Technology Assessment. *Pharmacoeconomics*, 2000, **17**, 443-444.
12. Brennan A, Akehurst R.— Modelling in health economic evaluation. What is its place? What is its value? *Pharmacoeconomics*, 2000, **17**, 445-459.
13. O'Brien B.— Economic evaluation of pharmaceuticals. Frankenstein's monster or vampire of trials? *Med Care*, 1996, **34**, DS99-108.
14. Hoffmann C, Graf von der Schulenburg JM.— The influence of economic evaluation studies on decision making. A European survey. The EUROMET group. *Health Policy*, 2000, **52**, 179-192.
15. Bormans V, Van Wilder P.— Effectiveness, efficiency and budget impact affect the Belgian drug reimbursement decision. ISPOR 14th Annual European Congress Madrid. Spain. November 2011.
16. Annemans L.— L'économie de la santé pour les non économistes. Une introduction aux notions, aux méthodes et aux écueils de l'évaluation économique en santé. Gent. Academia Press, 2008.
17. Drummond M, Barbieri M, Cook J, et al.— Transferability of economic evaluations across jurisdictions : ISPOR good research practices task force report. *Value Health*, 2009, **12**, 409-418.

Les demandes de tirés à part sont à adresser au Dr M. Hiligsmann, Département de Santé Publique, d'Epidémiologie et d'Economie de la Santé, Université de Liège, Avenue de l'hôpital n°3, Bat B23, 4000 Liège, Belgique.
E-mail: m.hiligsmann@ulg.ac.be