

Réaliser une étude médico-économique : les questions à se poser

Claire HASSEN-KHODJA & Dr Solène BRUNET-HOUDARD

➤ VOUS SOUHAITEZ RÉALISER UNE ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE ?

Voici un guide vous permettant de **vous poser les bonnes questions** avant d'entreprendre une étude de ce type.

Il se veut une **aide initiale dans votre réflexion**. Le CHRU de Tours dispose d'une **Unité d'Évaluation Médico-Économique (UEME)** disponible pour vous accompagner plus loin dans votre projet. N'hésitez pas à la solliciter.

➤ QUEL EST L'OBJECTIF DE L'ÉTUDE ?

« Je veux mesurer le coût d'un parcours de soins ou d'une stratégie thérapeutique. »

➤➤➤ Une étude qui n'est pas comparative et qui ne s'intéresse qu'aux coûts est une **étude « coût de la maladie »**.

« Je veux mesurer le coût de plusieurs stratégies thérapeutiques pour rechercher la moins chère. »

➤➤➤ Une étude comparative des coûts d'au moins 2 stratégies est une **analyse des coûts**.

« Je veux mesurer le rapport coût-efficacité (efficience) d'une nouvelle stratégie (N) par rapport à une stratégie de référence (R). »

➤➤➤ Une étude comparative des coûts et de l'efficacité d'au moins 2 stratégies est une **évaluation médico-économique (EME)**. L'efficience s'évalue grâce à un **Ratio Différentiel Coût-Résultat** (RDCR ou ICER = $\Delta C/\Delta R$).

« Je veux mesurer l'impact d'une nouvelle stratégie thérapeutique. »

➤➤➤ S'il ne s'agit que de mesurer l'impact économique d'une nouvelle stratégie, on fera une **analyse d'impact budgétaire (AIB)**. Logiquement réalisée après une EME, l'AIB évalue les conséquences financières à moyen terme pour un payeur de la diffusion d'une stratégie efficiente, en formulant un certain nombre d'hypothèses.

➤➤➤ Si l'impact intègre aussi d'autres dimensions (stratégique, organisationnelle, patient...), une **évaluation de technologie de santé (ETS)**, sera plus pertinente. Basée sur une revue de la littérature, elle permet d'aider à la décision concernant la diffusion d'une stratégie.

➤ QUELLES STRATÉGIES CONSIDÉRER ?

➤➤➤ Une ou plusieurs nouvelle(s) stratégie(s).

L'évaluation économique s'intéresse principalement aux **stratégies de santé innovantes**, c'est-à-dire :

- en première phase de diffusion
- possédant une **AMM** ou un **marquage CE**
- dont **l'efficacité et la sécurité ont été validées** par une étape de recherche clinique (publications de bon niveau).

➤➤➤ Une ou plusieurs stratégie(s) de référence

Une EME est comparative. On sélectionnera, le cas échéant toutes les stratégies faisant consensus. Il peut aussi s'agir de la stratégie **« ne rien faire »** si aucune stratégie n'existait jusqu'alors.

➤ QUELLE EST LA PATHOLOGIE CONCERNÉE ?

➤➤➤ Avant de prolonger votre réflexion, il est important d'avoir une **idée précise et actualisée** sur :

- les dernières publications sur la pathologie/les stratégies et les critères d'évaluation utilisés,
- la prévalence et l'incidence de la pathologie, la file active de patients éligibles.
- l'existence d'un registre de données et son contenu.

Le recours à la modélisation peut permettre de simplifier le recueil des données, notamment lorsque :

- le nombre de patients pouvant être recrutés est faible,
- on souhaite extrapoler les résultats à une population plus large,
- l'impact de la stratégie n'est visible qu'à long terme.

➤ QUELS PEUVENT ÊTRE LES IMPACTS DE LA STRATÉGIE ?

« La stratégie a/peut avoir un impact important sur la qualité de vie (QDV) des patients. »

>>> Il est alors préférable de considérer le **QALY** comme critère de résultat. L'EME sera une **analyse coût-utilité** (recommandée par la HAS en analyse principale).

- Les **QALYs** permettent de mesurer le nombre d'années de vie gagnées en bonne santé.
- Ils peuvent être mesurés à l'aide de questionnaires de QDV validés en population française : EuroQol EQ-5D (5 dimensions : mobilité, autonomie, activités courantes, douleur/ gêne et anxiété/dépression) ou Health Utility Index HUI2 et HUI3 : 6 à 8 dimensions de 5 à 6 niveaux).

« La stratégie n'a pas d'impact sur la QDV ou aucune donnée sur la QDV n'est disponible. »

>>> L'EME sera une **analyse coût-efficacité**. La HAS recommande alors d'utiliser la **durée de vie** comme critère d'efficacité. Si ce critère n'est pas disponible, un autre critère de résultat peut être utilisé (critère clinique, biologique, d'imagerie, d'anatomopathologie...). Un critère prédictif de la durée de vie sera privilégié.

>>> Le recueil des données d'efficacité ou d'utilité peut être obtenu à l'aide d'un **cahier d'observation (CRF)** ou de la **littérature**.

➤ QUELLE EST LA DUREE DE L'IMPACT DE LA STRATEGIE ? DUREE DE SUIVI DES PATIENTS ?

>>> La durée d'une EME est appelée **horizon temporel**. L'efficacité est évaluée au terme de cet horizon temporel (et éventuellement de façon répétée au milieu), les coûts sont évalués tout au long de cet horizon temporel.

Son choix doit donc être pertinent pour l'évaluation de l'efficacité et des coûts, et tenir compte des contraintes temporelles et budgétaires de l'étude en sachant qu'une modélisation peut être envisagée.

➤ QUEL EST LE PARCOURS DE SOINS DES PATIENTS ?

Dans une EME, on s'attachera à l'observation du parcours de soins des patients en vie réelle (à la différence des essais contrôlés randomisés).

>>> Le parcours inclut-il des soins hospitaliers (MCO, HAD, SSR, Psy, HDJ, consultation externe) ? Des soins de ville (médical, paramédical, examens, médicaments) ? Des arrêts de travail ? Des transports ?

>>> Les consommations de soins diffèrent-elles entre les stratégies étudiées ?

>>> Le système de tarification actuel permet-il d'approcher la différence de coût attendue entre les stratégies ? Ex : un DM utilisé au bloc opératoire dont l'utilisation ne change pas le codage PMSI et donc ne change pas le GHS.

Les consommations de soins hospitaliers peuvent être recueillies à l'aide d'un **CRF** ou de **bases de données** (PMSI, ENC). Il est possible de faire une demande d'accès aux données du **SNDS** (soins ambulatoires) mais le délai d'accès à ces données est assez long.

Dans une EME, il n'est pas utile de recueillir les coûts dont l'impact économique est mineur (préférer les **cost-drivers**, qui pèsent davantage sur les dépenses) ni les coûts qui sont identiques dans les deux bras puisque le RDCR s'intéresse à la différence des coûts entre les stratégies.

Deux approches pour le recueil des données économiques :

1. **Gross-costing** : valorisation des consommations de soins de façon globale par les tarifs (GHS...) ;
2. **Micro-costing** : observation détaillée et addition de toutes les ressources utilisées pour reconstituer le coût global (*intéressant en cas de forte variabilité des coûts, non reflétée par les tarifs*).

➤ POUR QUI VOULEZ-VOUS FAIRE CETTE ETUDE ?

>>> Toute étude économique nécessite de définir un **point de vue ou perspective**. Il s'agit de l'acteur pour qui les coûts sont valorisés.

Si l'objectif de l'étude est de définir un tarif de remboursement d'une nouvelle stratégie, alors on choisira le point de vue de l'**Assurance-maladie**. Si l'impact est plus local, on préférera considérer le point de vue de l'**hôpital**. On peut également envisager le point de vue du **patient**, le point de vue **collectif** ou encore plus largement le point de vue **sociétal** (i.e. tous les acteurs).

➤ DANS QUEL CADRE S'INSCRIT CETTE ETUDE ?

>>> Les évaluations économiques peuvent être réalisées à différentes échelles : **locale, régionale et nationale**

A l'échelle nationale, la DGOS et l'INCa proposent de financer ce type d'études dans le cadre de différents appels d'offre : Programme de Recherche Médico-Economique (**PRME**) ; Programme Hospitalier de recherche clinique (**PHRC**) ; Programme de recherche sur la performance du système des soins (**PREPS**).

➤ REFERENCES

- Drummond MF. Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes. Fourth Edition. Oxford University Press. 2015
- HAS, Guide méthodologique : Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS, Octobre 2011

➤ CONTACTS DE L'UEME

☎ 02.18.37.08.97 ✉ ueme@chu-tours.fr

Dr Solène BRUNET-HOUDARD, responsable
Mme Fanny MONMOUSSEAU, économiste
Pr Emmanuel RUSCH, expert scientifique