ETUDES MÉDICO-ÉCONOMIQUES

UE MRCE

10/04/2025

« Ma question préférée : qu'est-ce j'vais faire de tout cet oseille ? »

Booba, 2012

Principe

- Ressources limitées

→ Les évaluations médico-économiques (EME) s'inscrivent dans une optique de ressources limitées où il faut faire des choix

→ Elles ne permettent donc pas d'argumenter le fait qu'il faut pas allouer plus de ressources

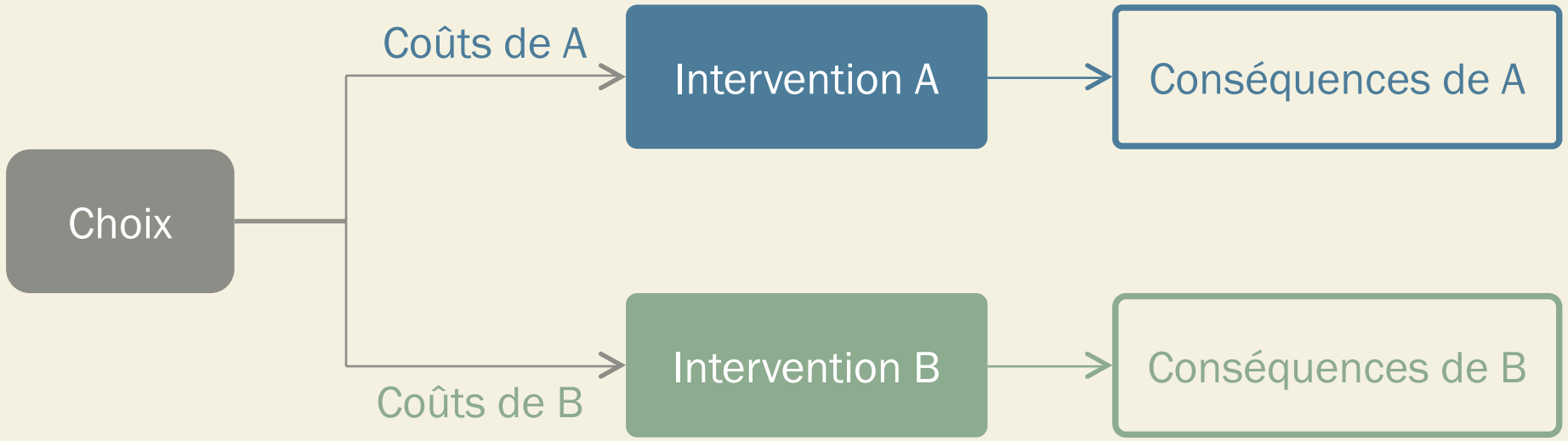
→ Cette intervention vaut-elle la peine d'être mise en place au regard des autres interventions pouvant être mise en place avec les mêmes ressources ?

→ Souhaite-t-on que les ressources nécessaires à cette intervention soit dépensées ainsi plutôt qu'autrement ?

- Notion **de coût d'opportunité**
- Niveau de décision : populationnel (pas clinique)

Principe

Objectif de l'EME : comparer l'efficacité d'interventions en santé au regard de leur coût et de leurs conséquences



Exemple 1

Imaginons un essai clinique, les patients sont suivis sur 5 ans, on compare deux traitements, A et B.

Traitement	Survie moyenne	Coût moyen par patient
A	2,5 ans	200 000 €
B	4,8 ans	2 000 €

Quel traitement choisiriez-vous ?

Exemple 2

Et ici ?

Traitement	Survie moyenne	Coût moyen par patient
A	2,5 ans	200 000 €
B	4,8 ans	201 000 €

Exemple 3

Et ici ?

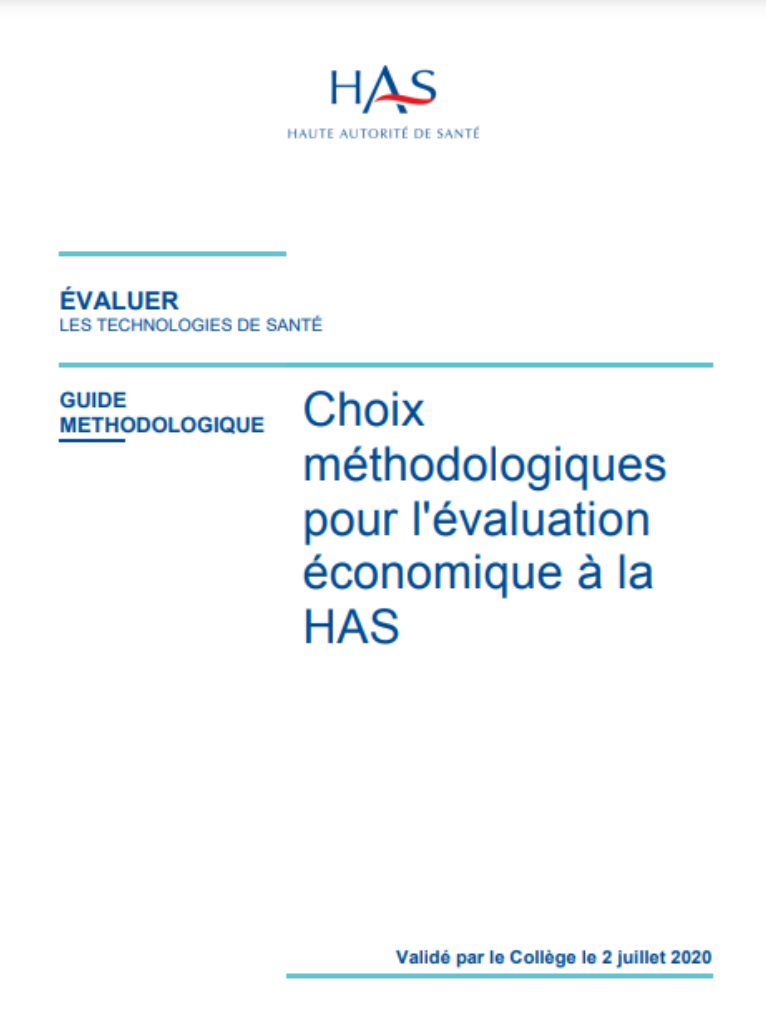
Traitement	Survie moyenne	Coût moyen par patient
A	2,5 ans	200 000 €
B	4,8 ans	800 000 €

→ Règles de décision ?

Principe

		Gain en santé	
		A > B	B > A
Coût	A < B	Choix de A	?
	B < A	?	Choix de B

Etapes de réalisation



→ « L'analyse de référence identifie toutes les interventions cliniquement pertinentes dans la population d'analyse.

→ Les arguments pour inclure ou exclure une intervention dans l'analyse de référence sont explicités.

→ L'interprétation des résultats de l'évaluation tient compte du degré d'exhaustivité des comparateurs retenus. Considérant qu'évaluer l'efficience implique de prendre en compte l'ensemble des comparateurs, le risque d'exclure une intervention susceptible d'être située sur la frontière d'efficience et ses conséquences sont discutés. »

- Choix du type d'étude médico-économique
- Choix des comparateurs
- Choix de la pop d'analyse
- Identification des coûts
- Choix de la perspective
- Choix de l'horizon temporel

DESIGN

Types d'analyses médico-économiques

Type	Mesure du coût	Mesure du gain en santé	Synthèse entre coût et gain
Minimisation de coûts	Unité monétaire	Sans	Coût incrémental
Coût-bénéfice	Unité monétaire	Valeur monétaire du bénéfice gagné	Bénéfice net gagné
Coût-efficacité (ACE)	Unité monétaire	Unités « physiques »	Coût incrémental par unité gagnée
Coût-utilité (ACU)	Unité monétaire	Utilité gagnée	Coût incrémental par utilité gagnée

Qualité de vie impactée par les interventions → ACU
Qualité de vie peu impactée par les interventions → ACE

Deux approches

Trial-based study

- → Utilisation des données individuelles (de chaque patient) d'un essai clinique
- → Ou d'une méta-analyse

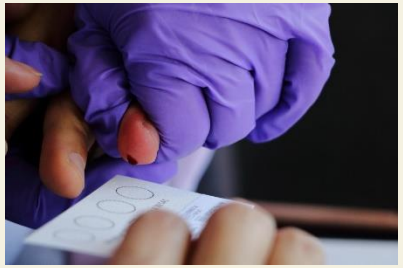
Model-based study

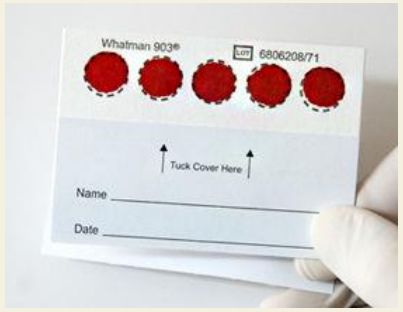
- → Simulation (repose donc sur des hypothèses)
- → Utilise des données issues de plusieurs sources (revue systématique de la littérature)

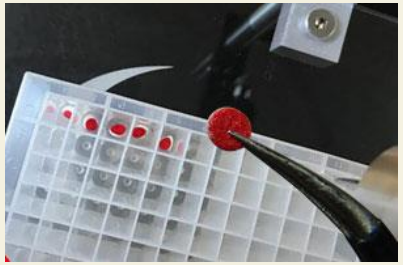
Model-based study

- → Nombreux nouveaux tests et modes de prélèvement disponibles, chacun avec leurs avantages et inconvénients (décentralisation, coût, facilité, acceptabilité, validité…)
- → Offraient une grande variété de stratégies possibles pour la mise en place à grande échelle du diagnostic de l'hépatite C
- → Mise en place d'une EME pour comparer ces différentes stratégies

Exemple : diagnostic de l'hépatite C chronique en Afrique de l'Ouest et Centrale

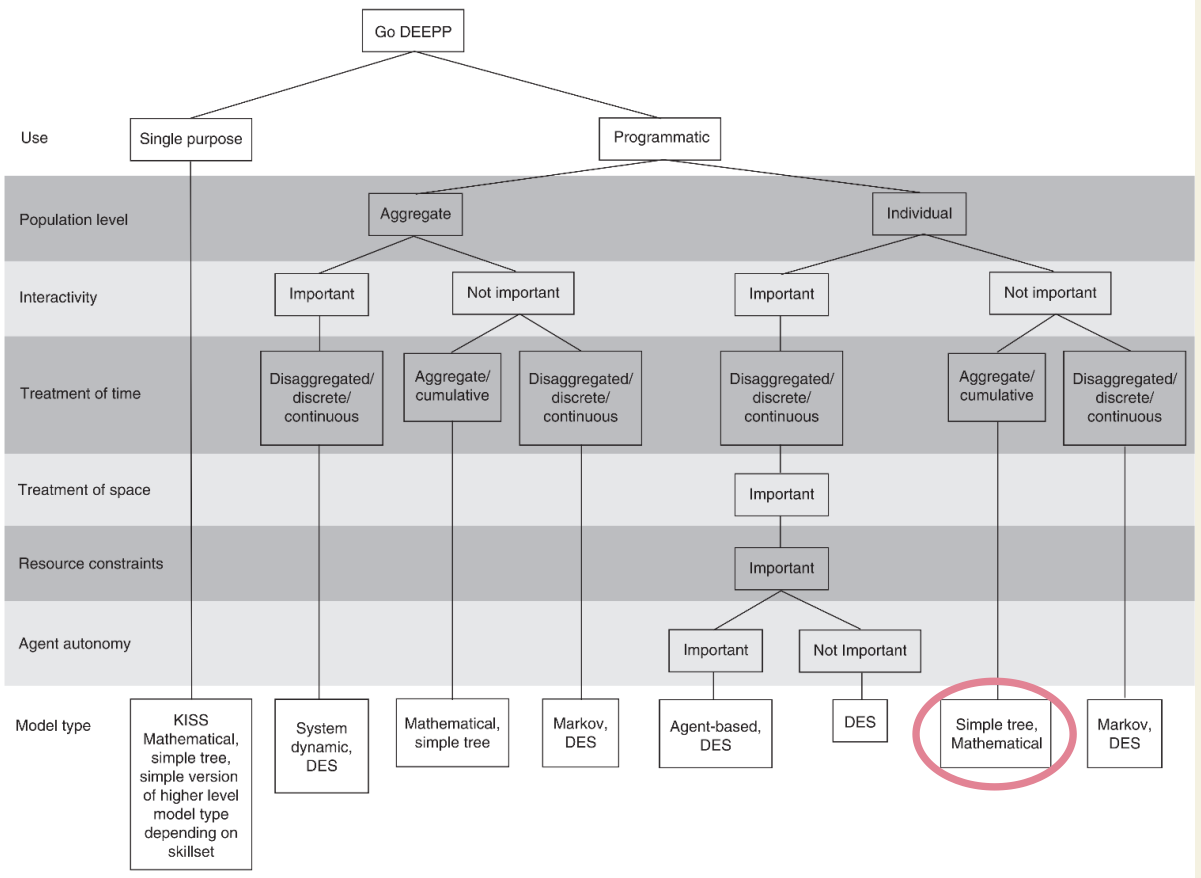






Model-based study

Choix du modèle



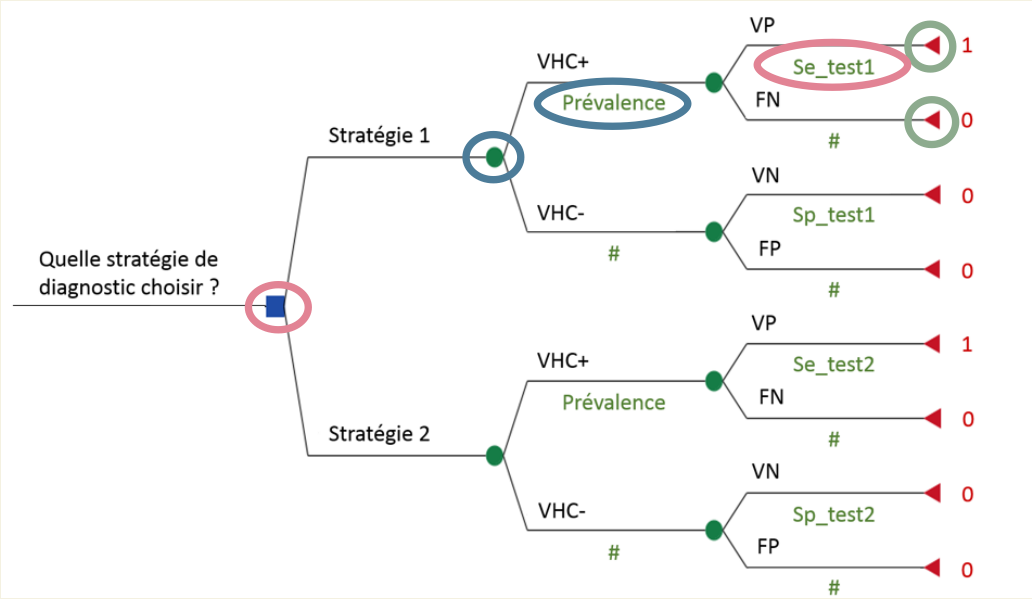
Source : Stahl, Pharmacoeconomics, 2008

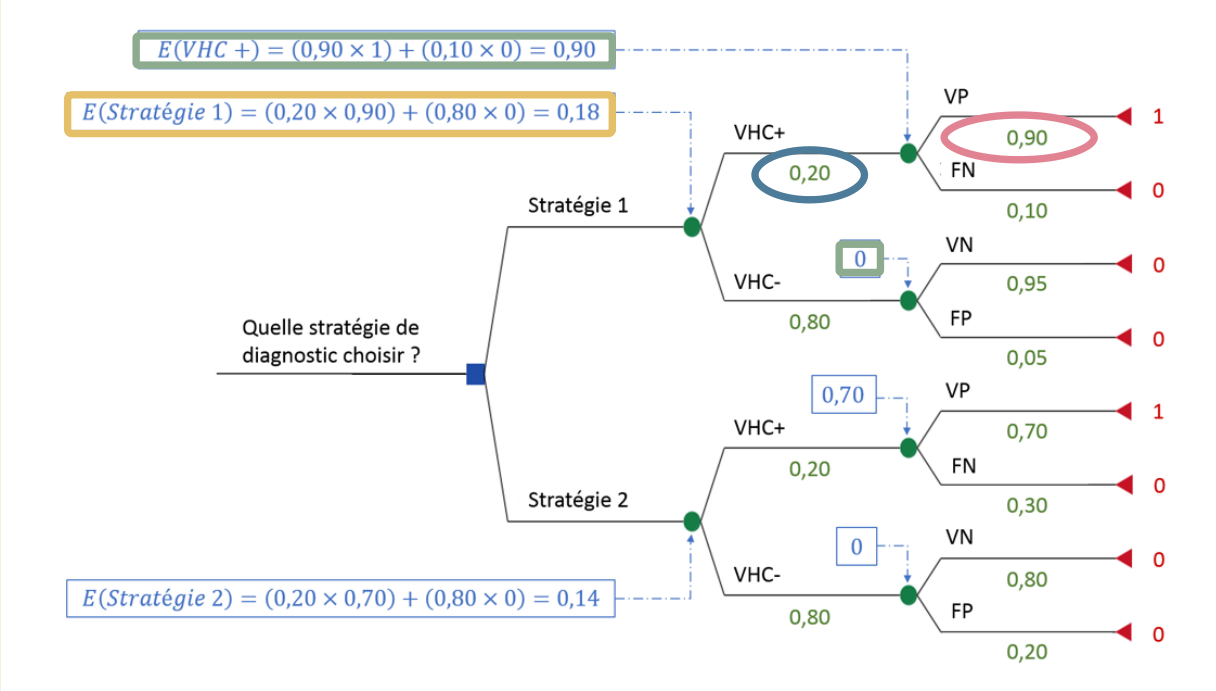
Dans le cadre de l'exemple, choix d'avoir recours à un arbre de décision

Model-based study

Arbre de décision

Exemple simplifié d'arbre de décision :





Ensemble des **paramètres** servant à la modélisation

Scénario de base (de référence) : 1ère simulation réalisée, correspondant aux valeurs que l'on suppose comme vraies pour les paramètres de la modélisation

→ Afin de prendre en compte l'incertitude liée à l'estimation de la valeurs de ces paramètres, cette analyse est complétée par des **analyses de sensibilité** dans lesquelles on fait varier ces valeurs et on étudie comment cela modifie les résultats par rapport à ceux du scénario de base (colonne « range considered » et « distribution type »)

Référence sur laquelle on se base pour définir la valeur du scénario de référence pour chaque paramètre (littérature ou alors hypothèse générée avec des experts)

Variables	Base case	Range considered (sensitivity analyses)	Distribution type (PSA)	Reference
Health outcome and setting, %				
HCV seroprevalence	0.039	0.01–0.60	Triangular	[27]
HCV clearance rate	0.30	†	†	[28]
Screening uptake rate of centralized strategies	1	0.05–0.60	†	Assumption
Screening uptake rate of decentralized strategies	1	0.30–0.80	†	Assumption
Lost-to-follow-up testing rate between the first- and second-line tests for strategies using a venepuncture-based laboratory test to confirm viraemia	0	0–0.50	Triangular	Assumption
Test performance, %				
Sensitivity				
Laboratory HCV-Ab test on serum samples	0.995	0.930–1.000	Triangular	Product insert§
Laboratory HCV-Ab test on DBS	0.974	0.943–0.988	Triangular	[29]
HCV-Ab POC test	0.995	0.989–0.998	Triangular	[30]
Laboratory HCV-RNA test on serum samples	0.999	0.995–1.000	Triangular	Product insert¶
Laboratory HCV-RNA test on DBS	0.980	0.950–0.990	Triangular	[9]
HCV-RNA POC test	0.955	0.845–0.994	Triangular	[31]
Laboratory HCV-cAg test on serum samples	0.934	0.901–0.964	Triangular	[6]
Laboratory HCV-cAg test in laboratory on DBS	0.767	0.667–0.850	Triangular	[11]
Specificity				
Laboratory HCV-Ab test on serum samples	0.990	0.930–1.000	Triangular	Product insert§
Laboratory HCV-Ab test on DBS	0.996	0.985–0.999	Triangular	[29]
HCV-Ab POC test	0.998	0.996–0.999	Triangular	[30]
Laboratory HCV-RNA test on serum samples	0.997	0.990–1.000	Triangular	Product insert¶
Laboratory HCV-RNA test on DBS	0.980	0.950–0.990	Triangular	[9]
HCV-RNA POC test	0.981	0.934–0.998	Triangular	[31]
Laboratory HCV-cAg test on serum samples	0.988	0.974–0.995	Triangular	[6]
Laboratory HCV-cAg test on DBS	0.973	0.840–1.000	Triangular	[11]
Costs, €				
Laboratory HCV-Ab test	17.5	14–23	‡‡	‡‡
HCV-Ab POC test	7.6	+/- 50%	Normal	‡‡
Laboratory HCV-RNA test	69.9	45–95	§§	‡‡
HCV-RNA POC cartridge	13.68	9.88–13.68	Triangular	[32]
Healthcare worker time for HCV-RNA POC test	0.6	0.4–0.8	Triangular	‡‡
Laboratory HCV-cAg test	34.3	22–46	¶¶	‡‡
DBS sampling	2.9	+/- 50%	Normal	‡‡
DBS transportation from POC to laboratory	3	+/- 50%	Normal	‡‡

LES COÛTS

Etapes d'évaluation des coûts

Coût :

→ contrepartie monétaire des ressources mobilisées dans la production d'un bien ou d'un service

→ volume de ressources x Coût unitaire (valorisation)

Exemple

Stratégie de diagnostic reposant :

1. un test point-of-care (POC) de détection des anticorps,
2. un test ARN (PCR)

Test POC :

- Lieu : centre de santé de proximité
- Durée : environ 30 minutes.

PCR :

- Lieu : laboratoire d'analyse central de la ville pour réaliser un prélèvement sanguin
- Durée moyenne d'attente au laboratoire : 2h

Quelles ressources inclure dans l'analyse ?

Perspective

= « point de vue »

→ Qui sont les **destinataires** de l'étude ? (Attention destinataire de l'étude ≠ **bénéficiaire** de l'intervention)

Sociétale

Prestataire de soins

Payeur

Perspective

Une consultation chez le médecin généraliste : tarif conventionnel de 25 €

Perspective	Coût (€)
Assurance Maladie	17,5
Patient	1
Collective	24
Sociétale	25

Typologie des coûts

→ Les coûts à inclure dans une étude dépendent de la **perspective** considérée

Perspective système de santé

Perspective sociétale

Directs

- Hospitalisation
- Dispositif médical
- Transport
- …

Indirects

- Temps des aidants
- Perte de productivité
- Altération QdV
- …

= ressources **directement** mobilisées pour produire le traitement / l'intervention

Horizon temporel

= Sur quelle période de temps évalue-t-on les coûts (et le gain en santé) ?

Recommandation : suffisamment long pour évaluer les effets des différentes interventions sur les résultats de santé

- → Idéalement : horizon temporel = durée de la maladie ou du traitement évalué

Maladie chronique : potentiellement la vie entière du patient

- → Etudes à long terme difficile et couteuse à mettre en place
- → Modélisation conseillée ++

Valoriser les ressources

- Echelle nationale des coûts
- Si on ne connait pas les coûts, utiliser les tarifs :
  - Classification Commune des Actes Médicaux
  - Base des médicaments et informations tarifaires
- Micro-costing

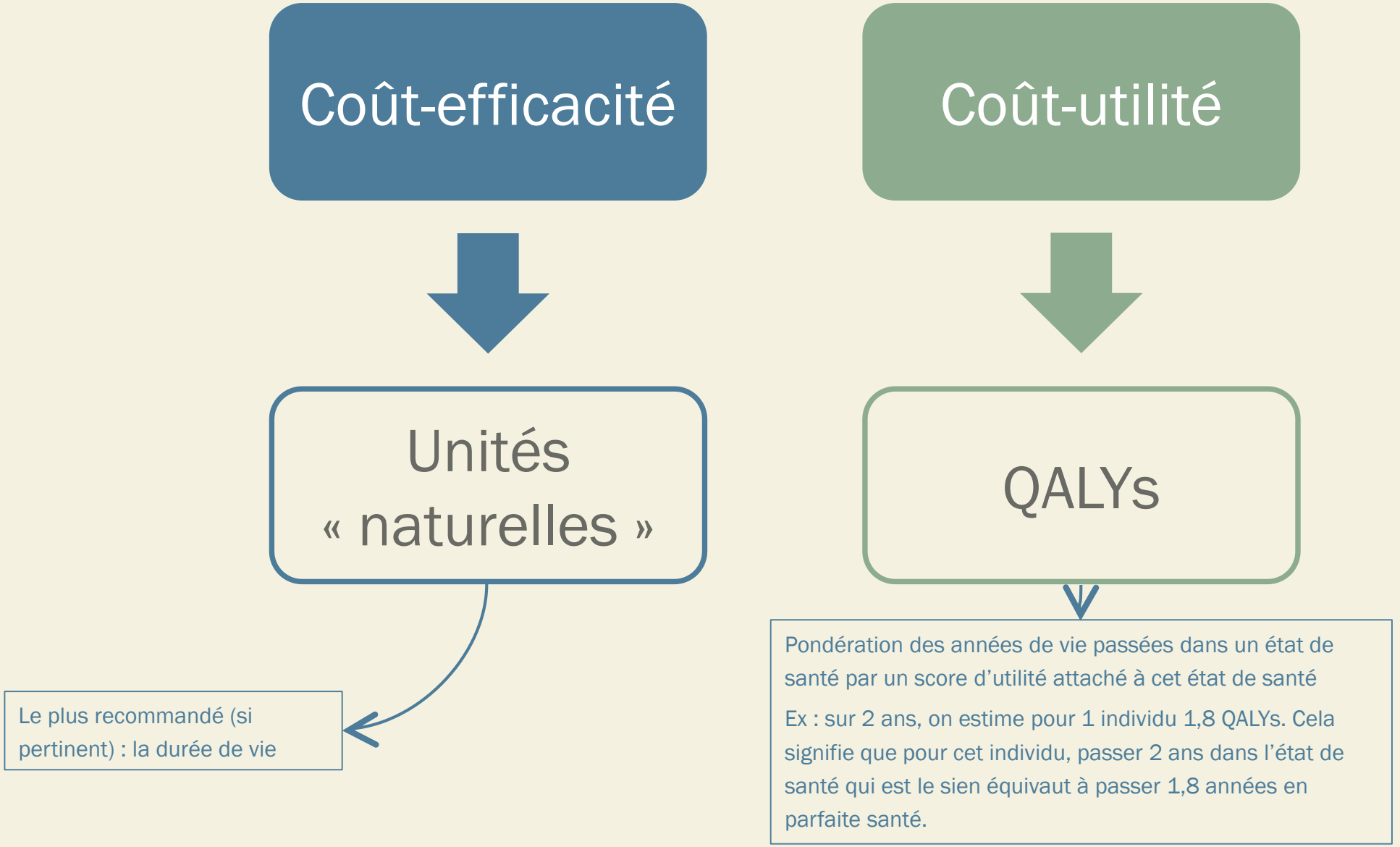
Exemple

Stratégie	Coût / personne dépistée (€)
S_5 : Ab_POC → RNA_POC	8,18
S_3 : Ab_POC → RNA_lab_Ven	10,45
S_{ref} : Ab_lab_Ven → RNA_lab_Ven	20,88

GAIN EN SANTÉ

Gain en santé

- Comment les évaluer ?

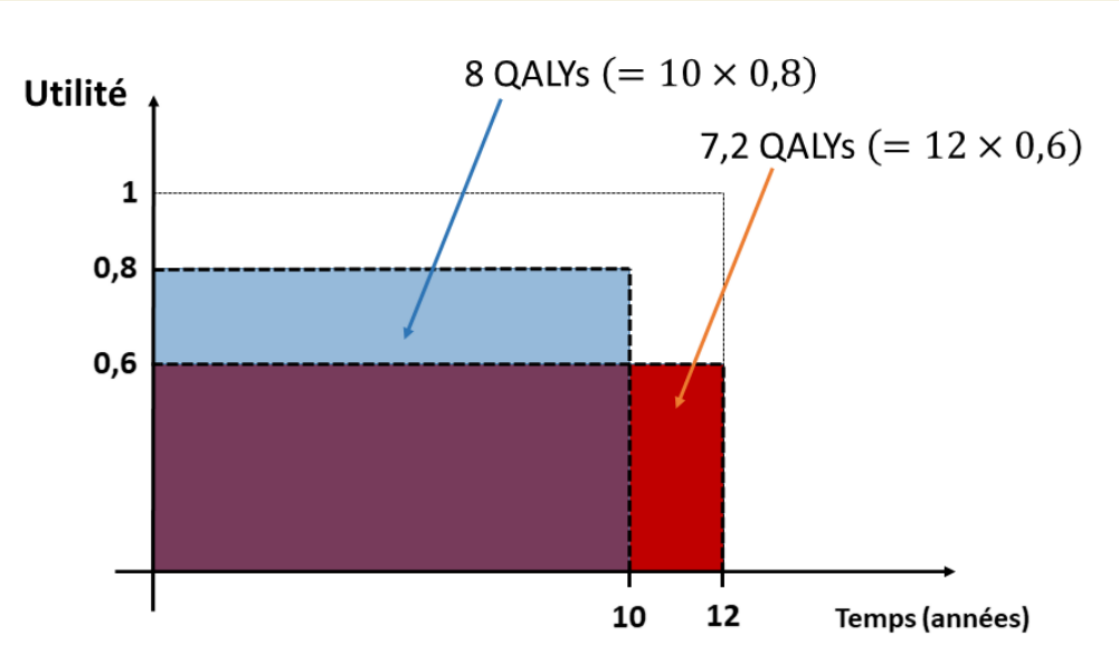

Coût-efficacité
Coût-utilité
Unités « naturelles »
QALYs
Le plus recommandé (si pertinent) : la durée de vie
Pondération des années de vie passées dans un état de santé par un score d'utilité attaché à cet état de santé
Ex : sur 2 ans, on estime pour 1 individu 1,8 QALYs. Cela signifie que pour cet individu, passer 2 ans dans l'état de santé qui est le sien équivaut à passer 1,8 années en parfaite santé.

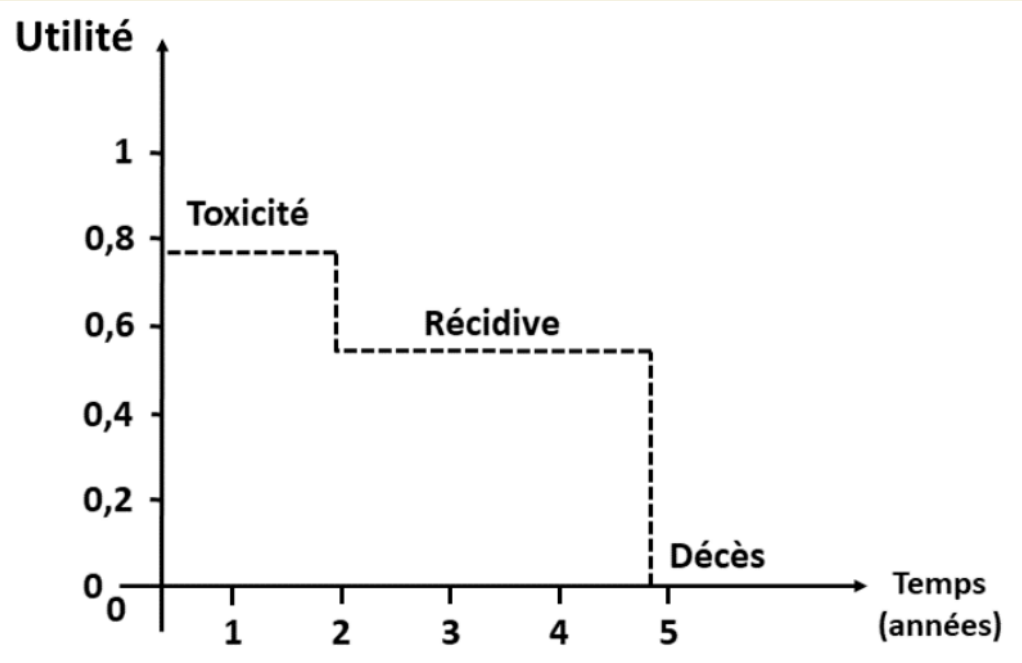
Coût-efficacité

Exemple

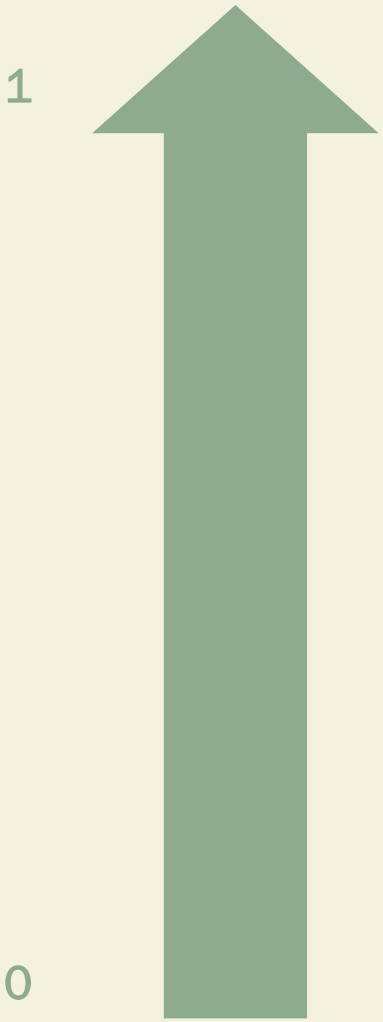
Stratégie	Nombre de vrais positifs/ 10 000 personnes dépistées	Diagnostic correct (%)	Sensibilité des stratégies (%)	Spécificité des stratégies (%)
S_5 : Ab_POC → RNA_POC	259	99,84	95,02	99,97
S_3 : Ab_POC → RNA_lab_Ven	271	99,98	99,40	99,99
S_{ref} : Ab_lab_Ven → RNA_lab_Ven	271	99,98	99,40	99,99

QALYs


8 QALYs (= 10 × 0,8)
7,2 QALYs (= 12 × 0,6)
Utilité
1
0,8
0,6
10
12
Temps (années)


Utilité
1
0,8
0,6
0,4
0,2
0
0
Toxicité
Récidive
Décès
1
2
3
4
5
Temps
(années)

Utilité



- **Jugement de valeur** porté par les individus sur un état de santé
- Perception **subjective**, qui varie d'un contexte à l'autre

Utilité

- Repose sur l'idée que face à 2 choix, on prendra le choix qui a la plus grande valeur d'utilité.

  → Notion centrale en économie car l'utilité est vue comme la métrique qui permet de révéler les préférences des individus

- Cependant 2 hypothèses très fortes qui ne tiennent pas totalement en pratique :

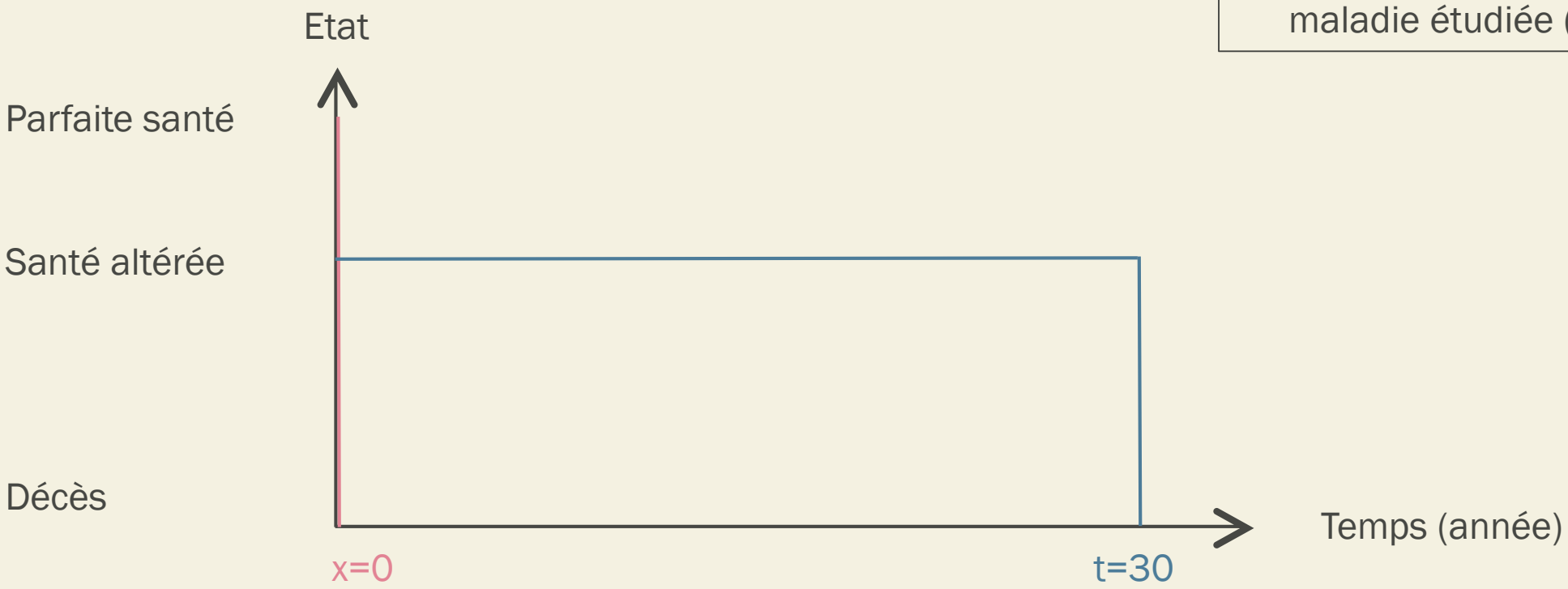
  - le jugement que l'on porte sur les choix que l'on prend peut forcément se ramener à quelque chose d'unidimensionnel (on déciderait en ramenant tout à une seule valeur et non pas en évaluant un profil de plusieurs éléments de façon multidimensionnelle) ;
  - on est en permanence en capacité de prendre des décisions rationnelles et autonomes qui maximisent notre bien-être

Utilité

Comment l'estimer ?

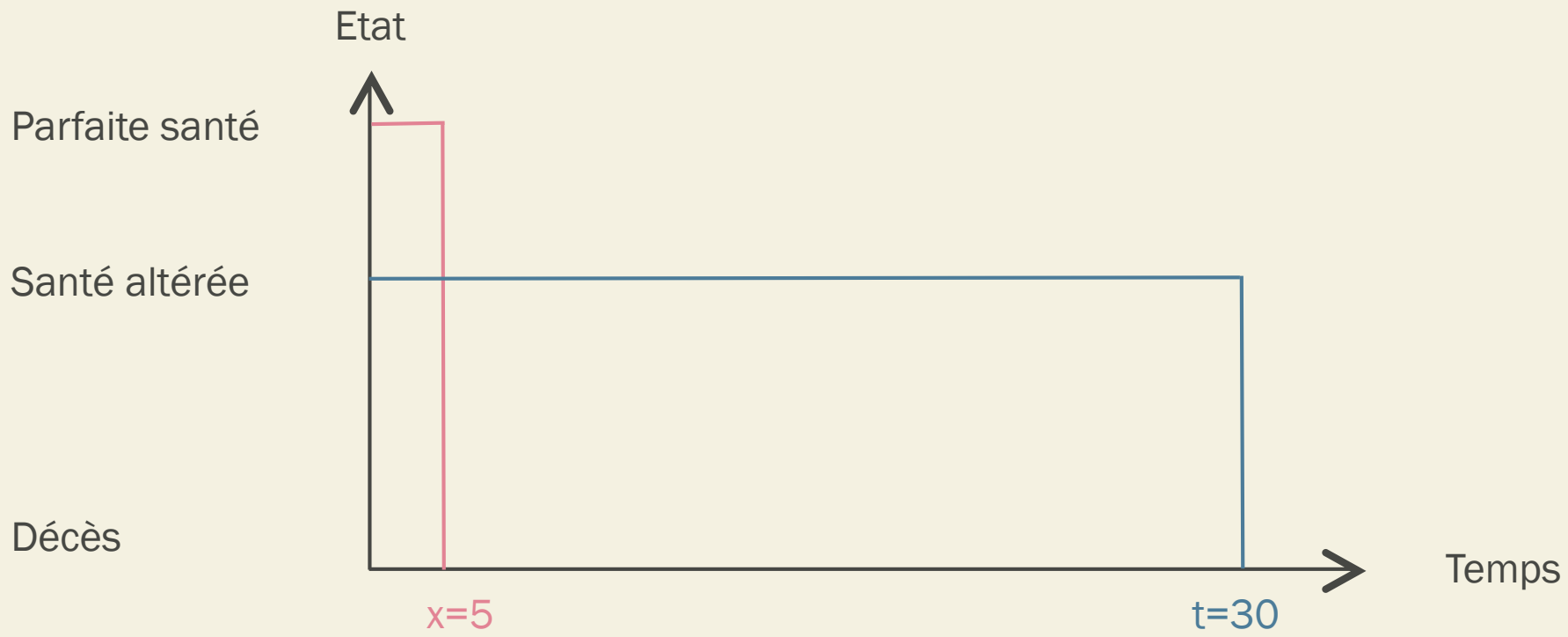
Marchandage temps (time trade-off)

« Préférez-vous mourir demain en parfaite santé (x) ou vivre 30 ans avec la maladie étudiée (t) ? »



Utilité

Comment l'estimer ?



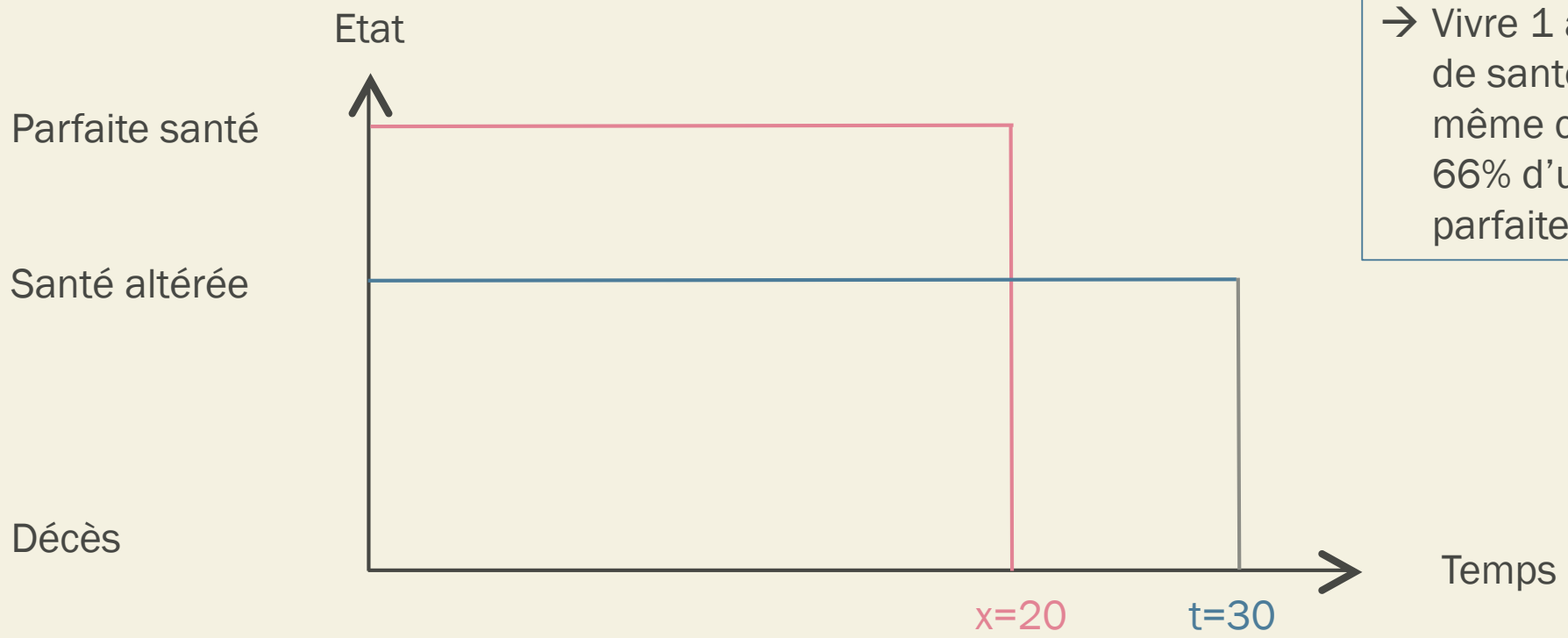
Utilité

Comment l'estimer ?

« Je ne peux pas décider, c'est pareil pour moi »

→ Utilité attribué à l'état de santé altérée : x/t = 0,66

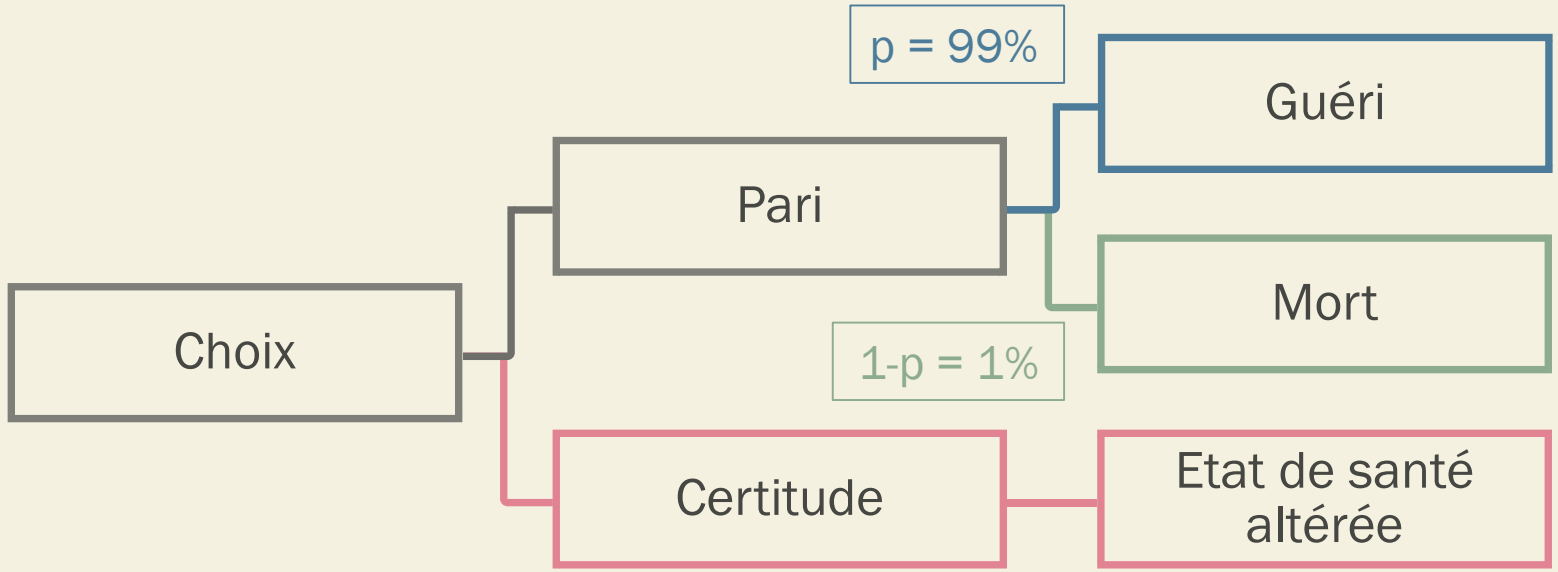
→ Vivre 1 an avec cet état de santé altérée, c'est la même chose que vivre 66% d'une année en parfaite santé



Utilité
Comment l'estimer ?

« Préférez-vous vivre pour le restant de vos jours avec cette maladie (et donc vous allez probablement en mourir) ou bien préférez-vous qu'on vous traite ? »

Loteries (Standard gamble)

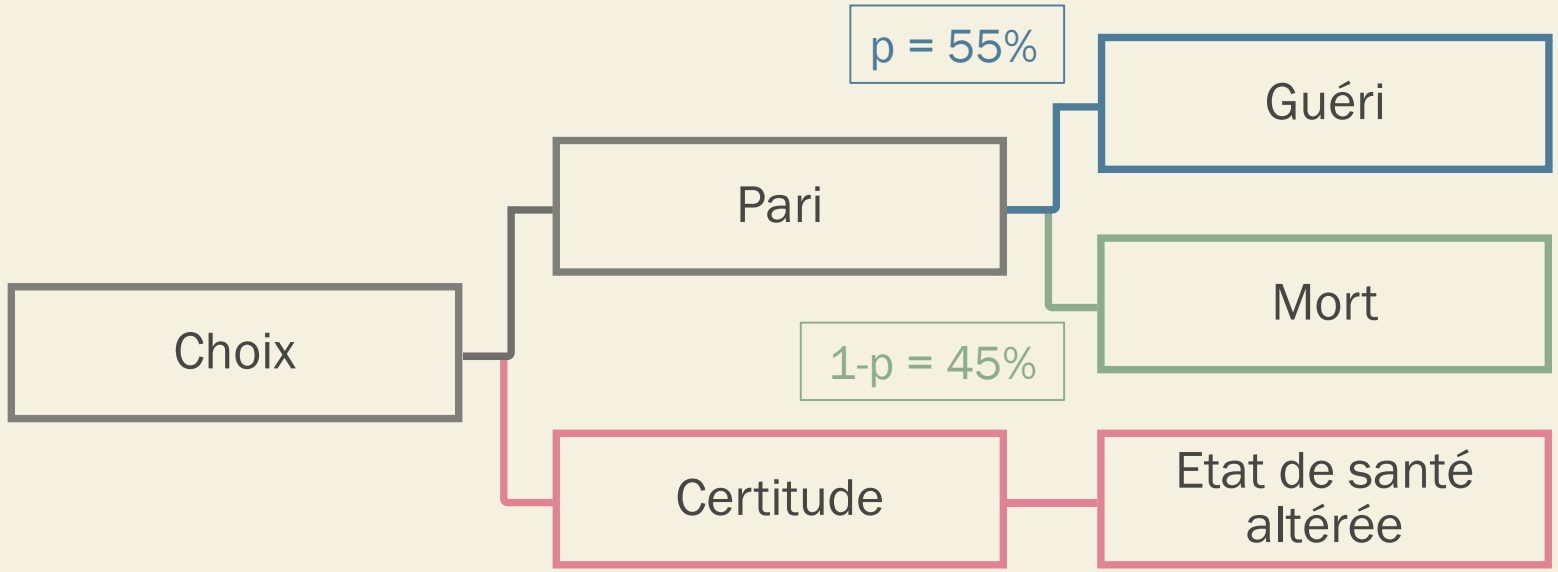


Utilité

Comment l'estimer ?

« Je ne peux pas décider »
Utilité attribué à l'état de santé altérée : p = 0,55

Loteries (Standard gamble)



Utilité
Comment l'estimer ?

Limites de ces méthodes

- Pour connaître les valeurs d'utilité associés à un état de santé des participants d'un essai clinique
  - → Il faut appliquer ces méthodes de révélation de préférences longues et couteuses à tous les sujets
  - → A plusieurs temps de mesure

Exemple : essai de 300 sujets avec 2 ans de suivi, on souhaite évaluer le nombre de QALYs accumulés pour chacun des sujets à la fin de l'essai.

  - → Imaginons que l'on fasse 4 temps de mesures sur un an : 1200 time trade-off ou standard gamble à réaliser !

- En pratique, rarement tenable
  - → On utilise donc souvent une approche beaucoup plus simple
  - → On transforme les réponses d'un questionnaire d'état de santé court en valeurs d'utilité

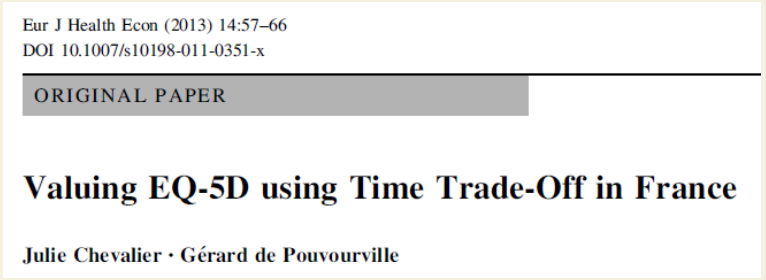
Utilité
Comment l'estimer ?

En pratique, quand on réalise une analyse coût-utilité à partir d'un essai clinique :

- → Un questionnaire de mesure d'états de santé (EQ-5D) est utilisé
- → On valorise les résultats de ces questionnaires en valeurs d'utilité
  - En utilisant un algorithme de transformation
  - Validée par une étude indépendante
  - Sur la population générale que l'on étudie (pays)

En population française :

- EQ-5D (243 états de santé possibles)

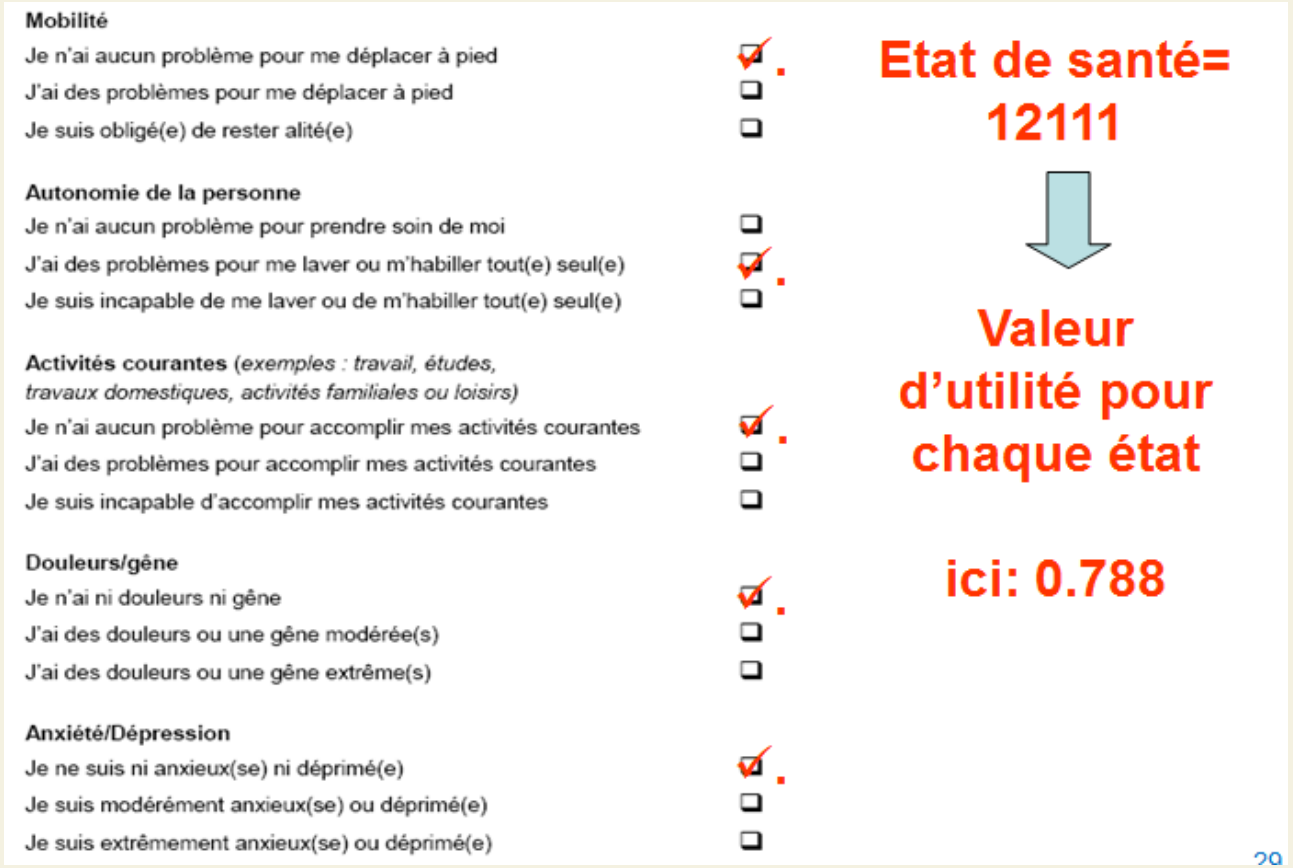

Eur J Health Econ (2013) 14:57–66
DOI 10.1007/s10198-011-0351-x

ORIGINAL PAPER

Valuing EQ-5D using Time Trade-Off in France

Julie Chevalier · Gérard de Pouvourville

Mesure de l'utilité par questionnaire
EQ-5D 3L



Mesure de l'utilité par questionnaire
EQ-5D 3L

$$
\begin{aligned}
U(\mathrm{Hi}) = 1 &- 0.155\,\mathrm{MO2} - 0.372\,\mathrm{MO3} - 0.212\,\mathrm{SC2} \\
&- 0.326\,\mathrm{SC3} - 0.156\,\mathrm{UA2} - 0.189\,\mathrm{UA3} \\
&- 0.112\,\mathrm{PD2} - 0.265\,\mathrm{PD3} - 0.090\,\mathrm{AD2} \\
&- 0.204\,\mathrm{AD3} - 0.174\,\mathrm{N3}
\end{aligned}
$$

Source : Julie Chevalier, Eur J Health Econ, 2013, Valuing EQ-5D using Time Trade-Off in France

Estimation des QALYS

Données individuelles

Littérature
Méta-analyses

RÉSULTATS

Ratio coût-efficacité incrémental (RCEI)

(Incremental cost-effectiveness ratio, ICER)

Stratégie	QALYs	Coût (€)
A (référence)	0,80	10 000
B	0,85	12 000

→ En choisissant B plutôt que A, on sera plus efficace (0,05 QALYs gagné en moyenne sur un an pour un individu) mais plus cher (2000 euros/an en moyenne)

→ Chaque QALY gagné en plus avec B par rapport à A coûtera 40 000 euros

Coût

ICER de B par rapport à A :

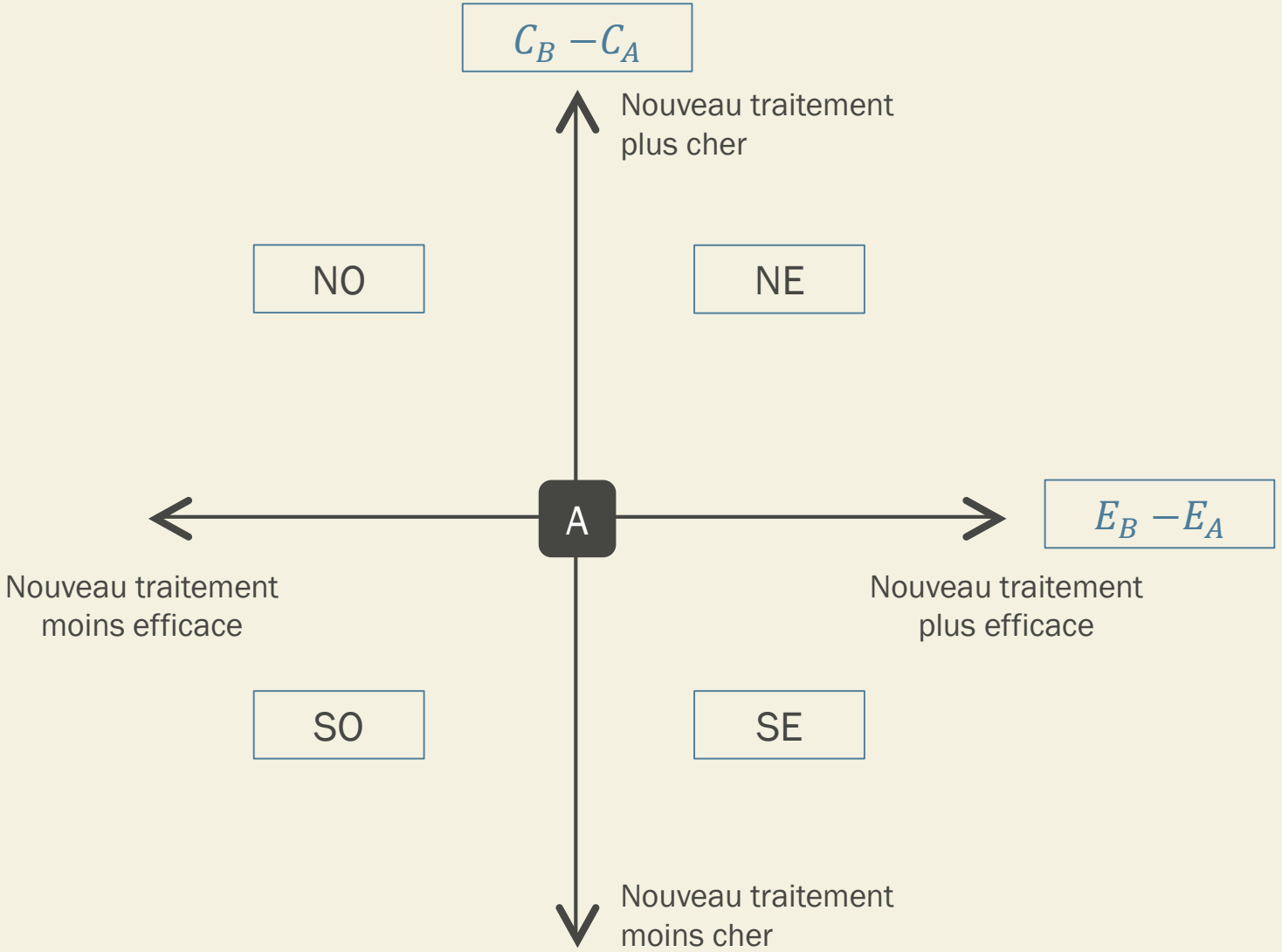
$$\text{ICER} = \frac{C_B - C_A}{E_B - E_A} = \frac{12\,000 - 10\,000}{0{,}85 - 0{,}80} = 40\,000 \text{ euros par QUALY}$$

Efficacité

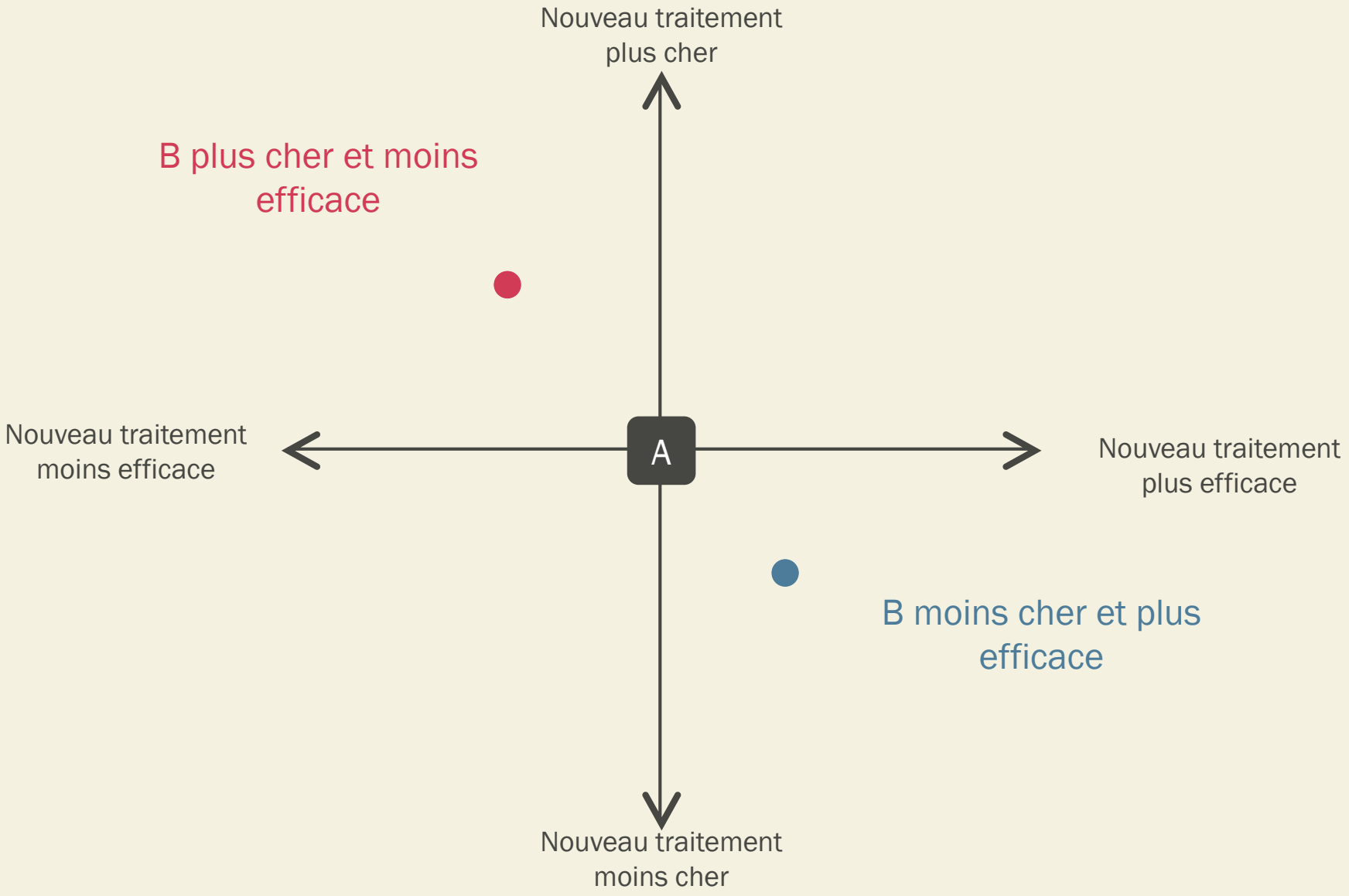
Comment savoir si cela est acceptable ?

Comparaison du RCEI au seuil d'acceptabilité (*willingness to pay*) = coût que la collectivité consent à payer pour obtenir une unité de santé supplémentaire (année de vie ou QALY)

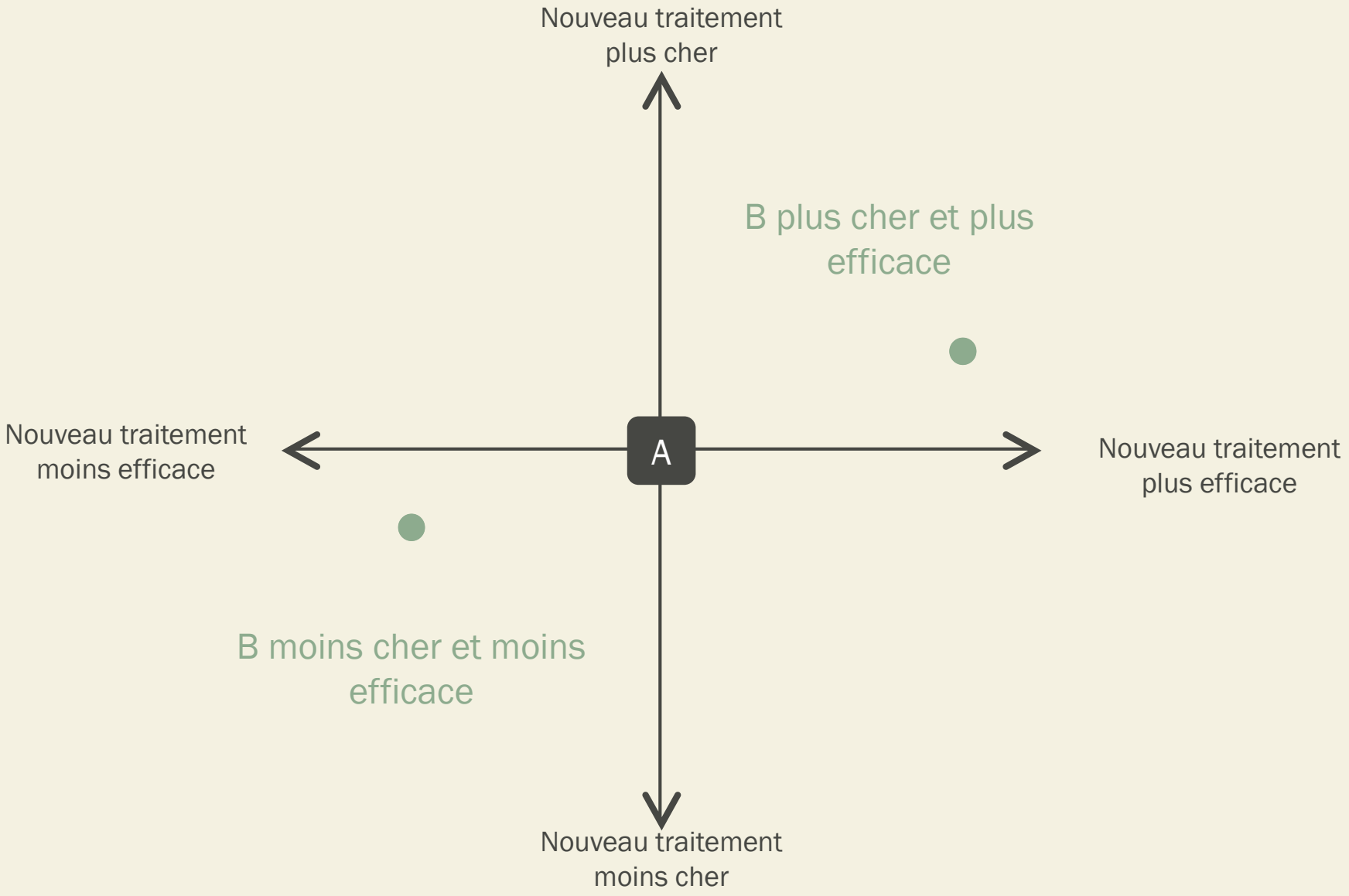
Plan coût-efficacité



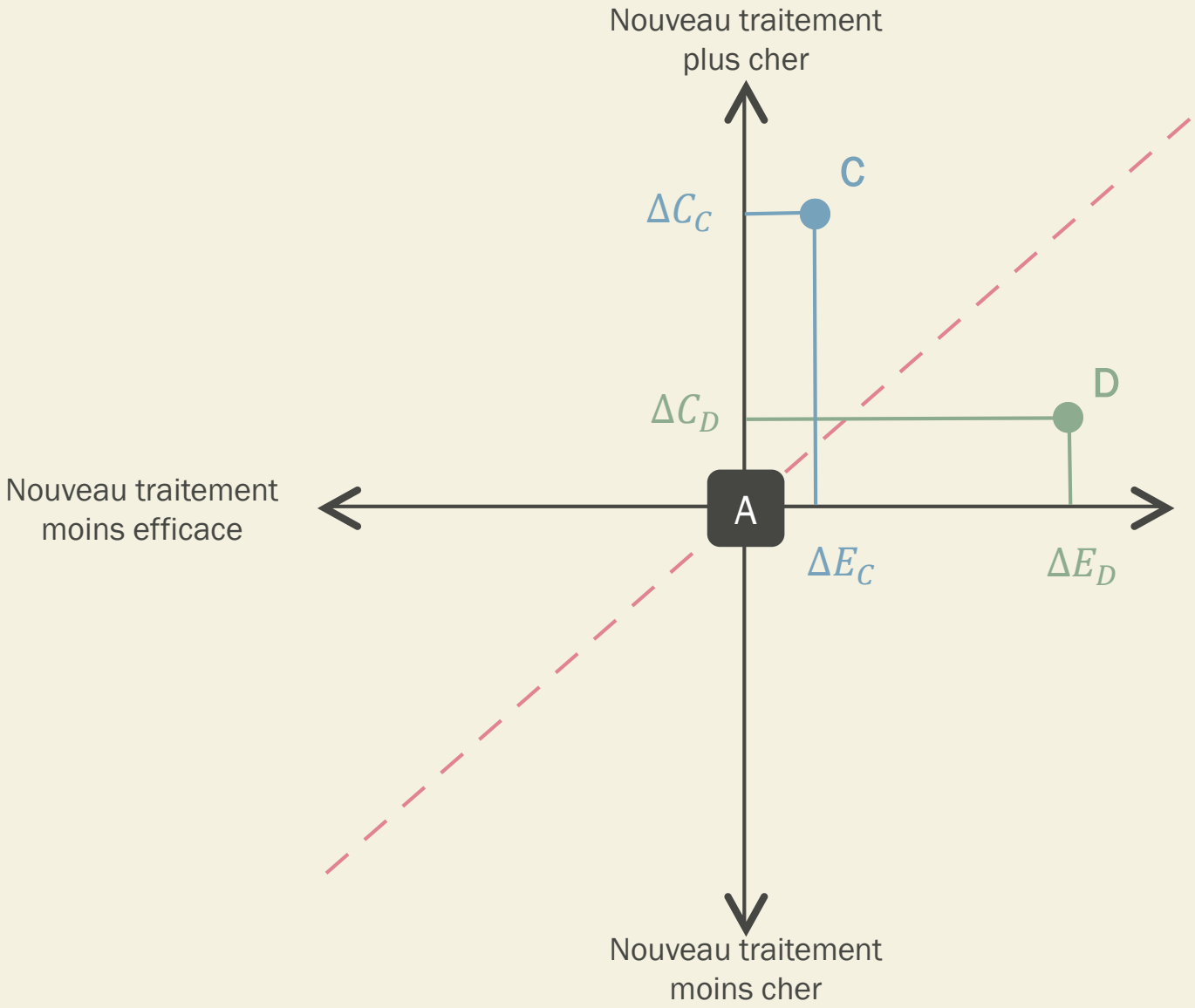
Plan coût-efficacité



Plan coût-efficacité



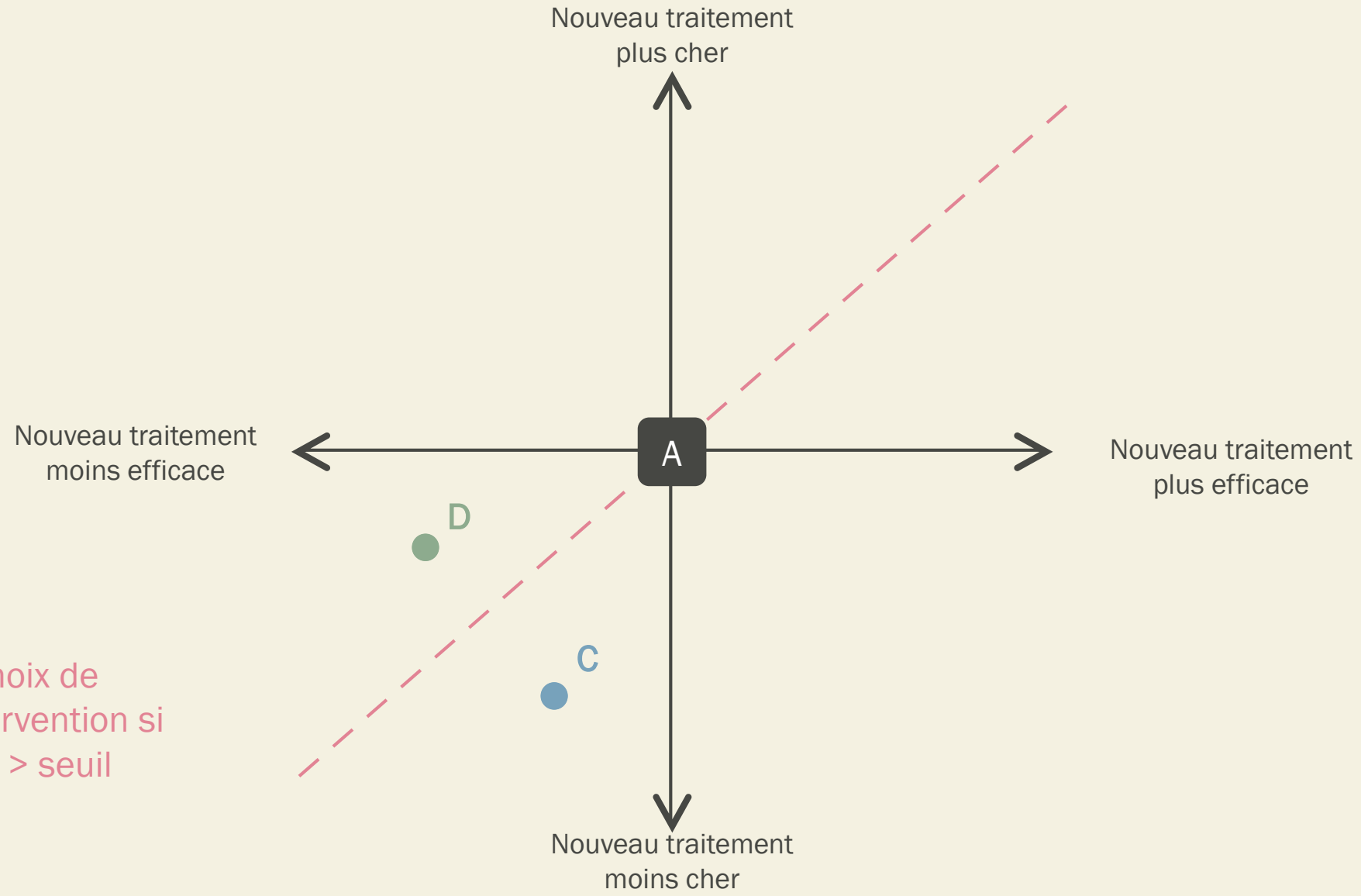
Plan coût-efficacité



Seuil d'acceptabilité (RCEI maximum acceptable)

Choix de l'intervention si RCEI < seuil

Plan coût-efficacité



Ici choix de l'intervention si RCEI > seuil

Seuil d'acceptabilité

Pays / Région	Seuil
France	30 000 à 50 000 euros / QALY
Grande-Bretagne	< £20 000 / QALY → Coût-efficace
	£20 000 - £30 000 → Critères additionnels
	> £30 000 → Non coût-efficace
Organisation Mondiale de la Santé	< 3 x PIB par habitant → Coût-efficace
	PIB par habitant → Très coût-efficace

Exemple

Stratégie	Coût / personne dépistée (€)	Nombre de vrais positifs/ 10 000 personnes dépistées	ICER (€ / vrai positif détecté supplémentaire)	Coût / vrai positif détecté (€)	Diagnostic correct (%)	Sensibilité des stratégies (%)	Spécificité des stratégies (%)
S_5 : Ab_POC → RNA_POC	8,18	259		316	99,84	95,02	99,97
S_8 : Ab_POC → cAg_lab_Ven	9,00	254	**	355	99,79	92,93	99,98
S_9 : Ab_POC → cA_lab_DBS	9,24	208	**	443	99,32	76,32	99,96
S_3 : Ab_POC → RNA_lab_Ven	10,45	271	1 895,29	385	99,98	99,40	99,99
S_4 : Ab_POC → RNA_lab_DBS	10,69	266	**	401	99,90	97,51	99,97
S_{12} : RNA_POC	14,28	261	**	571	98,03	95,50	98,10
S_6 : Ab_lab_Ven → cAg_lab_Ven	19,16	254	**	755	99,78	92,93	99,97
S_{ref} : Ab_lab_Ven → RNA_lab_Ven	20,88	271	**	770	99,98	99,40	99,99
S_7 : Ab_lab_Ven → cA_lab_DBS	24,83	204	**	1 224	99,27	74,69	99,96
S_2 : Ab_lab_Ven → RNA_lab_DBS	26,32	261	**	1 015	99,84	95,43	99,97
S_{10} : cAg_lab_Ven	34,30	255	**	1 345	98,65	93,40	98,80
S_{11} : cAg_lab_DBS	40,20	209	**	1 920	96,74	76,70	97,30

Exemple

Par rapport à la stratégie 5 (stratégie la moins coûteuse), la stratégie 3 est à la fois plus efficace et plus coûteuse : chaque VP qu'elle permet de détecter en plus coûte 1895,29 €.

Stratégie	Coût / personne dépistée (€)	Nombre de vrais positifs/ 10 000 personnes dépistées	ICER (€ / vrai positif détecté supplémentaire)
S_5 : Ab_POC → RNA_POC	8,18	259	
S_3 : Ab_POC → RNA_lab_Ven	10,45	271	1 895,29
S_{ref} : Ab_lab_Ven → RNA_lab_Ven	20,88	271	**

ANALYSES DE SENSIBILITÉ

Pourquoi ?

Objectif : évaluer l'impact des incertitudes/hypothèses sur les résultats de l'étude

Preferred term	Concept	Other terms sometimes employed	Analogous concept in regression
Stochastic uncertainty	Random variability in outcomes between identical patients	Variability Monte Carlo error First-order uncertainty	Error term
Parameter uncertainty	The uncertainty in estimation of the parameter of interest	Second-order uncertainty	Standard error of the estimate
Heterogeneity	The variability between patients that can be attributed to characteristics of those patients	Variability Observed or explained heterogeneity	Beta coefficients (or the extent to which the dependent variable varies by patient characteristics)
Structural uncertainty	The assumptions inherent in the decision model	Model uncertainty	The form of the regression model (e.g., linear, log-linear)

Type d'analyse de sensibilité

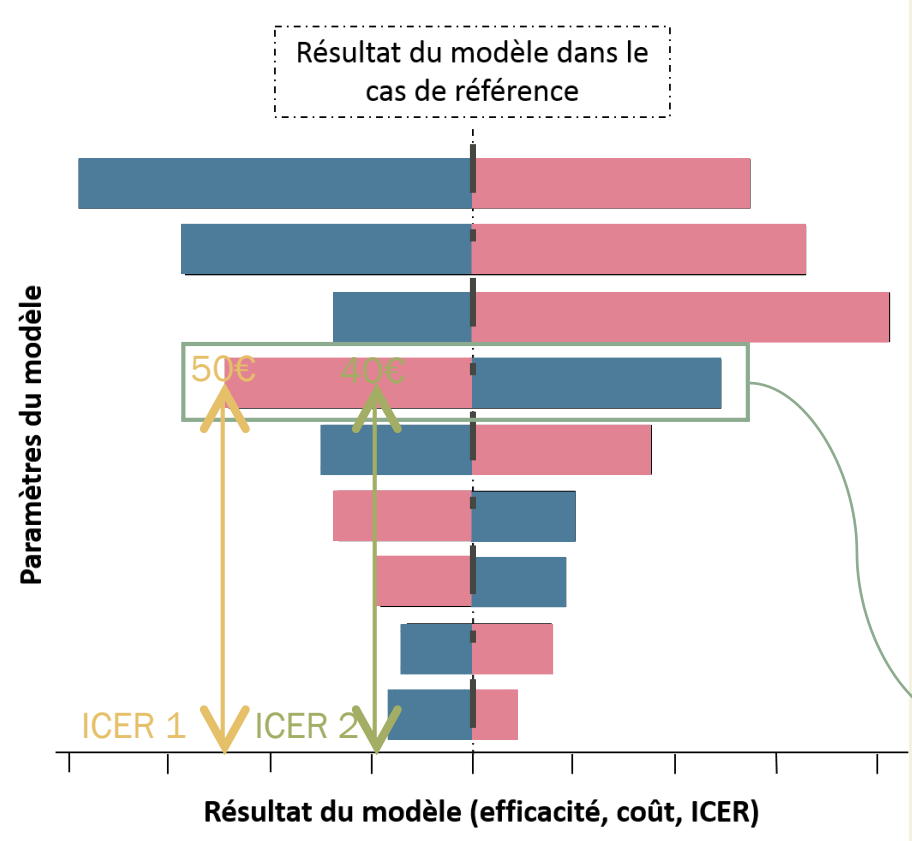
Univariée / multivariée

- → Univarié : on ne fait varier qu'une variable à la fois, les autres gardent la valeur utilisée dans le scénario de référence
- → Multivariée : on fait varier plusieurs variables à la fois

Déterministe / probabiliste

- → Déterministe : on définit une fourchette de valeurs pour chaque variable, , on ré-estime les résultats avec chacune des valeurs de cette fourchette
- → Probabiliste : on définit une distribution pour chaque variable, on tire au sort une valeur dans cette distribution, on ré-estime les résultats avec ces nouvelles données

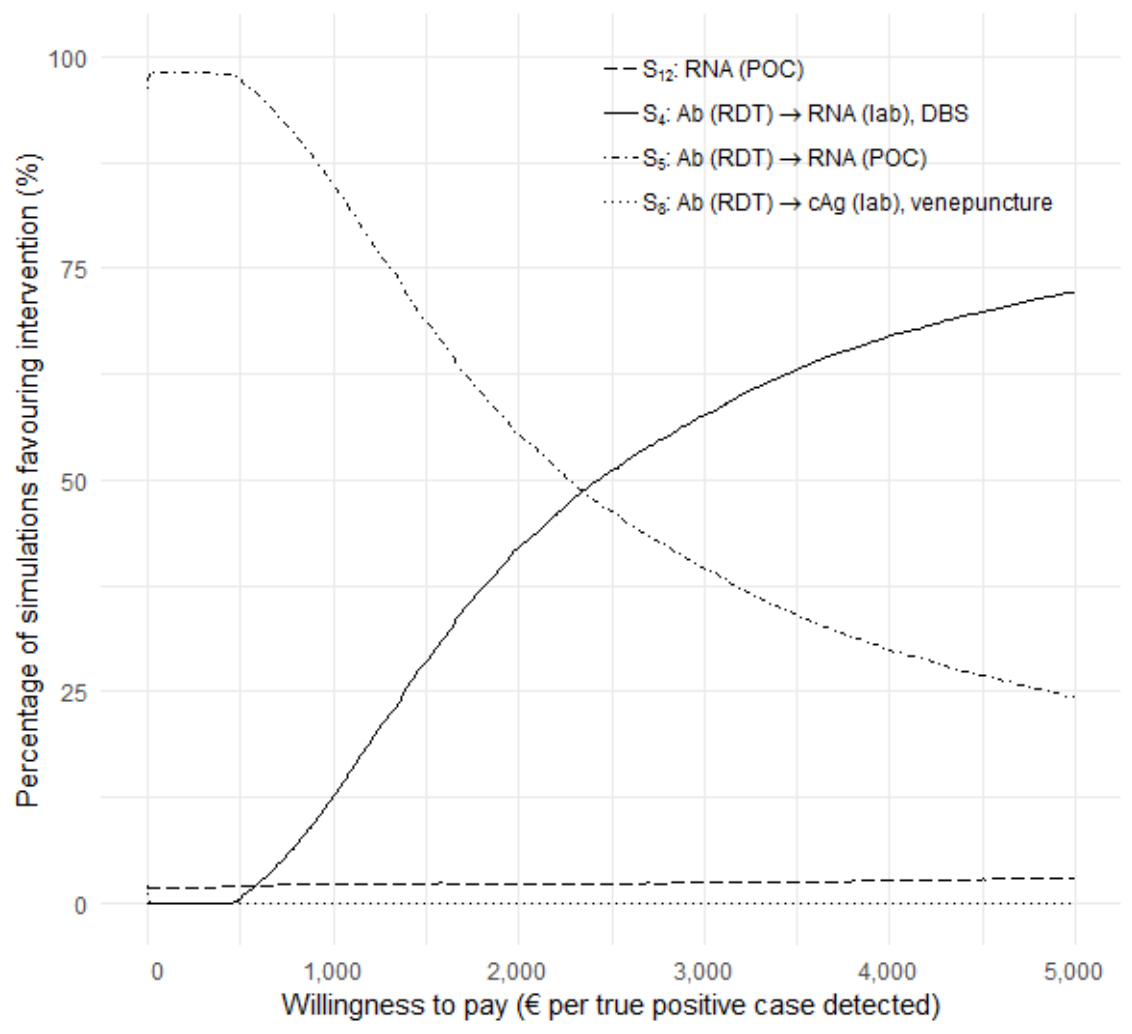
Tornado diagram



- → Type de graphique servant à représenter des résultats d'analyses de sensibilité univariables.
- → Chaque ligne correspond à une variable dont on a fait varié la valeur par rapport au scénario de base. Le code couleur permet de repérer les valeurs prises par chaque variable : une couleur correspond aux valeurs de la variable inférieures à celle du scénario de base (ici bleu), et l'autre aux valeurs supérieures à cette dernière (ici, rose) : pour chacune de ces nouvelles valeurs, on obtient une nouvelle estimation de l'ICER (lisible sur l'axe des abscisses).
- → Ce graphique permet de voir les variables ayant le plus d'influence sur la valeur de l'ICER (→ celles avec les barres les plus larges) et dans quelle mesure ces variations peuvent faire varier l'ICER.

Exemple : imaginons que cette barre représente la variable « coût du test de détection de l'Ag VHC en laboratoire » que l'on a fait varier entre 10€ (extrémité de la barre bleue) et 50€ (extrémité de la barre rose), la valeur du scénario de base étant de 35€. Le graphique nous indique que si ce coût augmente, l'ICER comparant la stratégie A à la stratégie B diminue.

Wiilingness to pay acceptability curve



- → Type de graphique servant à représenter des résultats d'analyses de sensibilité multivariables.
- → On a simulé 1000 scénarios alternatifs. Pour chaque scénario, les valeurs des variables ont été choisies ont tirant au sort leur valeur parmi une distribution donnée.
- → Pour chaque scénario on a défini la stratégie la plus coût-efficace parmi les 12 proposées.
- → La courbe représente le résultat de cette analyse : on peut voir ici qu'en-dessous d'un ICER d'environ 2300 € par VP détecté la stratégie 5 ressortant comme dominante dans le plus grand nombre de simulations est la S5, puis qu'au-delà de ce seuil, il s'agit de la stratégie 4.
- → En fonction de la propension à payer que l'on choisira, il faudra, selon les règles de l'analyse coût-efficacité, choisir soit la stratégie 5, soit la 4.

REMARQUES DIVERSES

Utilisation des EME en France

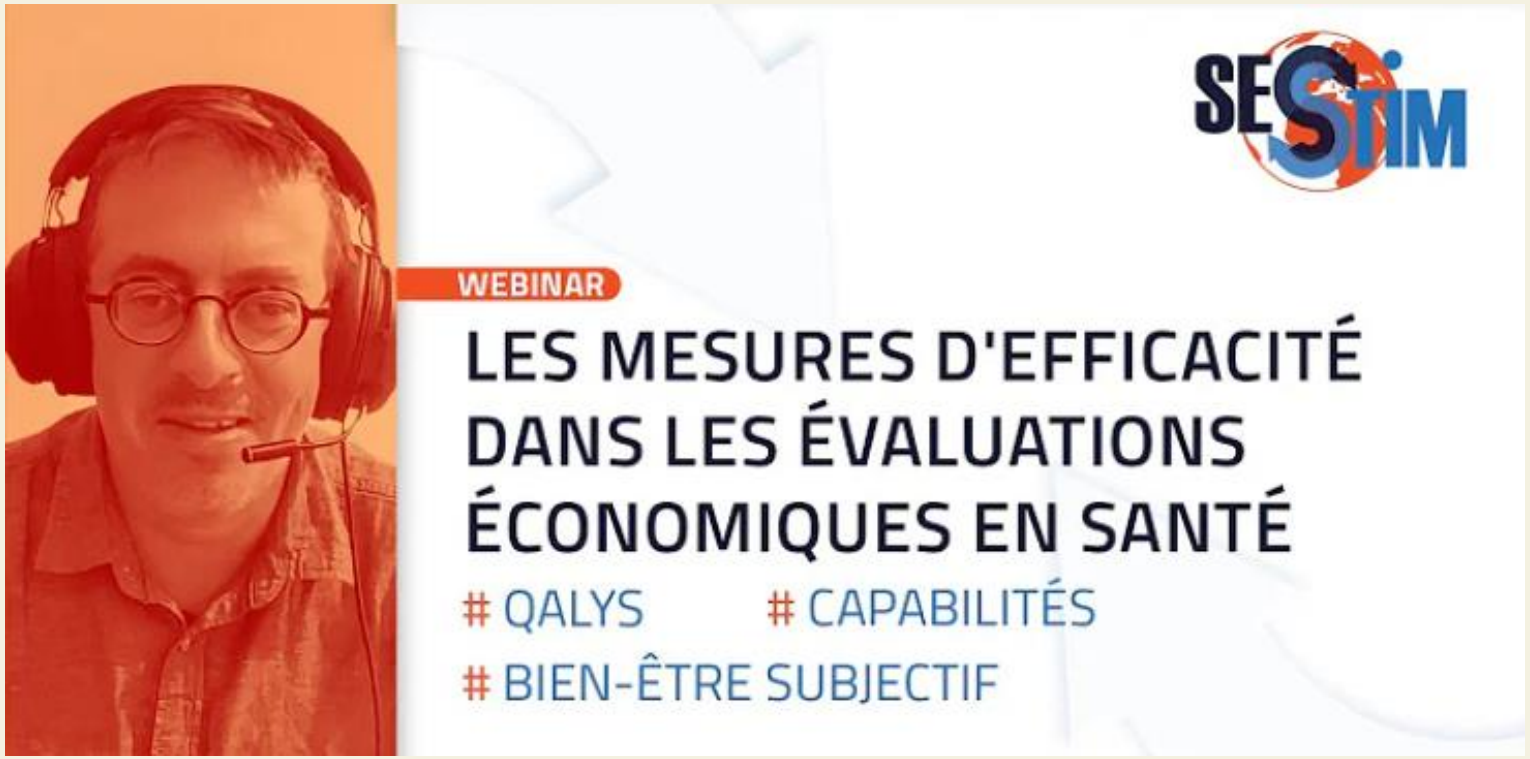
Avis sur le remboursement des dispositifs médicaux / médicaments

- Décret du 2 octobre 2012 : EME requise si

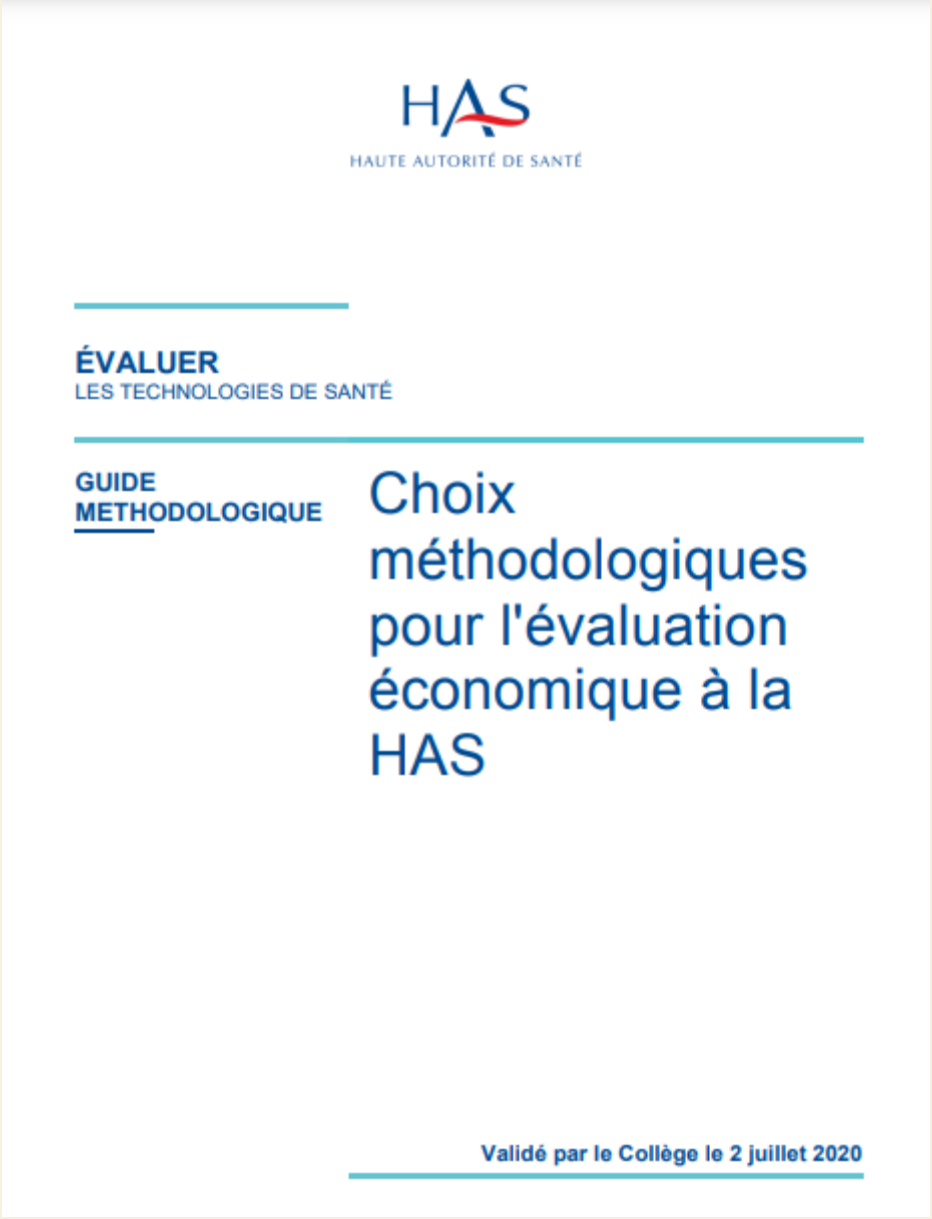
« 1° La reconnaissance ou la confirmation d'une amélioration du service médical rendu ou du service attendu, majeure, importante ou modérée, au sens du 2° de l'article R. 163-18 et du 3° de l'article R. 165-11, est sollicitée par l'entreprise ;
« 2° Le produit ou la technologie a ou est susceptible d'avoir un impact significatif sur les dépenses de l'assurance maladie compte tenu de son incidence sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles ou les conditions de prise en charge des malades et, le cas échéant, de son prix.

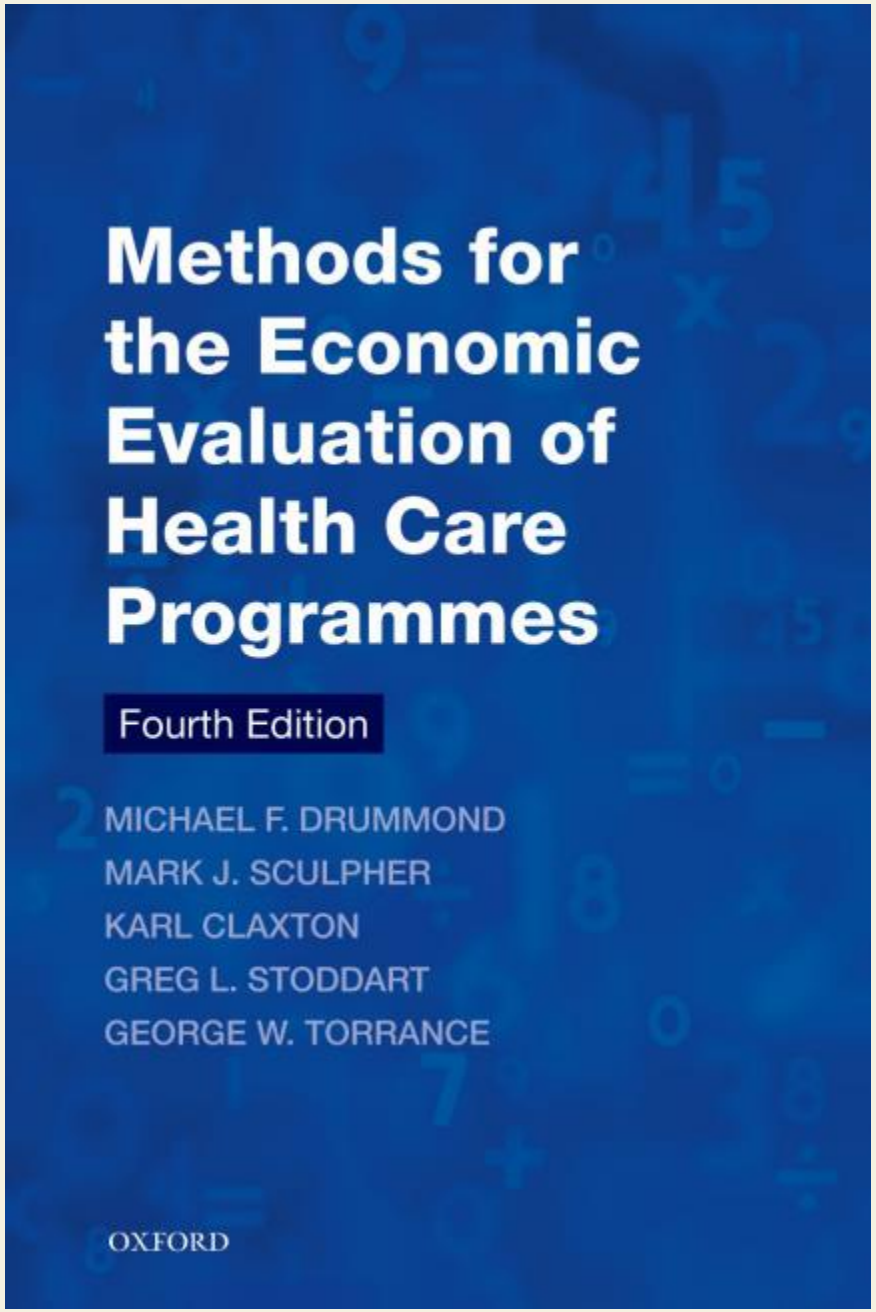
- Commission Evaluation Economique et Santé Publique (CEESP)

QALYs


SESTIM
WEBINAR
LES MESURES D'EFFICACITÉ DANS LES ÉVALUATIONS ÉCONOMIQUES EN SANTÉ
QALYS
CAPABILITÉS
BIEN-ÊTRE SUBJECTIF

RESSOURCES


HAS
HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ
ÉVALUER
LES TECHNOLOGIES DE SANTÉ
GUIDE
METHODOLOGIQUE
Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS
Validé par le Collège le 2 juillet 2020


Methods for the Economic Evaluation of Health Care Programmes
Fourth Edition
MICHAEL F. DRUMMOND
MARK J. SCULPHER
KARL CLAXTON
GREG L. STODDART
GEORGE W. TORRANCE
OXFORD

Guidelines

Enhancing the QUAlity and Transparency Of health Research

Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards 2022 (CHEERS 2022) Statement: Updated Reporting Guidance for Health Economic Evaluations