



FOCUS SUR....

EVALUATION MEDICO-ECONOMIQUE EN SANTE

Questions à Alain LOPEZ,

signataire, avec Marine JEANTET, du rapport de l'IGAS :

Evaluation médico-économique en santé

1/ En quoi consiste l'évaluation médico-économique en santé ?

L'évaluation médico-économique consiste à mettre en regard les bénéfices cliniques d'une stratégie de soins, d'une technologie ou d'un produit de santé, et ses coûts, en les comparant à des alternatives, en vue d'une allocation optimale des ressources disponibles.

2/ Qui la demande et qui la réalise ?

Lorsque l'autorité publique doit prendre une décision de financement d'une intervention en santé, ces études peuvent éclairer son choix en lui permettant d'apprécier le rapport bénéfice / coût, en le comparant à d'autres alternatives.

En France, depuis 2013, les laboratoires pharmaceutiques doivent, dans certains cas, produire une évaluation médico-économique lors de la négociation du prix des produits de santé. Ces évaluations sont étudiées par la Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) de la Haute autorité de santé (HAS), chargée de donner un avis sur la mesure de l'efficacité du produit. Puis elles sont utilisées par le Comité économique des produits de santé (CEPS) qui fixe le prix des médicaments et des dispositifs médicaux pris en charge par l'assurance maladie. Fin 2014, cette procédure n'a concerné que 21 médicaments.

Hormis cette obligation légale, depuis une dizaine d'années, un certain nombre d'institutions réalisent en France des évaluations médico-économiques, notamment la HAS, avec ses propres équipes ou, le plus souvent, en ayant recours à des opérateurs extérieurs (laboratoires d'évaluation médico-économiques reliés à des équipes de recherche universitaire).

3/ Des exemples concrets où l'évaluation médico-économique est utile ?

A priori, toute intervention en santé, financée par la collectivité publique, justifierait un calcul bénéfices/coûts, en comparaison avec d'autres alternatives.

Ce calcul peut être nécessaire pour décider du financement d'un nouveau médicament particulièrement coûteux, par exemple le Sovaldi® utilisé pour le traitement de l'hépatite C. Dans ce cas-là, l'étude médico-économique a été un des éléments pris en compte dans la négociation sur la fixation du prix de ce médicament remboursé par l'assurance maladie.

Mais de telles évaluations peuvent aussi porter sur l'organisation des soins, les pratiques soignantes et les stratégies de santé. Faut-il, par exemple, pour certaines pathologies, recourir plutôt à une prise en charge hospitalière ou opter pour des soins en ambulatoire ? Un directeur d'agence régionale de santé (ARS) pourrait s'appuyer sur une évaluation médico-économique mesurant le rapport bénéfice/coût correspondant à chacune de ces différentes solutions, pour inciter au développement de celle se révélant être la plus efficiente.

4/ Comment articuler le médical et l'économique ? N'est-ce pas antinomique ?

C'est un conflit de représentations. Le concept médical poserait comme priorité absolue le bénéfice pour la santé de la personne. Le concept économique lui, s'attacherait d'abord à la moindre dépense.

Dans la réalité, le regard médical ne peut pas se désintéresser de la contrainte économique, car les ressources sont limitées. De même, le regard économique ne peut évidemment pas se désintéresser du bénéfice pour la santé des personnes. Ces deux approches sont donc utiles et complémentaires.

5/ Pourquoi la place de l'évaluation médico-économique en santé est-elle si modeste et si récente en France, comparée à d'autres pays ?

C'est en partie lié à ces questions de représentations et à leurs effets sur les esprits.

Les décideurs sont confrontés à des dilemmes : comment porter secours à chacun sans compter, sans épuiser pour autant des ressources limitées utiles à tous ? Quelle serait la position la plus juste ? Faudrait-il aller jusqu'à se fixer une limite financière au-delà de laquelle la collectivité ne financerait pas telle ou telle intervention en santé ? Ces questions nous confrontent à une problématique éthique difficile à trancher.

En France, la référence éthique dominante de l'action publique en santé est de nature déontologique : tout doit être fait pour secourir chacun, sans discrimination, quel que soit le coût.

Le poids de cette référence morale est tel dans les esprits des professionnels de santé et de la population, qu'il y a une certaine méfiance à faire rentrer la moindre considération économique dans ce raisonnement, de peur que cela aboutisse à un rationnement des soins.

6/ Quelle est la place de l'évaluation médico-économique en santé dans les autres pays européens que vous avez étudié : Royaume-Uni, Allemagne, Belgique, Suède ?

A la différence de la France, les pays anglo-saxons sont plus réceptifs à des principes dits utilitaristes pour lesquels la priorité est d'obtenir le maximum de bénéfices pour le plus grand nombre. Ainsi, en Grande-Bretagne, le financement d'un traitement peut être refusé si le bénéfice attendu pour le malade est trop faible au regard de son coût. Ce bénéfice pour le patient est mesuré en années de vie de qualité gagnées (Qaly). Concrètement, en Grande-Bretagne, si un médicament a un coût supérieur à 30 000" par QALY (*quality-adjusted-life-years*), il ne sera pas financé par la collectivité (des procédures spécifiques existent pour certains médicaments, anticancéreux notamment).

Cette approche anglo-saxonne, conduisant à fixer des seuils au-delà duquel un financement n'est pas consenti, peut conduire à un certain nombre de sacrifices pour les individus, ce qui est impensable dans la conception déontologique plus répandue dans les pays de culture latine.

Dans les pays anglo-saxons, les évaluations médico-économiques ont un rôle primordial dans la prise de décision, elles sont décisionnelles. Dans les pays latins, elles sont informationnelles.

7/ Pourquoi l'IGAS a-t-elle décidé d'inscrire à son programme d'activité l'évaluation médico économique en santé ?

Les enjeux sont considérables pour la gestion et la régulation du dispositif de santé. L'autorité publique doit faire face, avec des ressources limitées, à des dépenses en croissance. Il est essentiel d'être éclairé pour prendre les décisions les plus justes possibles. C'est le propos de notre rapport.

8/ Quelle a été votre méthode de travail ?

Nous avons rencontré les acteurs concernés (une centaine de personnes) : les autorités publiques décisionnaires (administrations centrales, agences régionales de santé), la Haute autorité de santé, les opérateurs (IRDES, CNAM), les associations d'usagers, les chercheurs... Nous nous sommes déplacés en régions (Bretagne, Centre, Limousin), en Grande-Bretagne et en Belgique. Et nous nous sommes, bien sûr, appuyés sur les travaux déjà publiés sur ce thème en France et à l'étranger.

9/ L'évaluation médico-économique fait l'objet de nombreuses critiques. Quelles sont-elles ?

Il y a la question de fond que nous venons évoquer : sur quoi fonder la juste décision ? La référence éthique retenue peut faire l'objet de fortes contestations.

La qualité des études peut être jugée insuffisante. Leurs conclusions manquent parfois de clarté. Elles exigent pour être réalisées un temps long, pas toujours compatible avec le délai de la prise de décision. Leurs méthodes sont parfois contestables (par exemple le recours au QALY pour estimer le bénéfice d'un traitement).

A chacune de ces critiques, des réponses peuvent être apportées. Mais, quoi qu'il en soit, le pire serait de prendre des décisions en aveugle. Grâce aux éclairages apportés par les évaluations médico-économiques, le décideur est en situation de pouvoir mesurer les implications de son choix. Et le citoyen peut apprécier la cohérence des décisions de gestion prises à son profit.

Les critiques faites à ces évaluations ne sauraient donc pas constituer un motif suffisant pour les écarter, mais devraient servir à en améliorer la qualité.

10/ A quelles conditions ces évaluations peuvent-elles réellement éclairer la prise de décision ?

Il faut d'abord mettre en place les moyens de s'accorder, au cas par cas, sur un niveau de consentement collectif au financement des interventions en santé. Pour ce faire, il est nécessaire de fixer des principes établis à l'issue d'un débat public.

Le principe d'un seuil d'efficience, défini *a priori*, au-delà duquel une intervention en santé n'est pas financée (ratio QALY en Grande Bretagne), n'a pas été retenu par la mission. Tout seuil, impliquant des décisions automatiques sera toujours jugé arbitraire, et sera contesté et contourné.

En revanche, il faut rechercher un consentement collectif, au cas par cas, au financement des interventions en santé, au regard de leurs efficacités comparatives. Cette recherche pourra s'appuyer sur l'emploi d'un référentiel, à élaborer, pour situer les résultats des évaluations.

Cela permettra d'approcher collectivement l'équilibre le plus juste entre, de façon schématique, le respect d'une déontologie et la prise en compte du plus utile pour tous.

11/ Vous préconisez la élaboration d'une stratégie de développement des évaluations médico-économiques. Quels en sont les axes principaux ?

Une fois le cadre de décision défini, cette stratégie de développement se résume en cinq axes :

- Recourir à l'évaluation médico économique dans tous les domaines de la santé : médicaments, mais aussi dispositifs médicaux, parcours de soins, organisations des soins (investissements hospitaliers) ;
- Cibler les évaluations médico-économiques sur les grands enjeux de santé, notamment pour les médicaments peu efficaces et/ou coûteux, dont la réévaluation devra être régulière ;
- Améliorer les méthodes et simplifier les procédures d'évaluation ;
- Structurer une offre académique dans le domaine de l'évaluation médico économique ;
- Insérer la réalisation des évaluations médico-économiques dans un cadre public et transparent.

12/ Et après le rapport ?

Nous avons présenté nos conclusions aux principaux acteurs, à leur demande : Haute autorité de santé (HAS), Haut conseil pour l'avenir de l'assurance maladie (HCAAM), Entreprises du médicament (LEEM), groupe de travail sur l'évaluation des médicaments mis en place le 13 mars 2015.

Avril 2015

LE RAPPORT EN BREF

EVALUATION MEDICO-ECONOMIQUE EN SANTE

Alain LOPEZ et Marine JEANTET,

Avec le concours de Nathalie DESTAILS

Les évaluations médico-économiques ont pour objectif de déterminer les interventions en santé les plus efficaces, c'est-à-dire présentant le meilleur rapport entre l'efficacité et le coût.

Alors qu'elles existent depuis les années 1990 en Angleterre, leur insertion dans les procédures de décision est récente en France. Elles portent principalement sur les produits de santé et servent de référence dans la négociation du prix.

Les évaluations médico-économiques sont trop souvent vues comme étant au service d'un rationnement des soins. Pourtant, la mesure de l'efficacité, complétée par une estimation de l'impact budgétaire, permet une juste allocation d'une ressource limitée afin d'apporter le plus de santé possible au plus grand nombre. Elle ne fait pas la décision, mais elle pose les termes des alternatives envisageables.

Un niveau de consentement collectif au financement des interventions en santé

Il convient de fixer, à l'issue d'un débat public, le cadre des principes structurant le processus de décision. La finalité de l'évaluation médico-économique doit être mieux établie, notamment en matière de définition du panier de soins remboursables. Le principe d'un seuil d'efficacité qui a été retenu en Angleterre, est repoussé par la mission. Tout seuil apparaîtra arbitraire et fera l'objet de contestations incessantes ou de mesures de contournement.

La mission propose plutôt que la décision publique s'appuie sur la recherche itérative d'un niveau de consentement collectif au financement des interventions en santé.

Une stratégie de développement des évaluations médico-économiques

La mission recommande de se doter d'une stratégie de développement des évaluations médico-économiques :

- **Elargir le champ des domaines sur lesquels doit porter l'évaluation médico-économique** : toute décision publique peut avoir besoin d'un éclairage apporté par une évaluation médico-économique, quelle que soit la nature de l'intervention en santé qu'elle concerne, notamment dans le champ des recommandations de pratique clinique, dans la définition des parcours de soins, des stratégies de santé et de l'organisation des soins ;
- **Cibler les évaluations médico-économiques sur les grands enjeux de santé**, notamment sur les réévaluations des produits de santé ;
- **Améliorer les méthodes et simplifier les procédures d'évaluation** au sein de la Haute Autorité de Santé (HAS) ;
- **Structurer une offre académique dans le domaine de l'évaluation médico-économique** ;
- **Insérer la réalisation des évaluations médico-économiques dans un cadre public et transparent** en mettant en place, au niveau national comme au niveau régional, une procédure ouverte de sélection des projets d'évaluation et en assurant la publication des résultats des évaluations réalisées.

LES 9 PRINCIPALES RECOMMANDATIONS

Recommandations	Pilote
1. Inscrire l'évaluation médico-économique dans un cadre structurant la décision publique	
Recommandation n°1 : Redéfinir les principes sous-tendant les décisions publiques d'allocation des ressources en santé, par l'organisation d'un débat collectif et la préparation d'une loi.	DREES
Recommandation n°3 : Elaborer un référentiel pour l'interprétation des résultats des évaluations (efficacité, impact budgétaire etc.).	HAS
2. Se doter d'une stratégie pour développer l'évaluation médico-économique	
A/ Recourir à l'évaluation médico-économique dans tous les domaines d'intervention en santé	
Recommandation n°4 : Développer l'utilisation de l'évaluation médico-économique dans le champ des recommandations de pratique clinique, dans la définition des parcours de soins, des stratégies de santé et de l'organisation des soins.	HAS SG DGOS
B/ Cibler les évaluations médico-économiques sur de grands enjeux de santé	
Recommandation n°5 : Pour les médicaments peu efficaces et/ou ayant un impact budgétaire significatif, fixer un prix assorti de conditionnalités vérifiées dans le cadre d'une réévaluation appréciant l'efficacité du produit en vie réelle.	HAS CEPS
C/ Améliorer les méthodes et simplifier les procédures d'évaluation	
Recommandation n°8 : Compléter, autant que possible, les évaluations médico-économiques par une étude de l'impact budgétaire.	HAS
Recommandation n°12 : Resserrer la coordination des commissions chargées d'examiner l'efficacité clinique des produits de santé (CT/CNEDIMTS) et la CEESP.	HAS
Recommandation n°13 : Rattacher le Comité technique des vaccinations (CTV) à la HAS.	DGS
D/ Structurer une offre académique dans le domaine de l'évaluation médico-économique	
Recommandation n°15 : Elaborer une feuille de route visant à développer la recherche française en médico-économique.	Ministère enseignement supérieur et recherche HAS
E/ Insérer la réalisation des évaluations médico-économiques dans un cadre public et transparent	
Recommandation n°16 : Mettre en place, au niveau national comme au niveau régional, une procédure ouverte de sélection des projets d'évaluation.	DREES ARS en régions

ARS : agence régionale de santé - CEPS : Comité économique des produits de santé - DGOS : Direction générale de l'offre de soins - DGS : direction générale de la santé . DREES : Direction de la recherche, des études, de l'évaluation et des statistiques - HAS : Haute Autorité de la Santé . SG : Secrétariat général des ministères sociaux