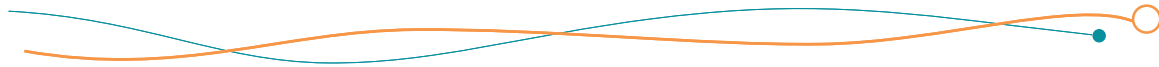


Analyse comparée des stratégies diagnostiques et thérapeutiques Etudes médico économiques



Pr C Colin

Economie de Santé

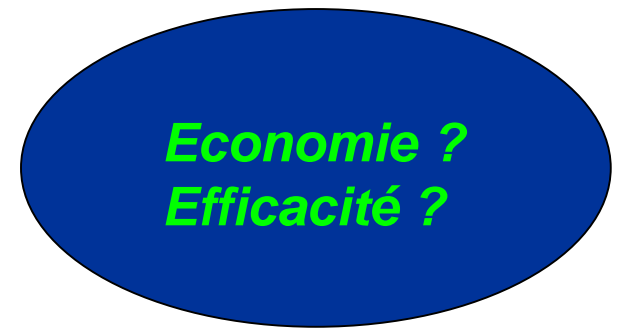




Diagnostic ?

Thérapeutique ?

- Stratégie 1?



- Stratégie 2 ?

Objectif de l'économie de santé

- Il n'est pas de réduire les coûts mais **d'éclairer les choix** de telle sorte que les coûts soient minimisés à **résultat de santé égal**.

Efficacité

- Efficacité théorique (« *efficacy* ») :
 - Le programme peut-il fonctionner ? Ferait-il plus de bien que de mal à une population qui suivrait parfaitement le traitement ou les recommandations?
- Efficacité pratique (« *effectiveness* ») :
 - Le programme va-t-il fonctionner ? Forme d'évaluation qui considère à la fois l'efficacité théorique d'un service et l'adhésion de ceux à qui il est offert.
- Disponibilité (« *availability* »)
 - Le programme a-t-il atteint ceux qui en ont besoin ? Est-il accessible à tous ceux qui pourraient en bénéficier ?

4 analyses coût-avantage possibles

- Etude de minimisation des coûts
- Analyse coût-efficacité
- Analyse coût-utilité
- Analyse coût-bénéfice

Etude de minimisation des coûts

- Lorsque les stratégies comparées ne diffèrent que par leurs coûts respectifs et que leurs efficacités sont identiques.
- Seuls les coûts sont comparés

Analyse coût-efficacité

- Informe sur
 - la stratégie qui dégagera une efficacité maximale pour un coût donné
 - le supplément d'efficacité obtenu pour un supplément de coût.
- Son résultat s'exprime par le ratio coût-efficacité
 - Ex: coût par année de vie gagnée



Analyse coût-utilité

- utilise l'utilité comme mesure de la valeur des effets d'un programme. Tient compte de la qualité de vie (QALY : nombre d'années de vie pondérées par la qualité de la vie).
 - Utilité : préférence des individus ou de la société par rapport à un ensemble de résultats de santé.
 - Ex : *2 jumeaux, identiques, diffèrent par leur travail (peintre d'enseigne / traducteur), se cassent le bras droit. Leurs évaluations de l'utilité du ttt va différer.*

Analyse coût-bénéfice

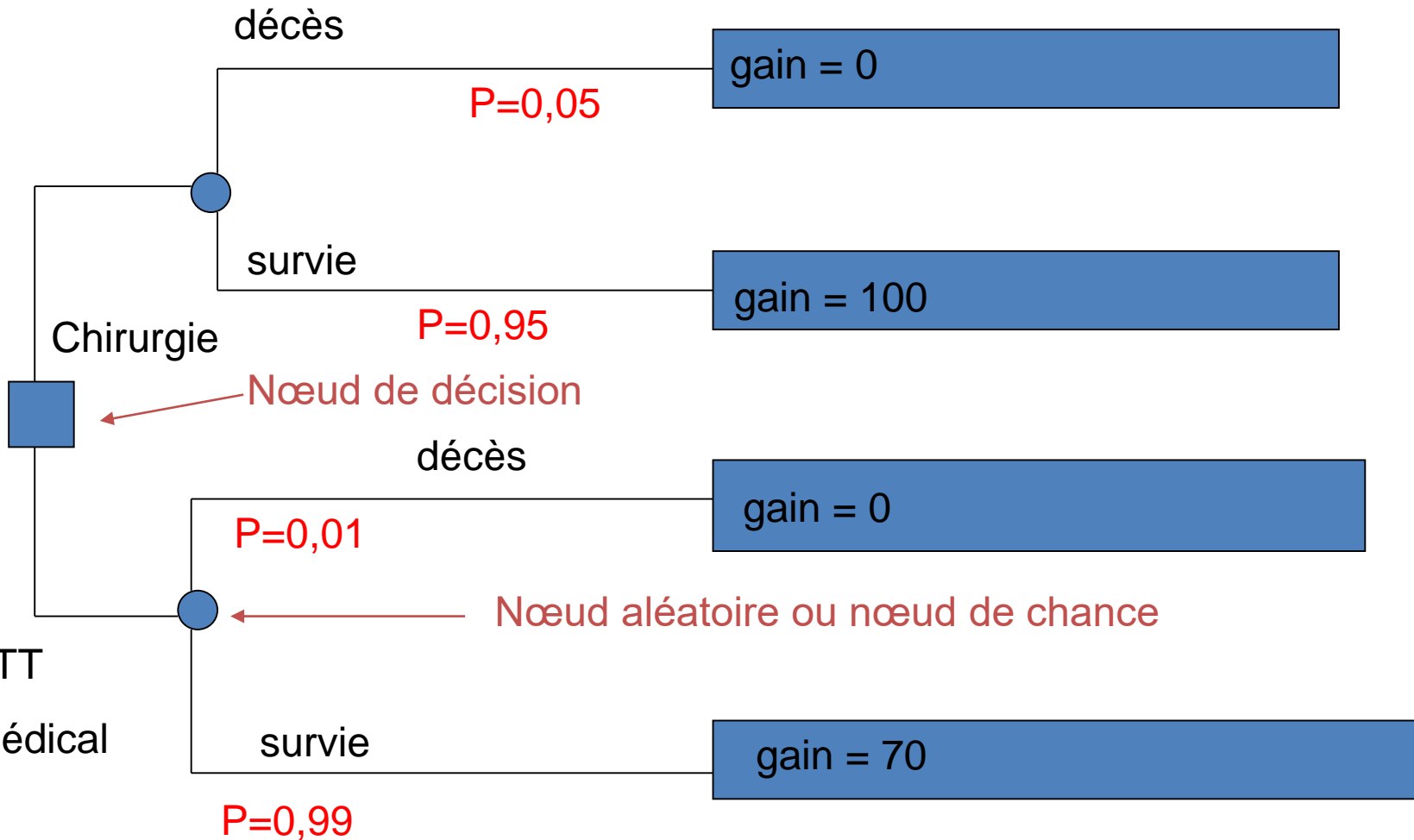
- analyse les coûts et les conséquences des options étudiées en unités monétaires
 - Ex : *programme de vaccination contre la grippe ayant pour but la réduction de la durée de la maladie*

Analyse de décision

- Comparaison de deux ou plusieurs stratégies différant par:
 - Les évènements survenant au décours
 - Les décisions prises au décours
 - Les résultats (gains) constatés à l'issue

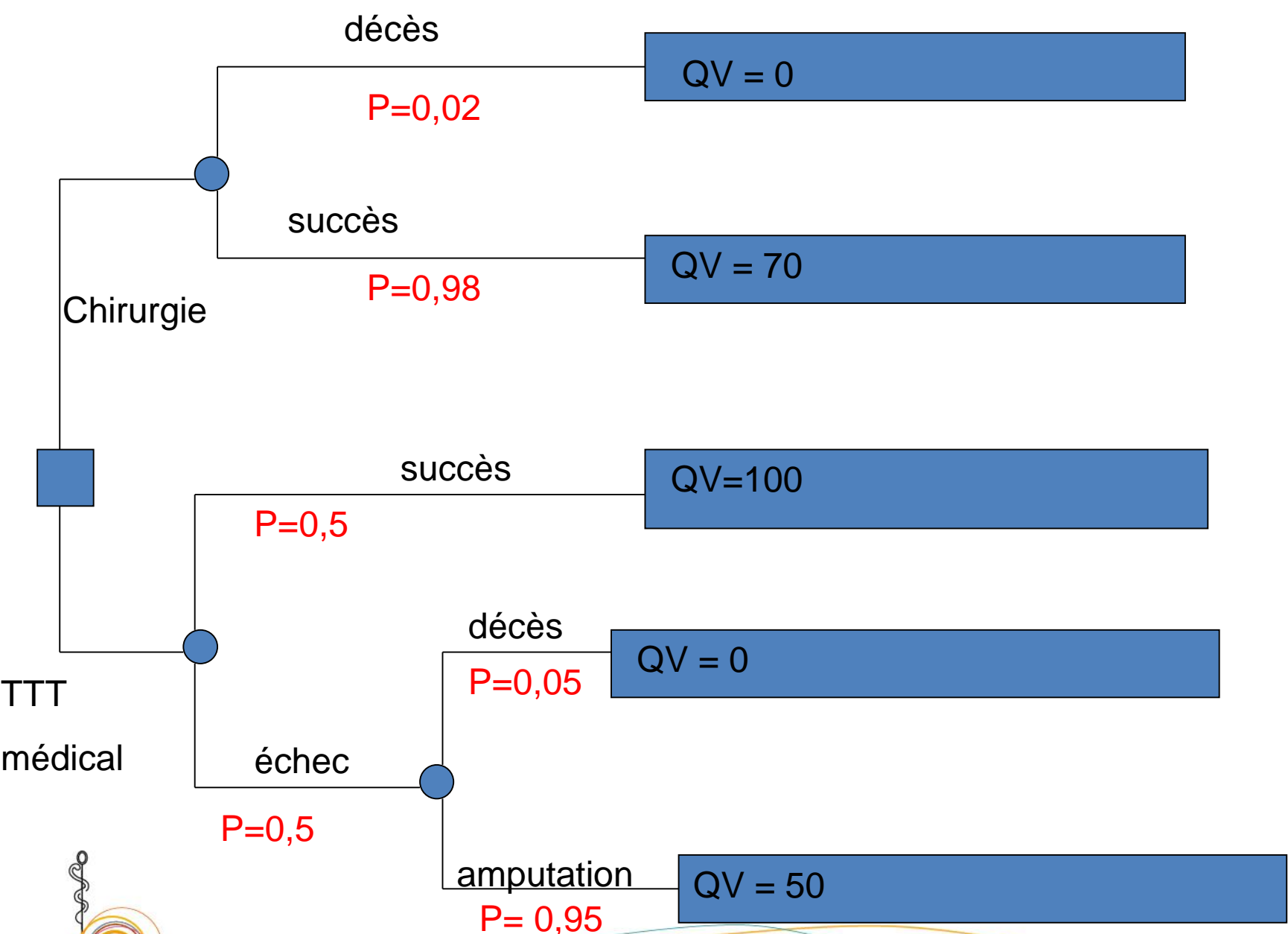
**Calcul du gain attendu de chaque stratégie
(espérance mathématique)**

Arbre de décision



Exemple 1

- Cas : femme de 70 ans, diabétique de type II, avec un ulcère froid du pied droit depuis 1 an.
- 2 thérapies possibles :
 - Chirurgie d'amputation immédiate sous le genou
 - Ttt médical avec en cas d'échec, chirurgie d'amputation au dessus du genou
- Mesures :
 - *Chirurgie immédiate* :
 - Risque de décès durant l'intervention = 2%
 - Qualité de vie = 70/100
 - *Ttt médical* :
 - Efficacité = 50%
 - Qualité de vie = 100/100
 - Si échec : Risque de décès durant la chirurgie = 5%, qualité de vie = 50/100



Gains attendus

- Gain attendu stratégie chirurgie :
 $(0.98 \times 70) + (0.02 \times 0) = 68.6$
- Gain attendu stratégie médicale :
 $(0.5 \times 100) + (0.05 \times 0.95 \times 0.5) + (0.5 \times 0.05 \times 0) = 73.5$

Exemple 2

- Cas :
 - Homme âgé de 60 ans insuffisant rénal
 - Deux traitements possibles :

Dialyse :

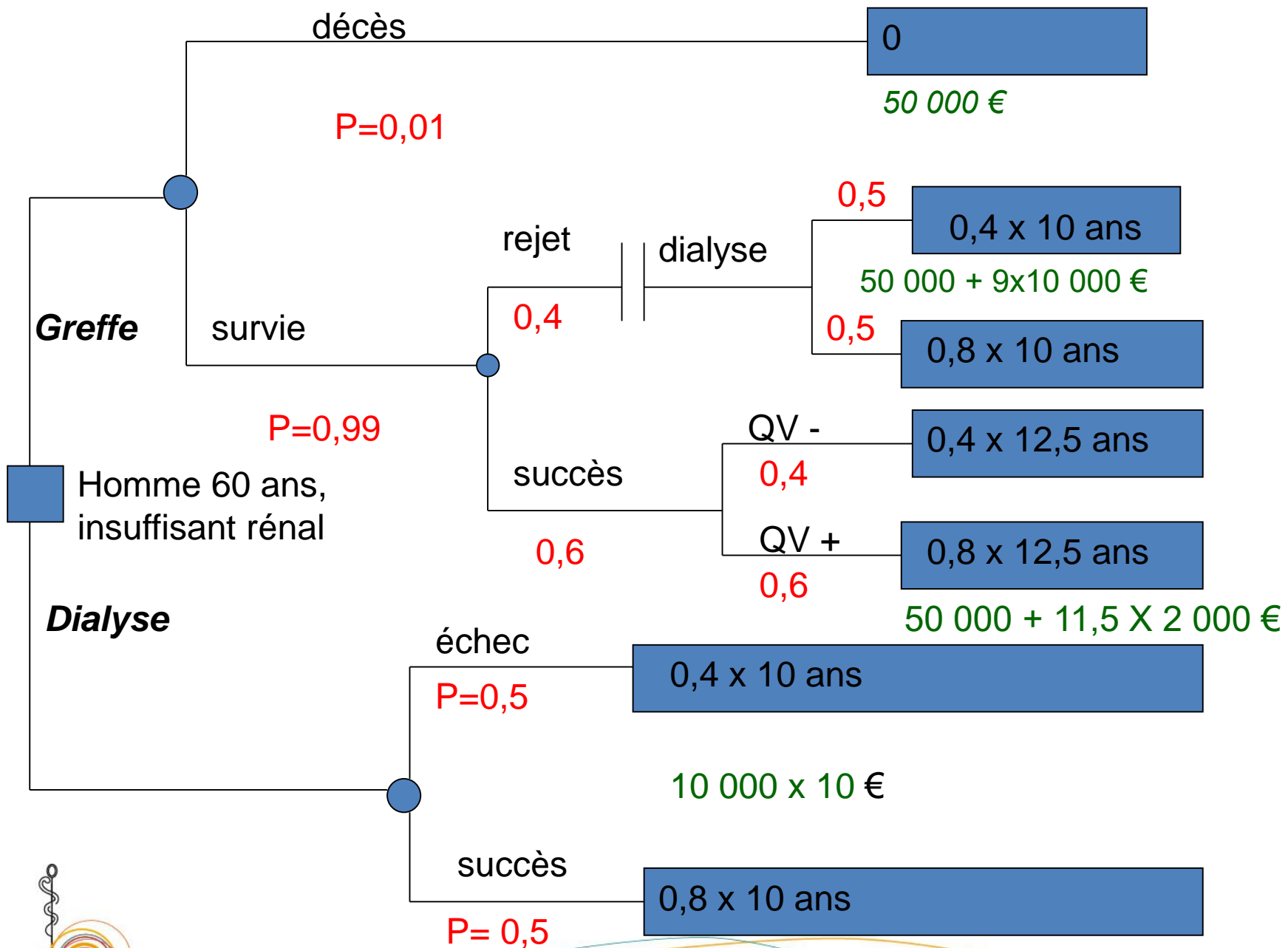
Espérance de vie = 10 ans
 $P(\text{QV acceptable}) = 0,5$
QV acceptable = 0,8
 $P(\text{QV détériorée}) = 0,5$
QV détériorée = 0,4
Coût/an = 10 000 €/an

Greffe :

Espérance de vie = 12,5 ans
 $P(\text{décès}) = 1\%$
 $P(\text{rejet greffe}) = 0,4$
 $P(\text{QV acceptable}) = 0,6$
QV acceptable = 0,8
 $P(\text{QV détériorée}) = 0,4$
QV détériorée = 0,4
Coût = 50 000 € la 1ère année puis 2 000 €/an

Questions

- 1. Arbre de décision ?
- 2. Calculer les gains attendus en fonction de l'espérance de vie ajustée sur la qualité de vie



- Gain attendus en dialyse :
 - $(0,5*0,4*10) + (0,5*0,8*10) = 6$ années ajustées sur la qualité de vie
- Gain attendus avec la greffe rénale :
 - $(0,01*0) + (0,99*0,4*0,5*0,4*10) + (0,99*0,6*0,4*0,4*12,5) + (0,99*0,4*0,5*0,8*10) + (0,99*0,6*0,6*0,8*12,5) = 7,13$ années ajustées sur la qualité de vie
- Coûts :
 - Dialyse : $(0,5*10\ 000*10) + (0,5*10\ 000*10) = 100\ 000$ €
 - Greffe : $0,01*50000 + [0,4*(50000+9*10000) + 0,6*(50000+11,5*2000)]*0,99 + 0,01*50000 = 99\ 302$ €



Exemple 3

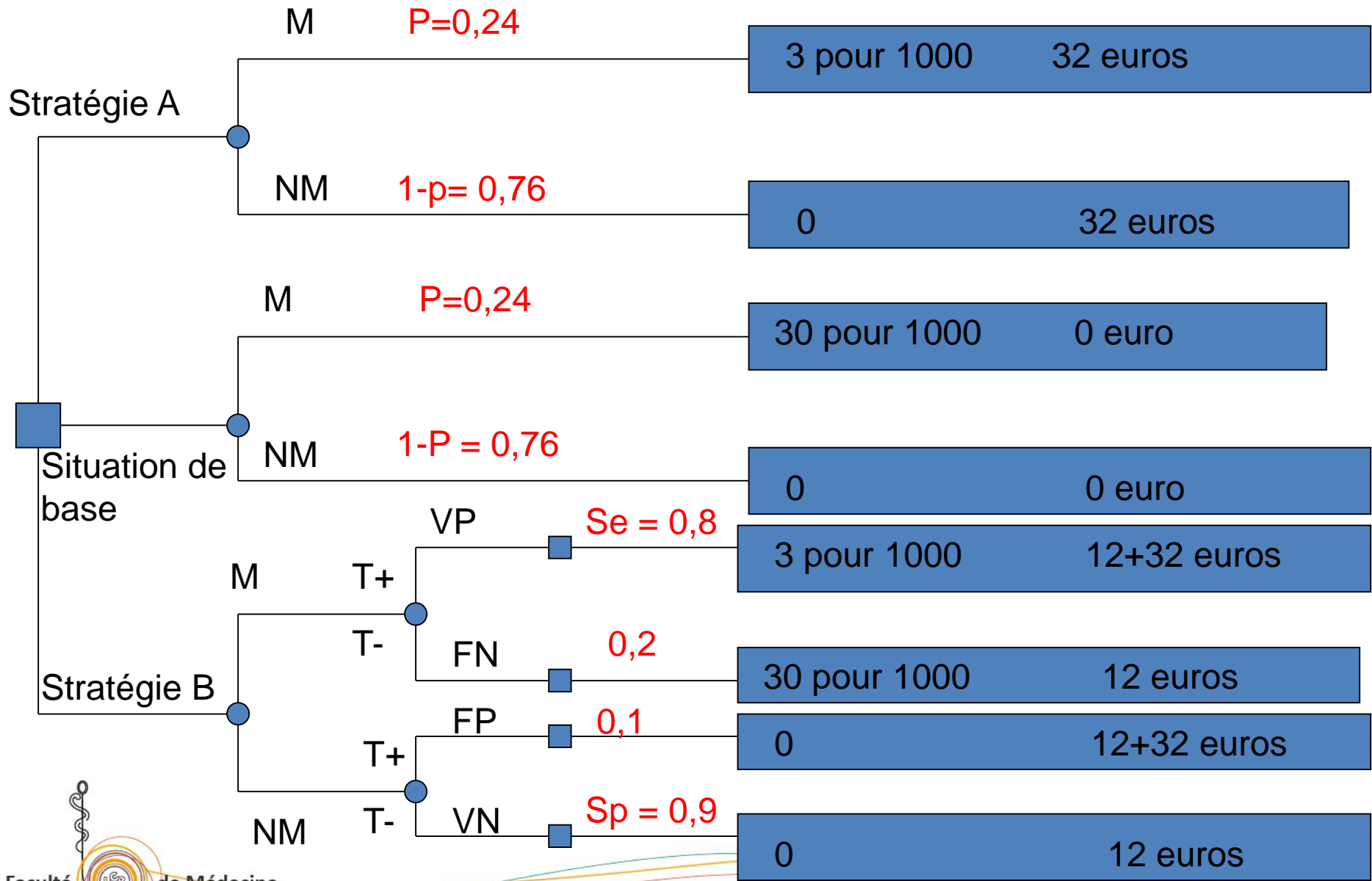
- Etude coût-efficacité d'une politique de prévention du RAA
 - Complication de l'angine aiguë à streptocoque A = RAA
 - Parmi les angines aiguës, prévalence (strepto A) = 24%
 - Incidence du RAA = 30 pour 1000 angines streptococciques
 - Risque rhumatismal divisé par 10 si 1 injection IM d'Extencilline® dans 1ère semaine de l'angine
 - Gold standard : élévation significative du titre des antistreptolysines O dans sérum, 3 semaines après le début de l'angine
 - Test référentiel = prélèvement de gorge + culture (Se = 0,80 et Sp=0,90)
 - Une dose IM d'Extencilline® = 32 euros
 - Un test diagnostique = 12 euros.



Exemple 3 (suite)

- 2 types de stratégies de prévention du RAA:
 - Ttt systématique (stratégie A): Extencilline®. Attention, ttt antibiotique n'est pas sans risque
 - Test de dépistage rapide (stratégie B): ne reçoivent l'injection IM d'Extencilline® que les enfants testés positifs
- Laquelle de ces 2 stratégies offre le meilleur ratio coût-efficacité (ie le moins élevé) ?

Exemple 3



- Gain avec stratégie « rien » :
 - $0,24 * 30.10^{-3} + 0*0,76 = 7,2$ RAA pour 1000 angines aiguës
- Gain avec stratégie A « Extencilline® systématique » :
 - $0,24*3.10^{-3} + 0*0,76 = 0,72$ RAA pour 1000 angines aiguës
 - Efficacité préventive de la stratégie A = $7,2 - 0,72 = 6,48$ RAA évités pour 1000 angines traitées systématiquement
- Gain avec stratégie B « test » :
 - $[(3*0,8) + (30*0,2)]*0,24 = 2,0$ RAA pour 1000 angines aiguës
 - Efficacité préventive de la stratégie B = $7,2 - 2,0 = 5,2$ RAA évités pour 1000 angines traitées selon les résultats du test diagnostique

- Coûts avec stratégie « rien » :
 - **0 €**
- Coûts avec stratégie A « Extencilline® » :
 - $32 * 1\ 000 =$ **32 000 €**
- Coûts avec stratégie « test » :
 - On ne traite que les positifs :
 - $0,24 * 1\ 000 = 240$ enfants porteurs de Streptocoque A.
 - Vrais positifs = $240 * 0,8 = 192$ ont reçu Extencilline
 - Faux positifs = $(1000 - 240) * (1 - 0,9) = 76$ ont reçu Extencilline à tort
 - Au total = $(76 + 192) * 32 = 8\ 576$ €
 - Coût du test : $1000 * 12 = 12\ 000$ €
 - Coût total de la stratégie « test » =
 - $12\ 000 + 8\ 576 =$ **20 576 €**

Rapport coût-efficacité

- $RCE = \Delta C / \Delta E$
- RCE stratégie A / situation de base =
 - $(32\ 000 - 0) / (7,2 - 0,72) = 32\ 000 / 6,48 = \underline{\underline{4\ 938\ € \text{ par RAA évité}}}$: coût de l'unité d'efficacité préventive de la stratégie A
- RCE stratégie B / situation de base =
 - $(20\ 576 - 0) / (7,2 - 2,0) = 20\ 576 / 5,2 = \underline{\underline{3\ 957\ € \text{ par RAA évité}}}$: coût de l'unité d'efficacité préventive de la stratégie B
- Stratégie A a la plus grande efficacité préventive, mais est la plus coûteuse.
Stratégie B a le plus faible coût par unité d'efficacité préventive. Son RCE est le plus bas.

Rapport coût efficacité différentiel ou marginal

- B a une efficacité préventive moindre
- On précise alors quelle dépense monétaire supplémentaire serait exigée pour appliquer la stratégie A dont l'efficacité préventive est supérieure
- $RCE \text{ de } A/B = (\text{Coût } A - \text{Coût } B) / (\text{Efficacité } A - \text{efficacité } B)$
- $RCE = (32\,000 - 20\,576) / (6,48 - 5,2)$
- $RCE = 8\,925 \text{ € par RAA évité supplémentaire}$

Rapport d'efficience

- Exprime la quantité d'efficacité qu'on peut en moyenne attendre de l'engagement d'une unité monétaire, investie ou dépensée.
- $RE = E/C$
- Efficience de la stratégie A = $6,48/32\ 000 = 0,00020$ RAA évités par euro investi ou 20 RAA pour 100 000 € investis.
- Efficience de la stratégie B = $5,3/20\ 576 = 0,00025$ RAA évités par euro investi ou 25 RAA pour 100 000 € investis.
- La stratégie B est plus efficiente que la A. Son rendement monétaire, sa productivité sont $>$ à B

Rapport d'efficacité marginale

- $(\text{Efficacité de A} - \text{efficacité de B}) / (\text{coût de A} - \text{Coût de B})$
- $= (6,48-5,2) / (32\ 000-20\ 576) = 0,00011$
- En choisissant A plutôt que B, on évite 11 RAA supplémentaires pour une dépense supplémentaire de 100 000 €
- Si on choisit A, la prévention d'un RAA supplémentaire coûte 8 925 € soit $8\ 925 / 3\ 957 = 2,25$ fois plus cher que le coût de la prévention unitaire offerte par la stratégie B.
- Problème posé aux organismes payeurs, et en dernier ressort à la collectivité :
 - «disposition à accepter cette efficacité supplémentaire à ce prix»
 - = « Willingness to pay »

Analyse coût-efficacité :

Plan d'étude

Définir le cas type (population cible) puis :

- 1. **Ecrire les objectifs** du programme de santé publique ou de la stratégie diagnostique/ thérapeutique
- 2. **Choisir la mesure d'efficacité**
 - *Ex: 2 traitements comparés en terme de coût/année de vie gagnée ou 2 dépistages comparés sur le coût/cas dépisté.*
- 3. **Définir les unités de mesure** de l'efficacité : résultat intermédiaire ou final de santé ?

- 4. Définir la perspective d'analyse
 - Le point de vue du payeur : Qui paye ?
 - Perspective de l'Assurance-Maladie (ce qu'elle rembourse)
 - Perspective du malade et de sa famille
 - Perspective de l'hôpital
 - Perspective de la société
- 5. Fixer l'horizon temporel de l'étude
 - Selon la durée habituelle de survenue des évènements évitables
 - Selon l'histoire naturelle de la maladie
 - Selon l'espérance de vie de l'individu



- 6. Construire l'étude des coûts
 - Catégories de coûts à considérer
 - Coûts d'exploitation du secteur des soins
 - Coûts d'exploitation hors secteur de soins
 - Coûts de prise en charge par les malades et leurs familles
 - Mesurer les coûts en unités physiques :
 - Actes médico-techniques (nomenclature)
 - Temps de personnel médical/paramédical (heures)
 - Valoriser les coûts en unités monétaires dans la perspective choisie
 - Actualiser les coûts en fonction du temps (5%/an)

– 3 types de coûts :

- Coûts directs : valeur de l'ensemble des ressources consommées, liées à la prise en charge de la maladie.
 - Coûts directs médicaux: médicaments, hospitalisation, consultations, examens bio et radio, ttt des effets secondaires.
 - Coûts directs non médicaux : transport, aides à domicile, soins de bénévoles...
- Coûts indirects : pertes de productivité à un niveau macro-économique (patient et son entourage)
- Coûts intangibles : perte du bien-être du patient et de son entourage, liée à la maladie

- Exemples de valorisation de coûts directs
 - En médecine de ville :
 - Du point de vue de l'Assurance –maladie :
 - Valorisation sur la base des montants remboursés (régime général)
 - Coefficient de la Nomenclature générale des actes professionnels
 - Du point de vue du patient :
 - Partie non remboursée par l'assurance maladie y compris la couverture complémentaire
 - En établissement hospitalier public
 - Valorisation d'après les données du PMSI et par les tarifs des GHS.
- Coûts indirects :
 - Pertes de salaire brut liées à la maladie ou à un ttt
 - Ou mesure des surcoûts imposés à l'appareil productif (heures supplémentaires, intérim,...)
 - Indemnités journalières
- Coûts intangibles :
 - Études de qualité de vie

- Analyse de sensibilité
 - Prend en compte l'incertitude dans les évaluations économiques (données déterministes : ex: actualisation des coûts)
 - Teste la transposabilité des résultats d'une étude à d'autres contextes.
 - 3 étapes :
 - Identification des paramètres incertains
 - Choix des intervalles de variation vraisemblables des facteurs incertains
 - Énoncé des résultats de l'étude fondés sur les combinaisons correspondant aux estimations les plus probables, puis les plus prudentes, puis les moins prudentes.

Publication des résultats

- Rappel du contexte / Justification
- Objectifs
- Méthodes / Sources de données
 - Arbre de décision
 - Sources de données (étude, publications)
 - Analyses prévues (RCE, sensibilité)
 - Etude des coûts

Publication (suite)

- Résultats
 - Tableau des sources avec intervalles de variation
 - Calcul des ratio coût efficacité
 - Intervalles de confiance ou analyse de sensibilité
 - Courbes d'acceptabilité des RCE
- Discussion
 - Études publiées..
 - Recommandation

OBJECTIFS

- Comprendre l'évaluation en Economie de Santé
- Découvrir et construire un modèle probabiliste d'analyse de décision
- Intégrer des données cliniques et économiques dans un modèle
- Découvrir le protocole et la publication d'étude médico économique



A RETENIR

- Analyse minimisation des coûts
- Analyse coût efficacité
- Analyse coût bénéfice
- Analyse coût utilité
- Perspective et horizon temporel de l'évaluation





MOTS EN ANGLAIS

- Clinical decision analysis
- Cost effectiveness analysis
- Cost benefit analysis
- Cost utility analysis
- Cost minimisation
- Sensitivity analysis



REFERENCES

- Recherche Clinique. Penser, Réaliser, Publier. RECIF, Ed Albatros 2010
- Applied Methods of Cost-effectiveness Analysis in Health Care. AM Gray et al. Oxford University Press 2012
- Decision Modelling for Health Economic Evaluation. A Briggs et al. Oxford University Press 2011
- Methods for the economic evaluation of health care programmes. M Drummond et al, Oxford University Press 2015

Des questions

Cyrille Colin

cyrille.colin@chu-lyon.fr

UE 1 DFGSM2 Faculté Lyon Est