# INTRODUCTION À L'ÉVALUATION MÉDICO-ECONOMIQUE

- JAMAL ATFEH

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

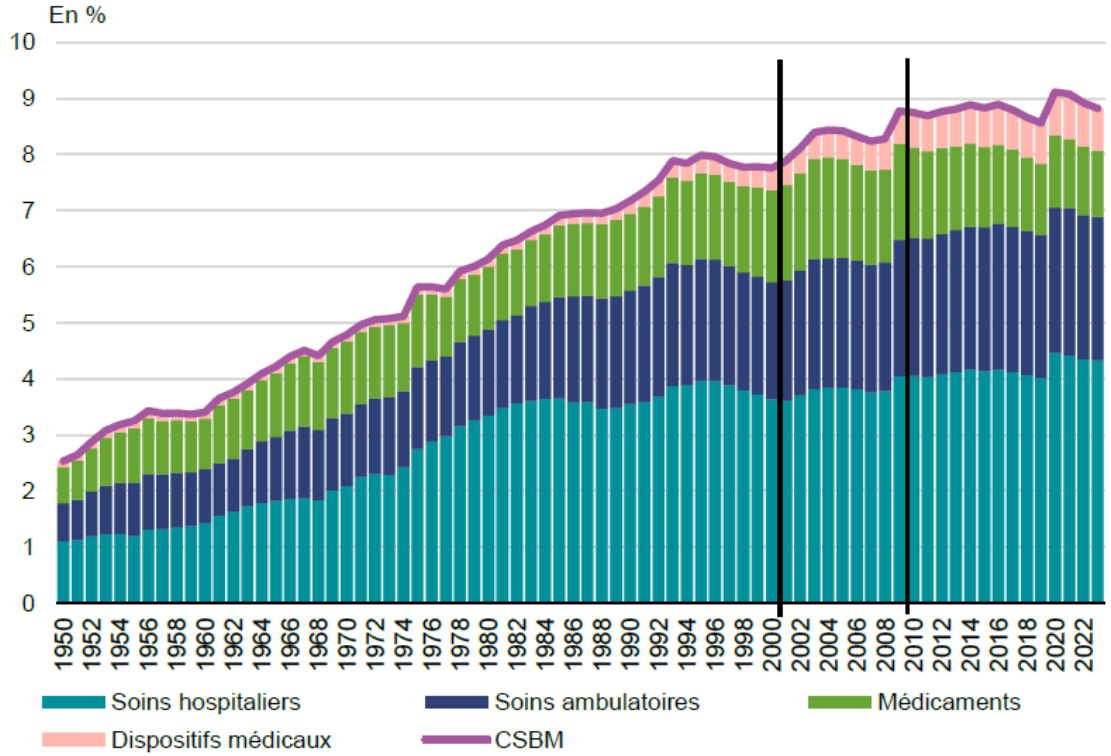
www.chu-lyon.fr

# CONTEXTE ET INTÉRÊT

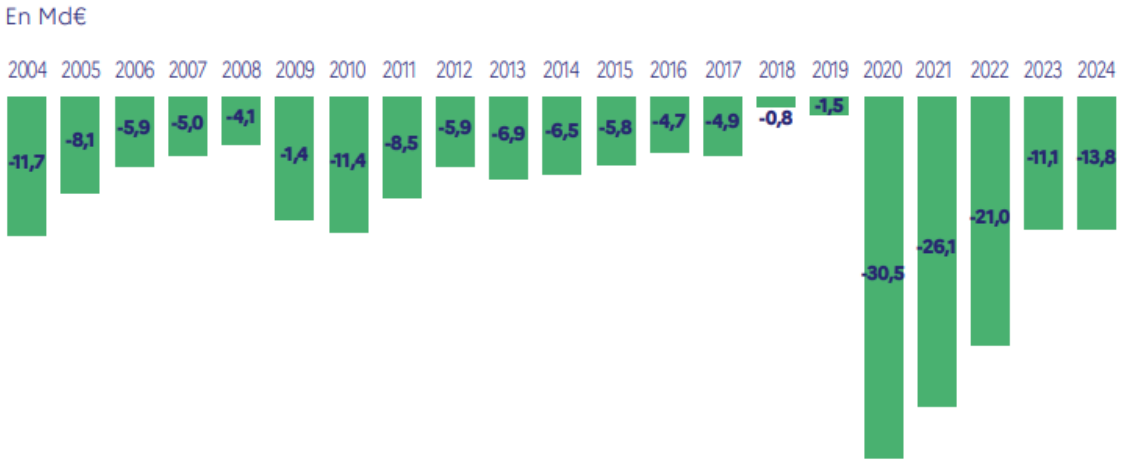
# ↗ PRESSIONS SUR LES RESSOURCES DU SYSTÈME DE SANTÉ



**Graphique 4** La CSBM et ses principaux postes en pourcentage du PIB depuis 1950




**Note** > Rupture de série entre les années 2000 et 2001 et entre 2009 et 2010.
**Sources** > DREES, comptes de la santé, Insee pour le PIB.




**9 Évolution du solde de la branche Maladie**

Source : Commission des comptes de la sécurité sociale, juin 2025.

# COÛT ÉLEVÉ DE L'INNOVATION



THE LANCET
Oncology

Rising costs of cancer medicines

Sharmila Devi

zolgensma®
(onasemnogene abeparvovec-xioi)
suspension for intravenous infusion

2 Millions d'euros la dose
→Amyotrophie spinale

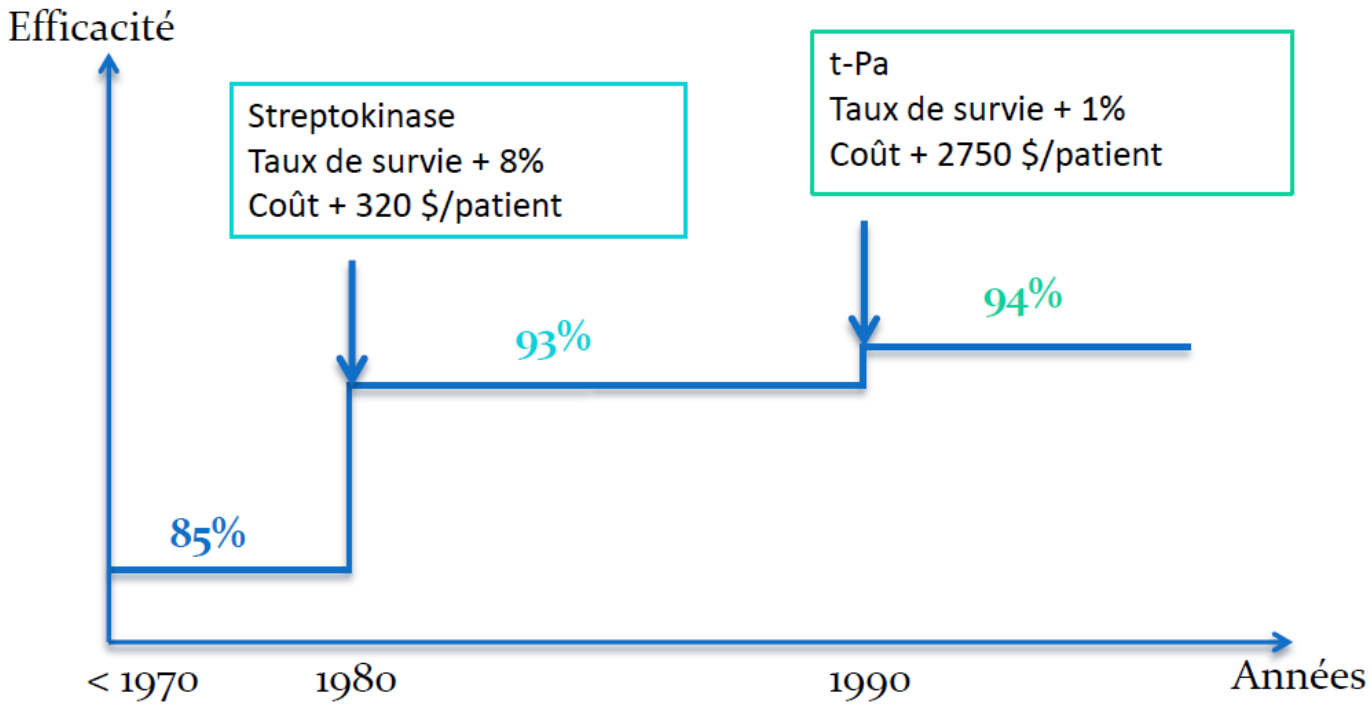



Robots chirurgicaux

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# LOI DES RENDEMENTS DÉCROISSANTS






**Innovations techniques et médicales de + en + chères**
**Pour de moindres rendements d'efficacité**

# FINANCEMENT DES SOINS SOCIALISÉ, PUBLIC



**Tableau 2** Structure du financement des grands postes de la CSBM entre 2013 et 2023

En %

| | 2013 | 2019 | 2020 | 2021 | 2022 | 2023 |
|---|---|---|---|---|---|---|
| **Ensemble de la CSBM** (100 %) | | | | | | |
| Sécurité sociale | 75,5 | 76,9 | 77,8 | 79,0 | 79,4 | 79,5 |
| État | 1,6 | 1,7 | 2,6 | 0,8 | 0,6 | 0,6 |
| Organismes complémentaires | 13,0 | 13,0 | 12,0 | 12,5 | 12,3 | 12,4 |
| Ménages | 9,9 | 8,4 | 7,7 | 7,7 | 7,7 | 7,5 |
| **Soins hospitaliers** (49,1 %) | | | | | | |
| Sécurité sociale | 89,8 | 90,6 | 90,3 | 91,9 | 92,5 | 92,6 |
| État | 1,8 | 1,6 | 3,2 | 1,4 | 1,0 | 0,9 |
| Organismes complémentaires | 3,8 | 4,0 | 3,9 | 3,4 | 3,4 | 3,5 |
| Ménages | 4,6 | 3,8 | 2,6 | 3,2 | 3,1 | 3,0 |
| **Soins de médecins et sages-femmes** (10,5 %) | | | | | | |
| Sécurité sociale | 69,1 | 71,1 | 73,0 | 74,6 | 74,7 | 73,7 |
| État | 1,6 | 1,7 | 1,8 | 0,3 | 0,3 | 0,3 |
| Organismes complémentaires | 19,2 | 19,0 | 17,8 | 17,7 | 16,9 | 17,4 |
| Ménages | 10,2 | 8,2 | 7,4 | 7,5 | 8,2 | 8,6 |
| **Biens médicaux** (21,9 %) | | | | | | |
| Sécurité sociale | 61,0 | 62,2 | 62,4 | 62,9 | 62,9 | 63,2 |
| État | 1,1 | 1,3 | 1,6 | 0,3 | 0,3 | 0,3 |
| Organismes complémentaires | 21,2 | 21,3 | 19,7 | 20,8 | 21,1 | 21,3 |
| Ménages | 16,7 | 15,2 | 16,4 | 16,0 | 15,7 | 15,2 |

# INTÉRÊT DE L' ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE



- Rendue nécessaire par :
  - Une augmentation de la pression sur les ressources (enveloppe budgétaire limitée)
  - Une diffusion de nouvelles technologies de santé de + en + coûteuses
  - Une diminution du rendement des innovations en santé (mais avec un coût de + en + élevé)
  - Un financement des soins majoritairement public/collectif

- Nécessité d'avoir un outil d'aide à la décision pour identifier les stratégies de santé qui maximisent les bénéfices de santé pour un niveau de ressources ou un coût donné

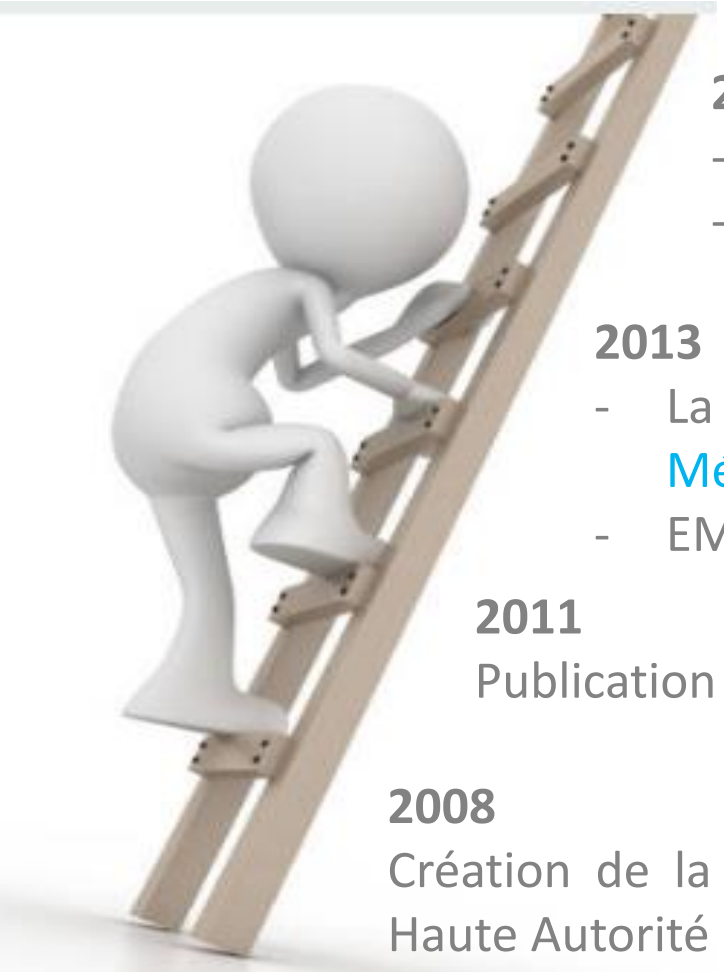
- Finalité n'est pas de dépenser moins mais de dépenser mieux → Efficience

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# L'ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE



*UN CONTEXTE FAVORABLE*



**2020**

Actualisation du guide méthodologique sur l'évaluation de l'efficience

**2016**

- La HAS demande une analyse d'impact budgétaire (AIB) en + de l'EME
- Publication d'un guide méthodologique sur l'AIB

**2013**

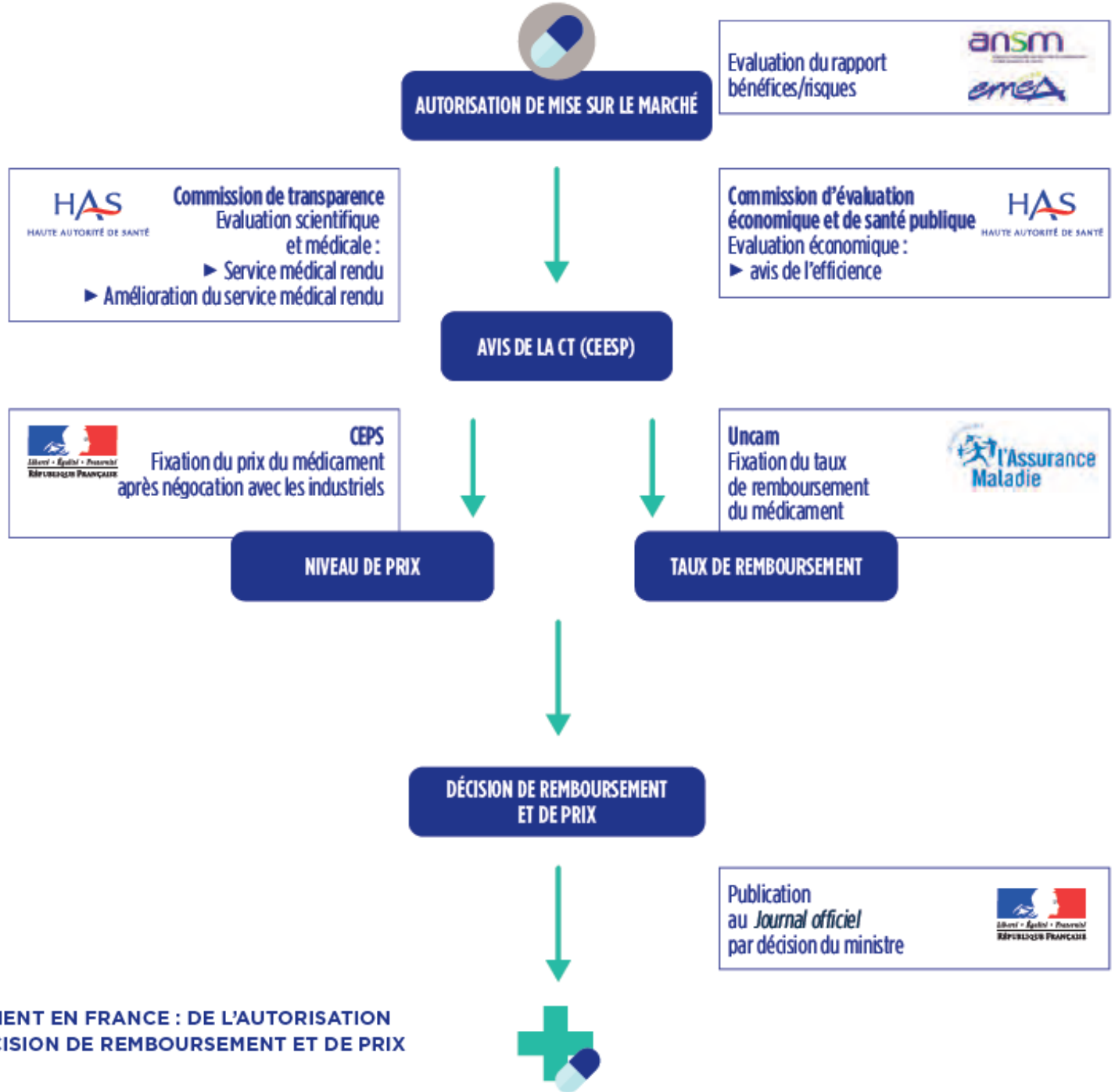
- La Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS) lance le Programme de Recherche Médico-Economique (PRME)
- EME demandé par la HAS pour la fixation du prix de certains DM/médicaments

**2011**

Publication d'un guide méthodologique sur l'EME

**2008**

Création de la Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) à la Haute Autorité de Santé (HAS)




**55** ACCÈS AU MARCHÉ D'UN MÉDICAMENT EN FRANCE : DE L'AUTORISATION DE MISE SUR LE MARCHÉ À LA DÉCISION DE REMBOURSEMENT ET DE PRIX

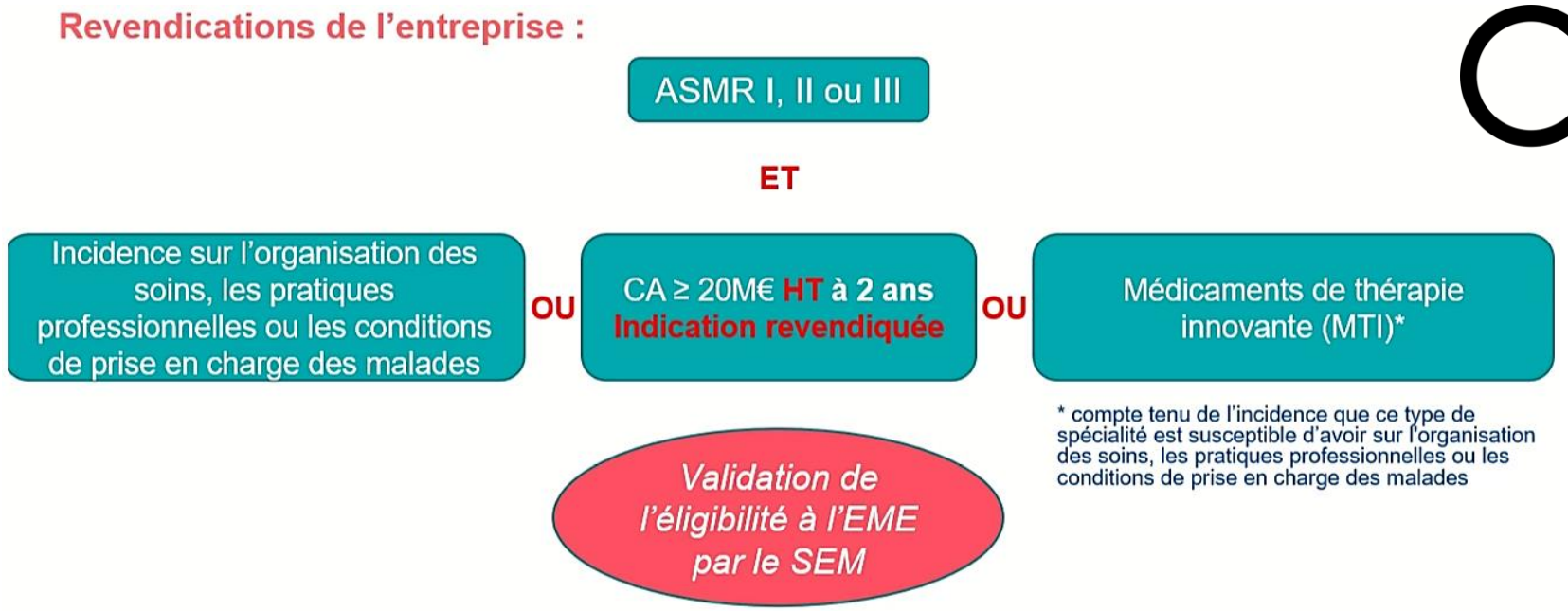
*Source : Leem, AEC Partners*

# AU NIVEAU NATIONAL



## CAS POUR LESQUELS UNE ÉVALUATION ÉCONOMIQUE EST REQUISE

Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP)




+ Analyse d'impact budgétaire

Si CA ≥ 50 M€ HT à 2 ans

Si une économie globale dans la PEC revendiquée.

# BASES DU RAISONNEMENT EN EME

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# PRINCIPE DE L' ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE



- Exemple 1

*Soit un essai clinique, avec une période de suivi de 5 ans et dans lequel on compare l'efficacité de deux traitements A et B.*

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

**Quel traitement privilégiez vous ?**

→ Traitement B ! Meilleure survie ET le traitement est moins coûteux

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# PRINCIPE DE L' ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE



- Exemple 2

*Soit un essai clinique, avec une période de suivi de 5 ans et dans lequel on compare l'efficacité de deux traitements A et B.*

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

**Quel traitement privilégiez vous ?**

→ Traitement B ?

# PRINCIPE DE L' ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE



- Exemple 3

*Soit un essai clinique, avec une période de suivi de 5 ans et dans lequel on compare l'efficacité de deux traitements A et B.*

| Traitement | Survie moyenne | Cout moyen par patient |
|---|---|---|
| A | 4,6 ans | 200 000 € |
| B | 4,8 ans | 800 000€ |

**Quel traitement privilégiez vous ?**

A partir de quelle différence d'efficacité et quel différentiel de coût, décide-t-on de sélectionner le traitement B ?
Arbitrage et règles de décision nécessaires → EME

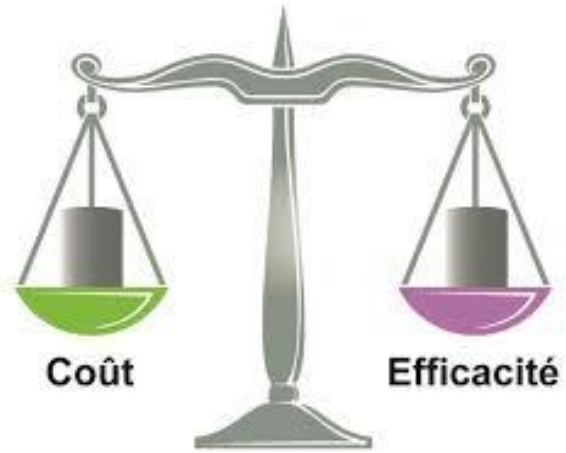
HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# PRINCIPE DE L'ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE



*DÉFINITION*

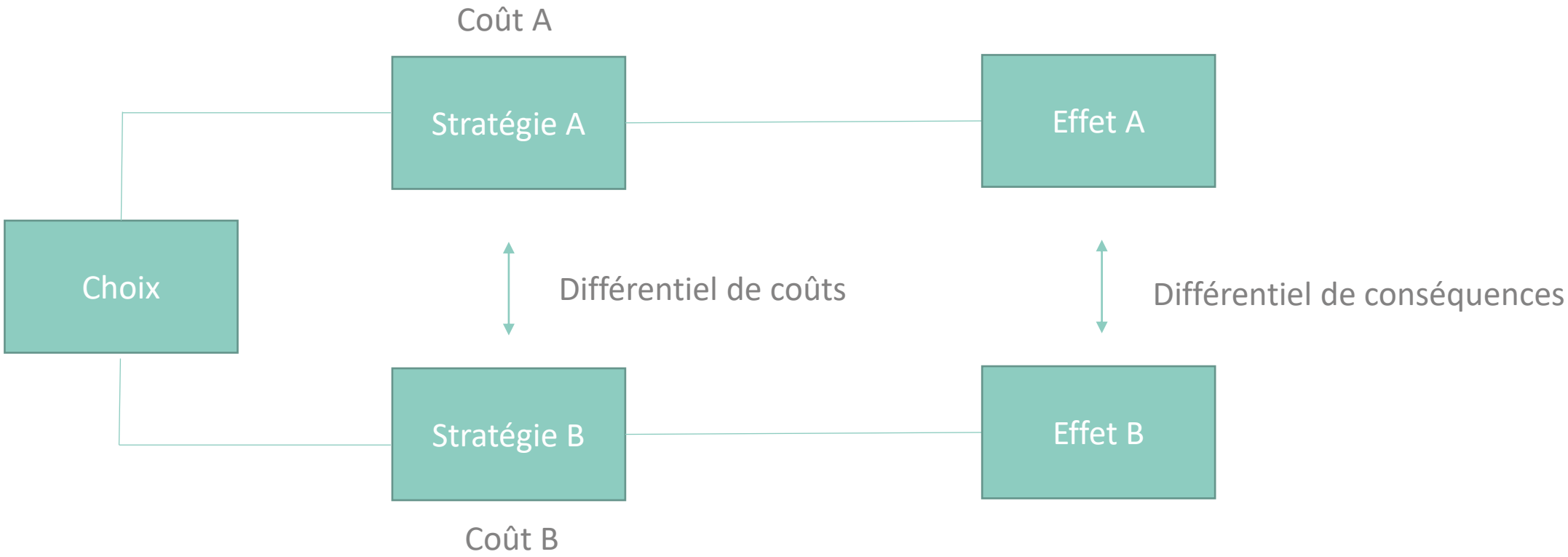
*L'analyse économique peut être définie comme l'analyse comparative d'options possibles sur la base de leurs coûts comme de leurs conséquences.*



# PRINCIPE DE L'ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE

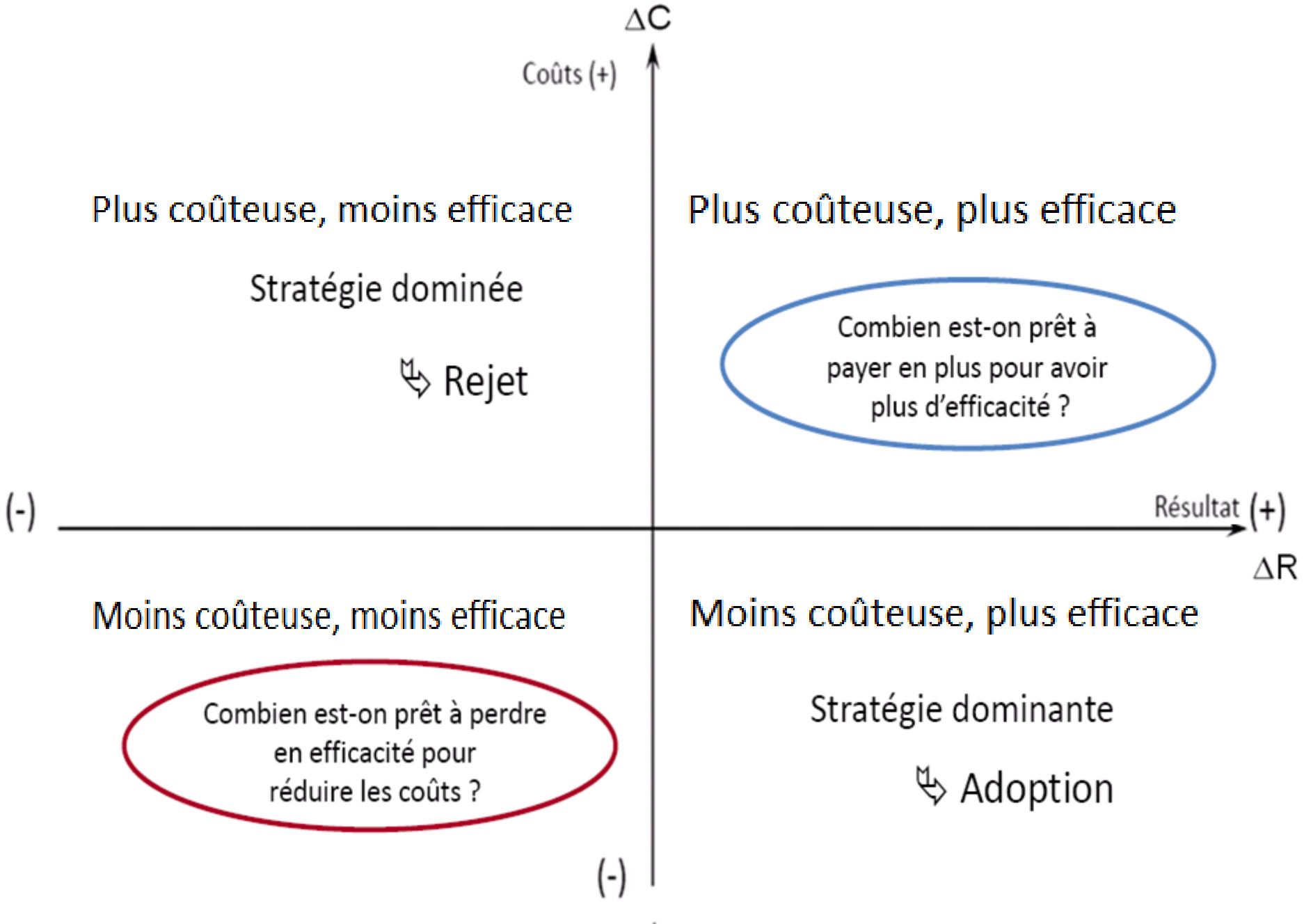


*DÉFINITION*



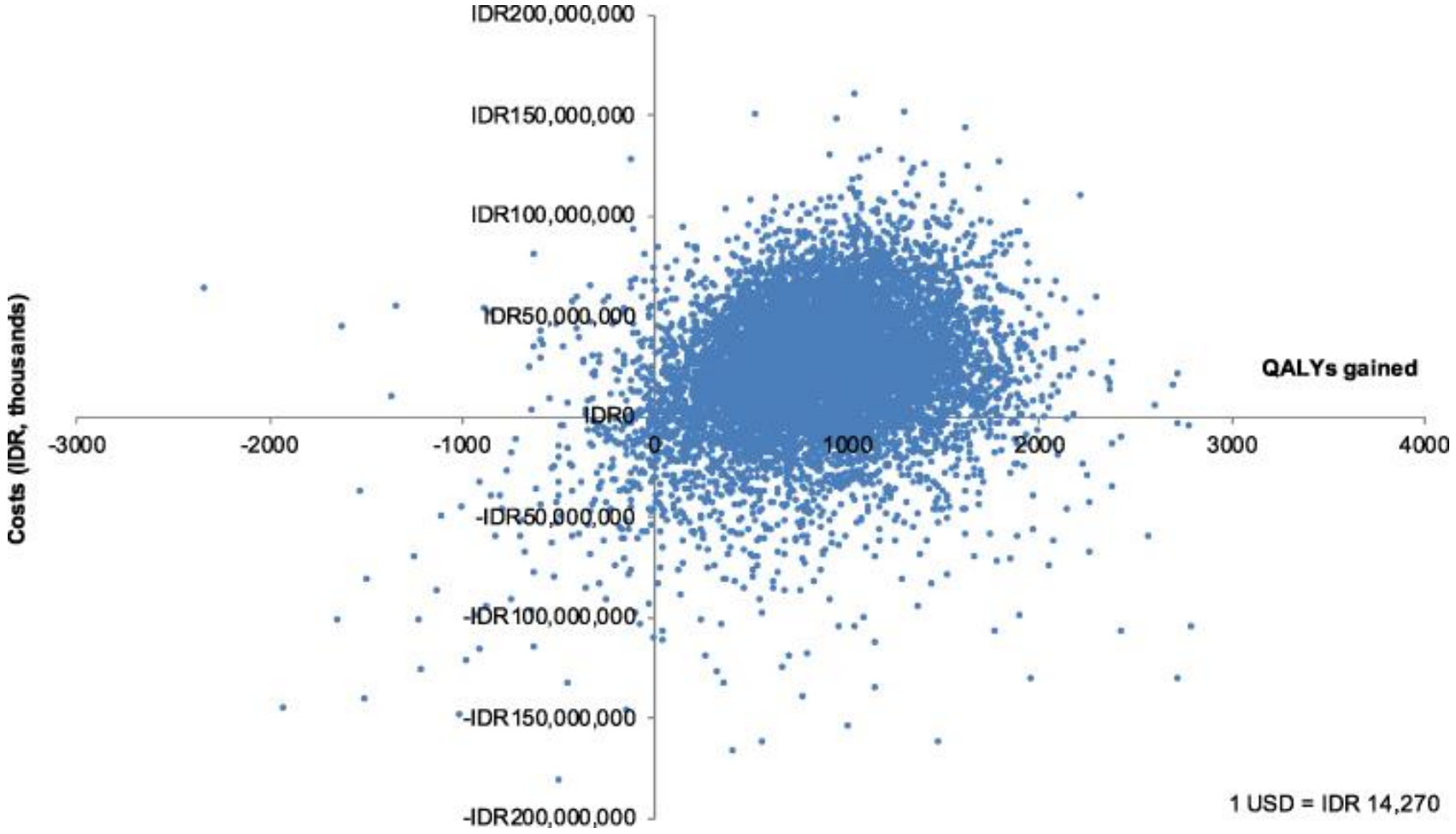
La stratégie étudiée, par rapport à la stratégie de référence est…





La stratégie étudiée, par rapport à la stratégie de référence est…



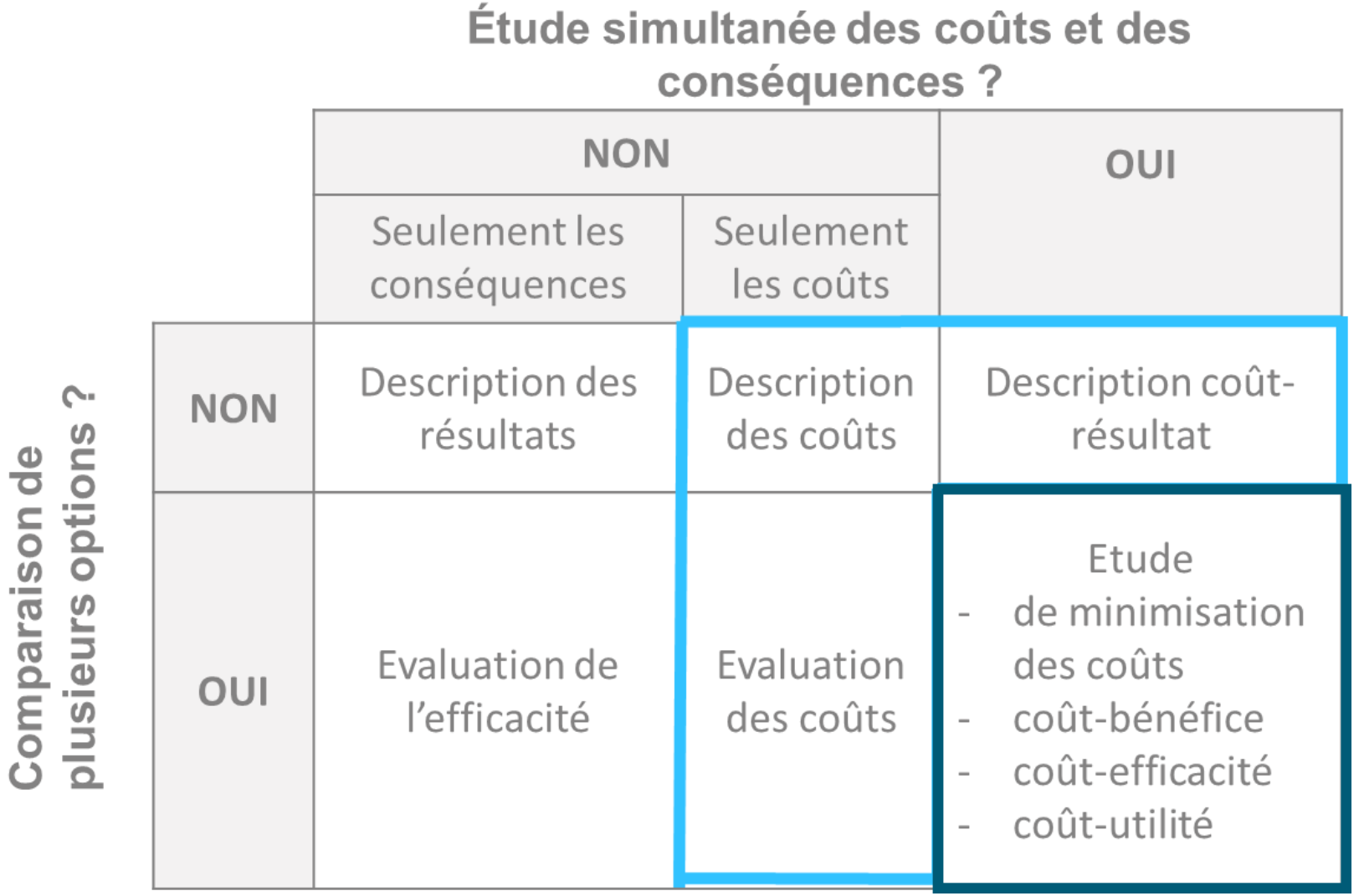



Information toujours imparfaite
Incertitude paramétrique, d'échantillonage etc..

Importance des analyses de sensibilités ++

Visualisation d'un ensemble des mondes possibles + scénario alternatifs

# LES DIFFÉRENTS TYPES D'ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE


Étude simultanée des coûts et des conséquences ?
NON
OUI
Seulement les conséquences
Seulement les coûts
Comparaison de plusieurs options ?
NON
OUI
Description des résultats
Description des coûts
Description coût-résultat
Evaluation de l'efficacité
Evaluation des coûts
Etude
- de minimisation des coûts
- coût-bénéfice
- coût-efficacité
- coût-utilité

# ETUDE DE MINIMISATION DES COÛTS



*CONDITIONS / HYPOTHÈSES*

- L'efficacité et la tolérance des stratégies comparées sont considérées comme identiques

= les stratégies comparées ne diffèrent que par les coûts

- En réalité, cela revient à fixer une inégalité tolérable

- Si A est moins coûteuse que B, A est plus efficiente

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# ETUDE COÛT-BENEFICE



## *CONDITIONS / HYPOTHÈSES*

- **Tous** les bénéfices doivent être évalués
- Le critère de résultat est exprimé en **unité monétaire**

- Avantages :
  - Permet la comparaison directe des coûts et des résultats
  - Permet de comparer des programmes où les résultats médicaux sont différents (survie vs évènement cardiovasculaire évité …)

- Inconvénient : Difficultés de traduire toutes les conséquences du programme en termes monétaires (+ méthodes spécifiques)

- Non recommandée

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# ETUDE COÛT-EFFICACITÉ



*CONDITIONS / HYPOTHÈSES*

- Les effets sont mesurés en unité physiques (nombre de cas évités, de vies sauvées, de récidives évitées…)

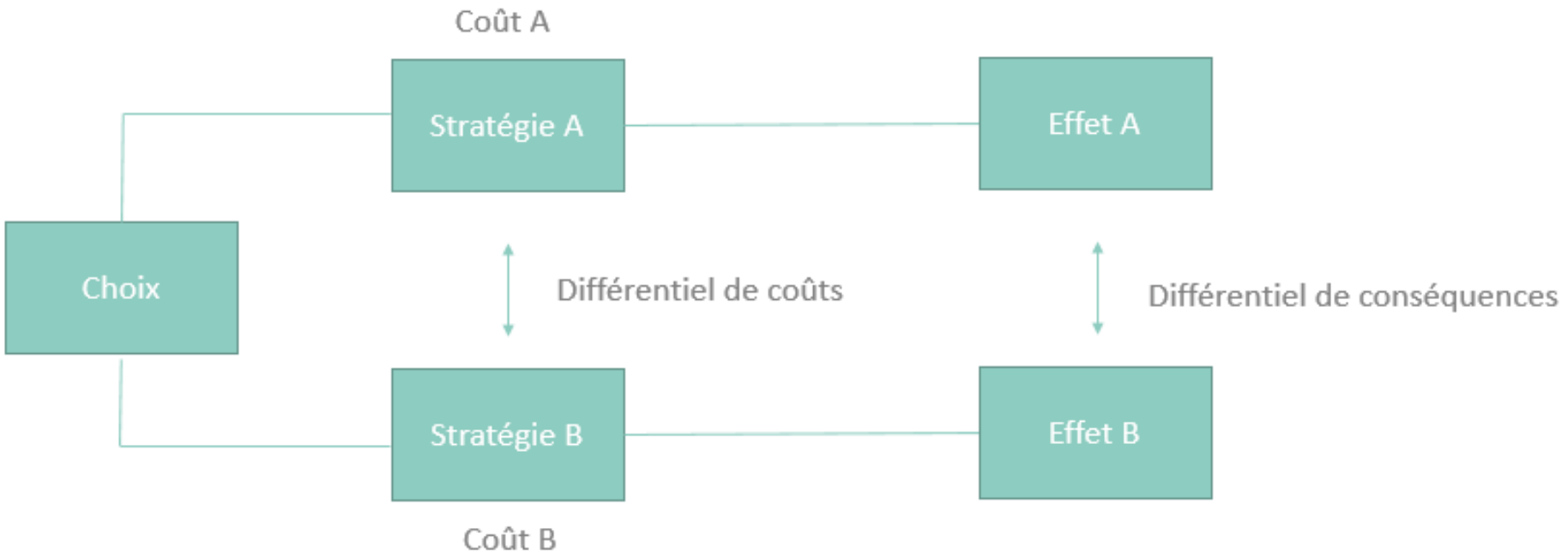
- Privilégier un résultat final de santé

- Le meilleur critère = année de vie gagnées (critère final ++), mais pas toujours adapté selon les stratégies évaluées /!\ → problèmes de comparaisons

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# ETUDE COÛT-EFFICACITÉ






$$RDCR = \frac{Coût_B - Coût_A}{Efficacité_B - Efficacité_A}$$

- Ratio coût/années de vie gagnées
- Ratio coût/complication évitée
- Ratio coût/cas dépisté
- …

# ETUDE COÛT-UTILITÉ



*CONDITIONS / HYPOTHÈSES*

- Unité de mesure de l'efficacité = Le **QALY**
- **Le QALY** combine :
  - **La quantité de vie** (années de vie gagnées grâce à une intervention médicale).
  - **Pondérée par la « qualité de vie »** (en réalité pondérée par une échelle d'utilité).

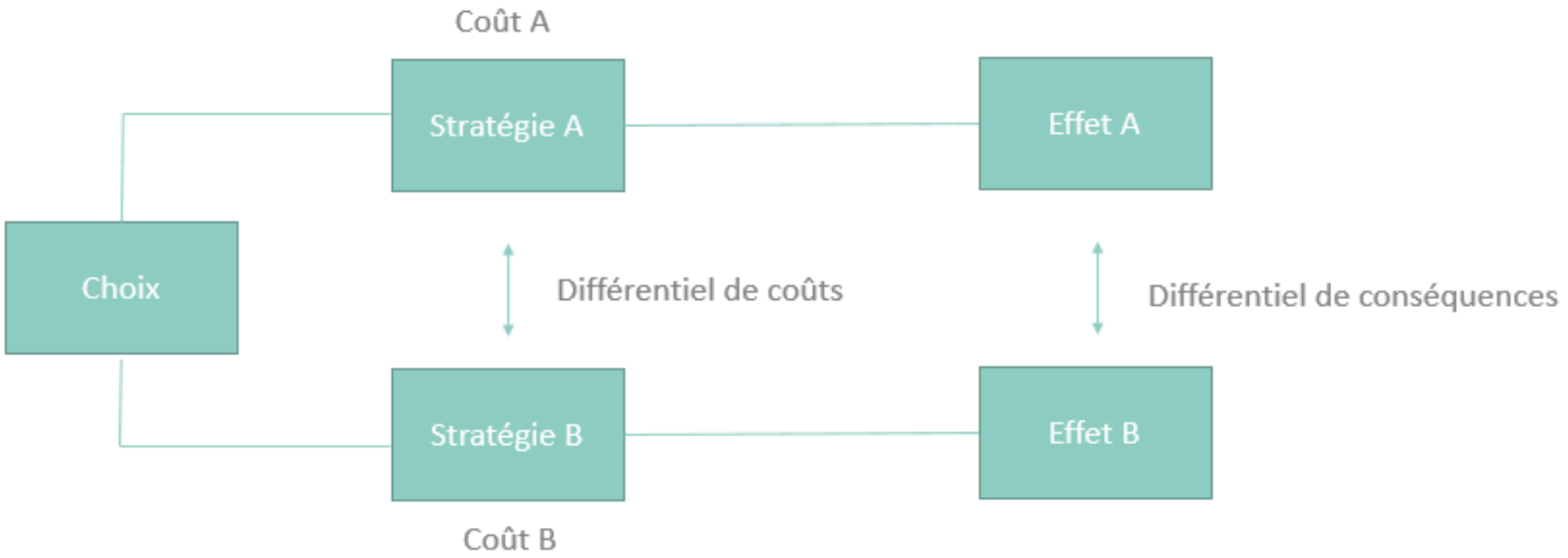
- Utilité : échelle qui traduit les **préférences** des individus pour des états de santé
- Critère transposable à plusieurs indications

- Importance de l'analyse coût-utilité :
  - Méthode préconisée au niveau international
  - Utilisé dans le processus de décision de prix et remboursement des produits de santé

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# ETUDE COÛT-UTILITÉ






$$RDCR = \frac{Coût_B - Coût_A}{Efficacité_B - Efficacité_A}$$

- Efficacité exprimée en QALY
- Ratio Coût par QALY Gagné, que l'on confronte (ou pas) à un seuil de disposition à payer

# SEUIL DE DISPOSITION À PAYER POUR UN QALY ?



- Intérêt ou non de fixer un seuil ? (UK vs France par exemple)

- Comment le détermine-t-on ?
  - 3x PIB par habitant ? (OMS)
  - Indexé sur la demande - enquête de propension à payer en population générale ?
  - Indexé sur l'offre – méthode du coût d'opportunité (PRME COMARQ, Antoine Bénard détermination d'un seuil à partir du SNDS)

- Doit il être adapté en fonction
  - du besoin médical dans l'indication ? (ex : severity modifier du NICE)
  - Du maintien du principe redistributif du système (innovation renforce l'équité)
  - De l'empreinte environnementale des traitements

…

# QU’EST-CE QU’UN QALY ?

# QUALITY-ADJUSTED LIFE YEAR (QALY)

10 années



≠

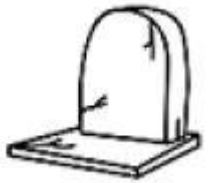




Utilité




➔ Nombre équivalent d'années de vie en parfait santé



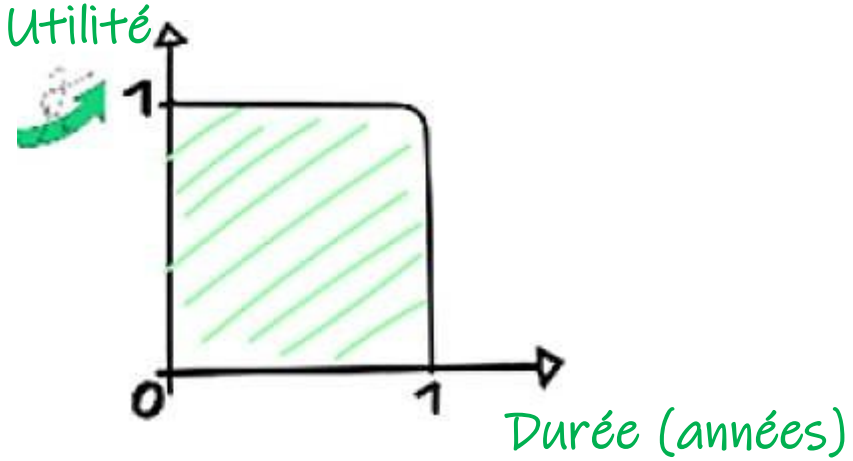
Score négatif possible !

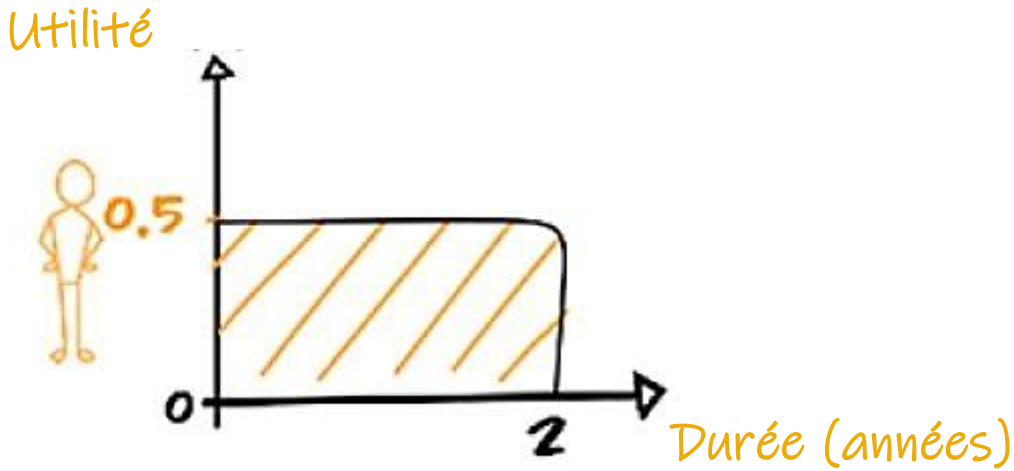
Source des illustrations : EMAUD

# QUALITY-ADJUSTED LIFE YEAR (QALY)

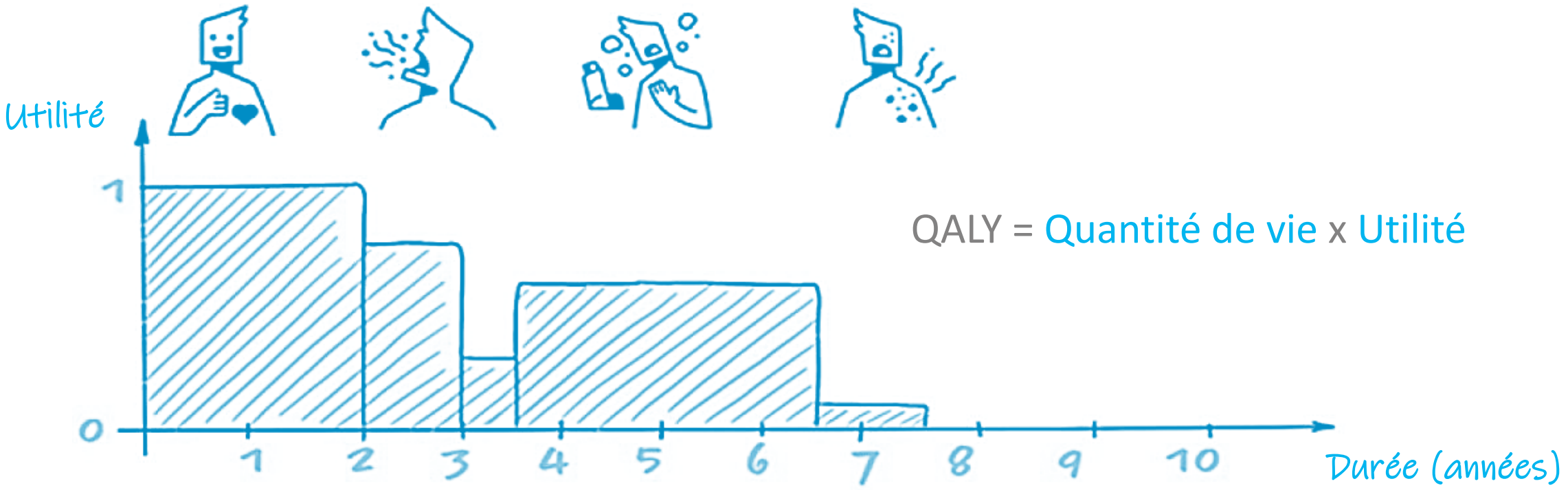
1 QALY = ?



# QUALITY-ADJUSTED LIFE YEAR (QALY)




QALY = Quantité de vie x Utilité

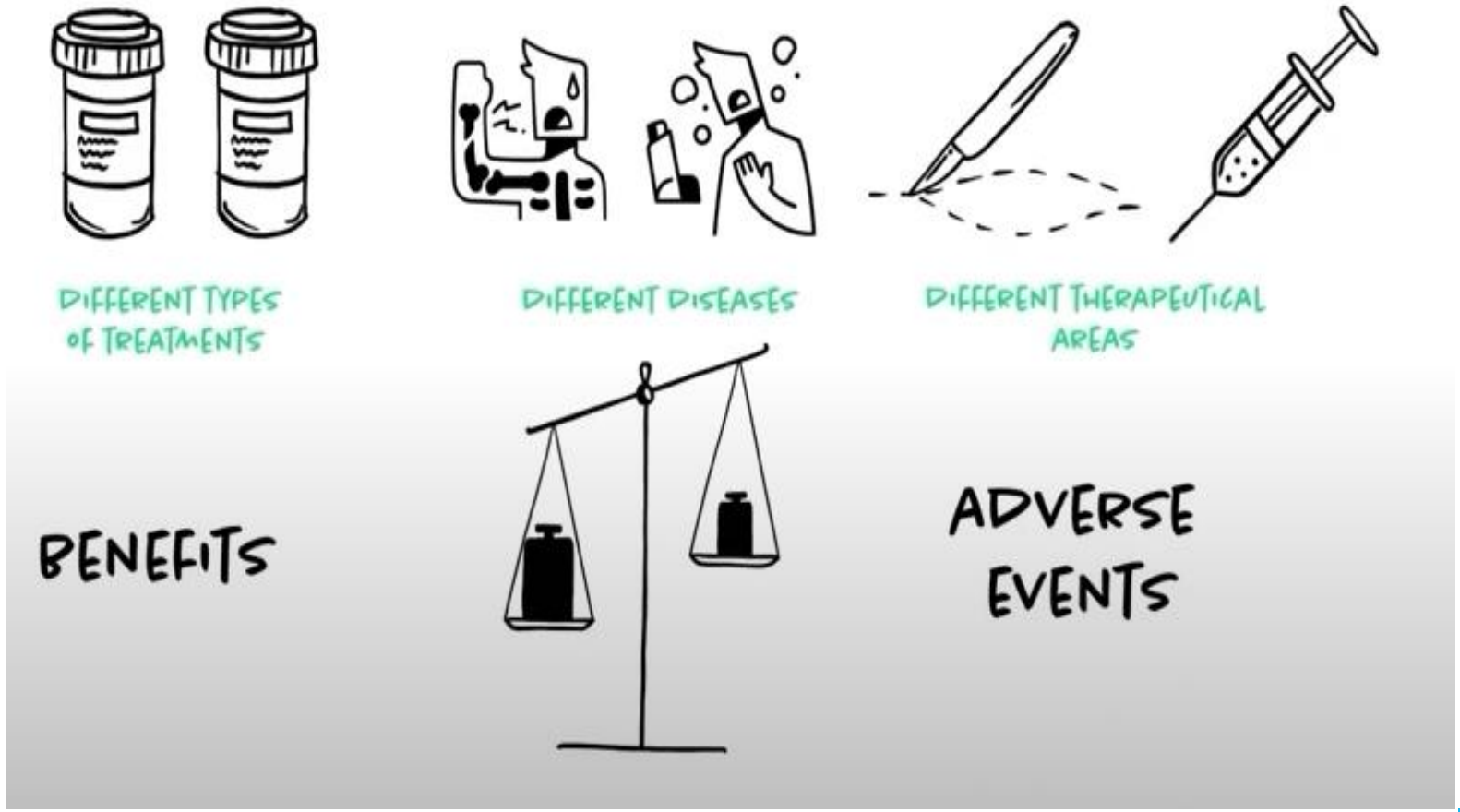
(2 x 1) + (1 x 0,8) + (0,5 x 0,3) + (3 x 0,6) + (1 x 0,1) = 4,85 QALYs

7,5 années dans cet état ↔ 4,85 années de vie en parfaite santé

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# INTÉRÊT DU QALY EN ÉVALUATION MÉDICO ÉCONOMIQUE

1 même métrique pour



# COMMENT ESTIMER LES SCORES DE PRÉFÉRENCE ?

## 1-MÉTHODES BASÉES SUR LES PRÉFÉRENCES DES PATIENTS

# MÉTHODE DE L'ARBITRAGE TEMPOREL (TIME TRADE OFF)



10 années

Etat de santé A






>

5 années

Parfaite santé



# MÉTHODE DE L'ARBITRAGE TEMPOREL (TIME TRADE OFF)





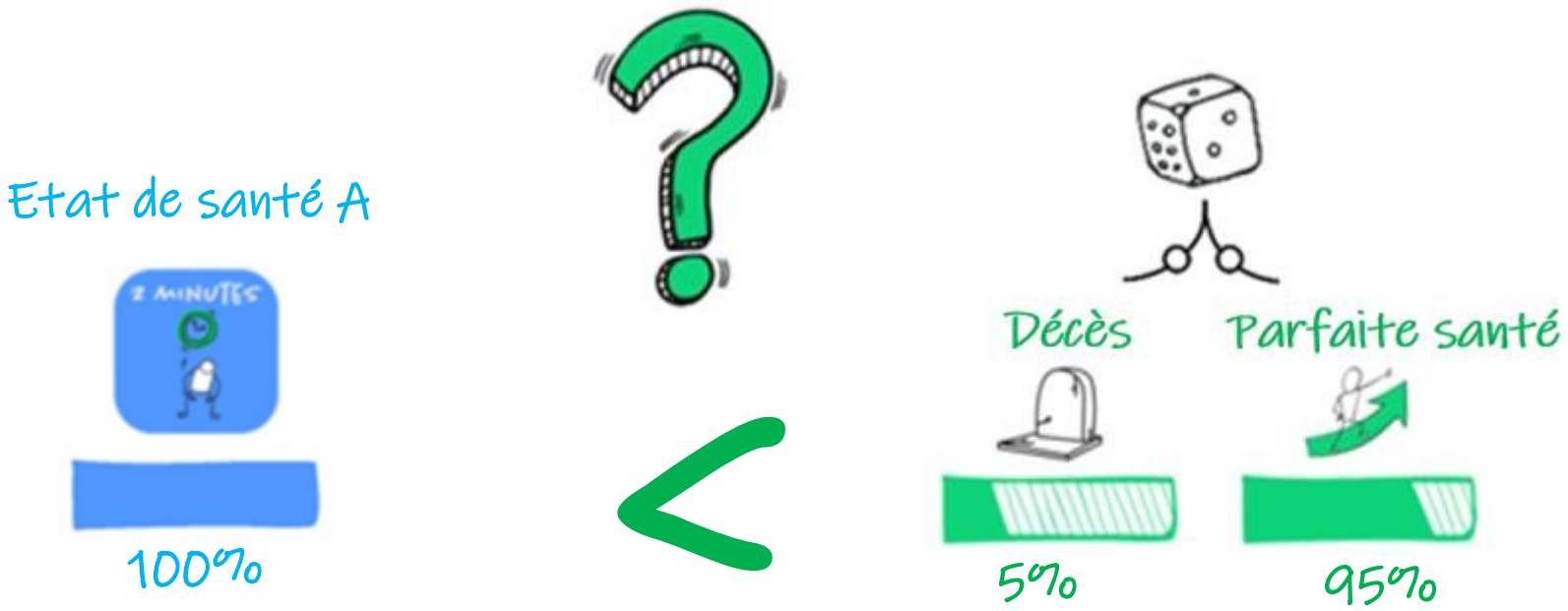
# MÉTHODE DE L'ARBITRAGE TEMPOREL (TIME TRADE OFF)





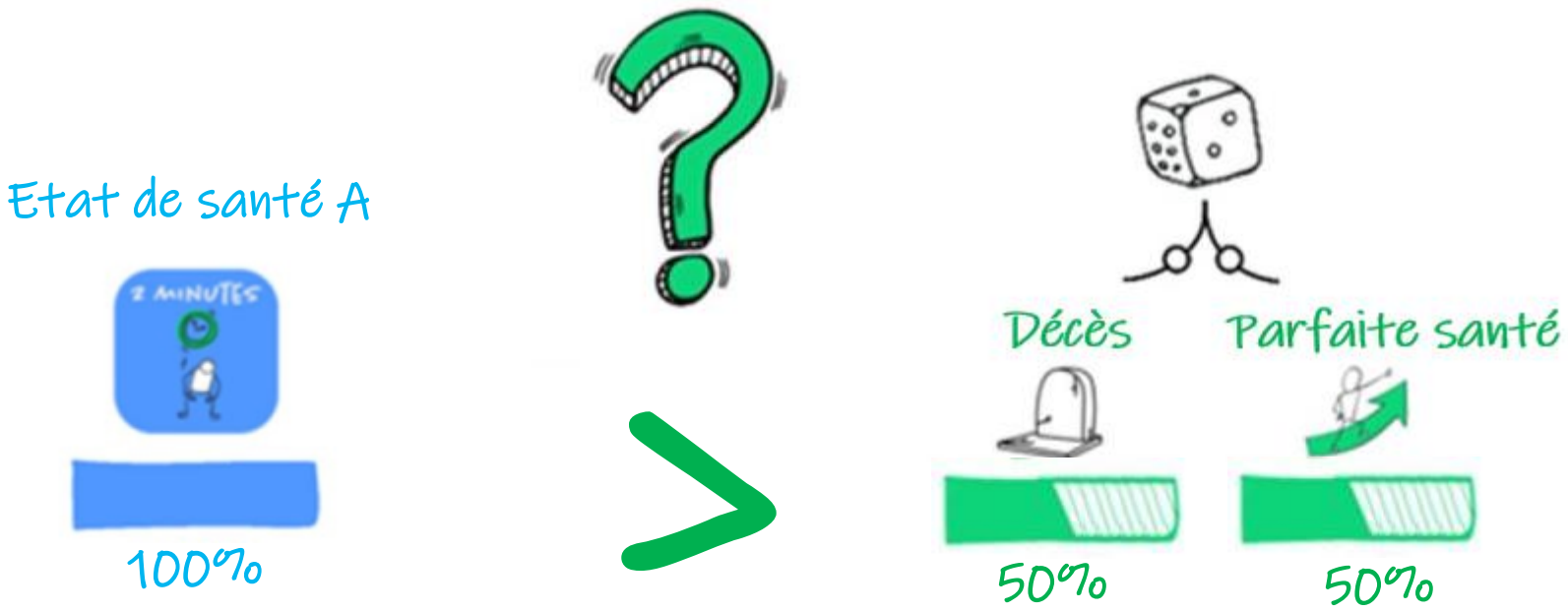
# MÉTHODE DU PARI STANDARD (STANDARD GAMBLE)





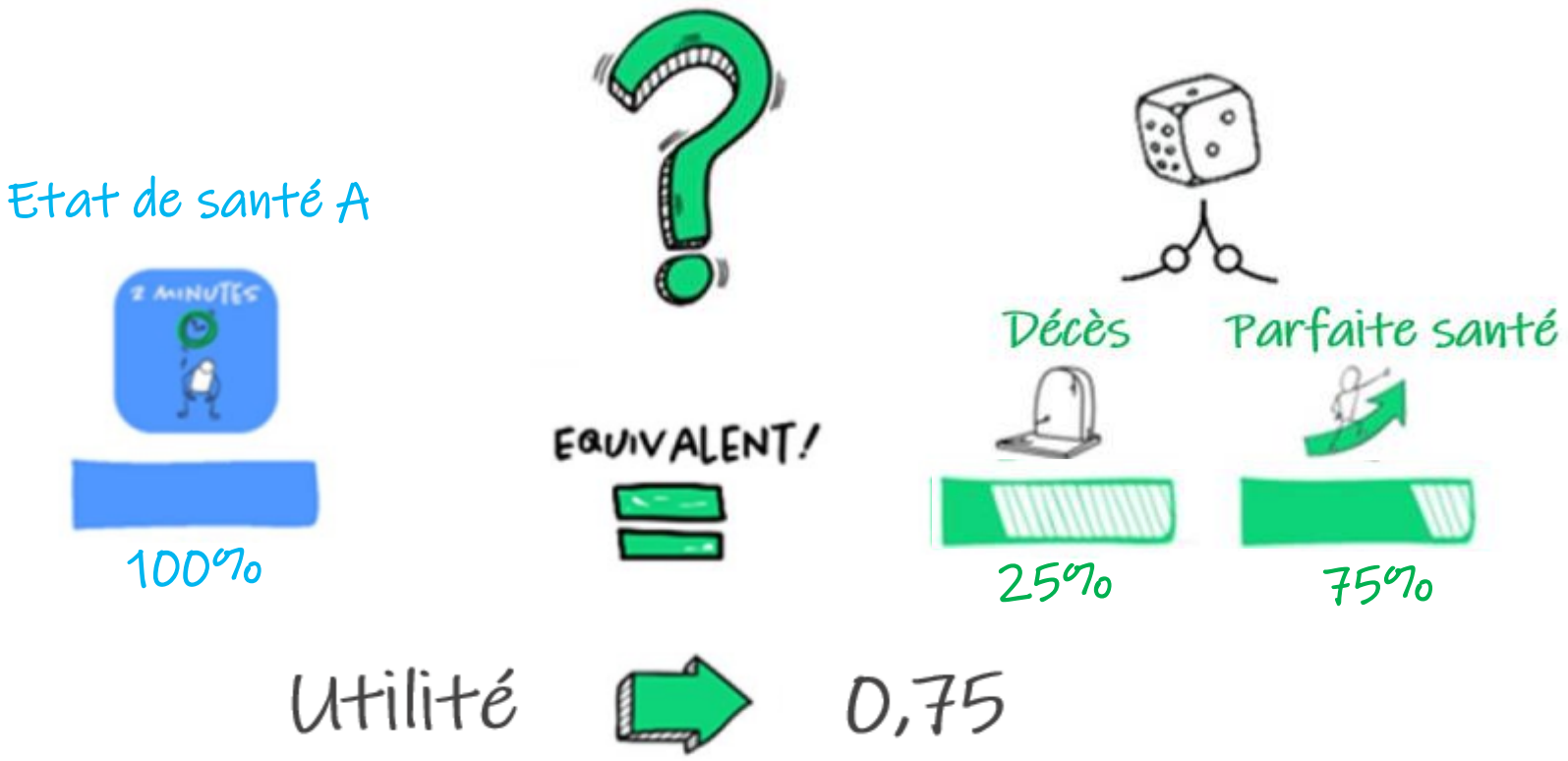
# MÉTHODE DU PARI STANDARD (STANDARD GAMBLE)





# MÉTHODE DU PARI STANDARD (STANDARD GAMBLE)

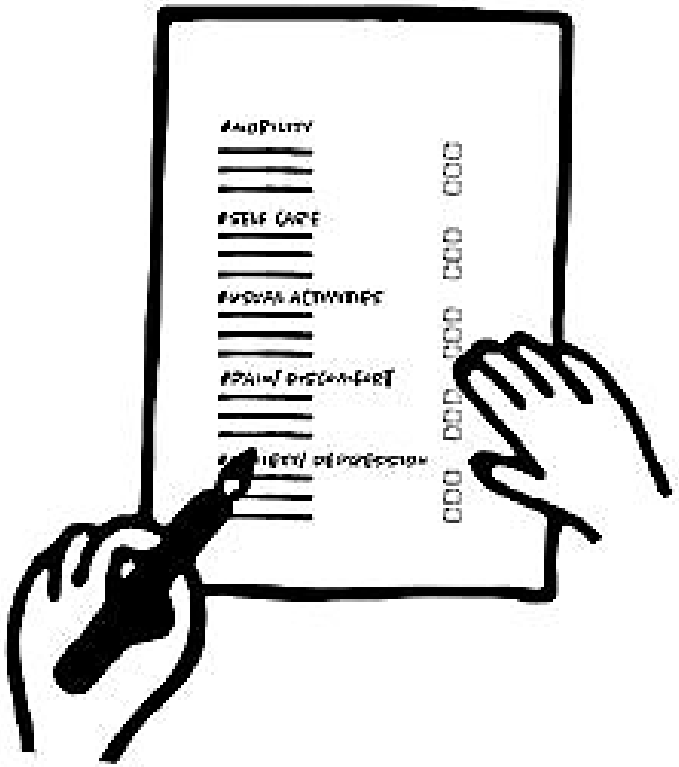




# COMMENT ESTIMER LES SCORES DE PRÉFÉRENCE ?

## 2- SYSTÈMES DE CLASSIFICATION D'ÉTATS DE SANTÉ PONDÉRÉS PAR LES PRÉFÉRENCES

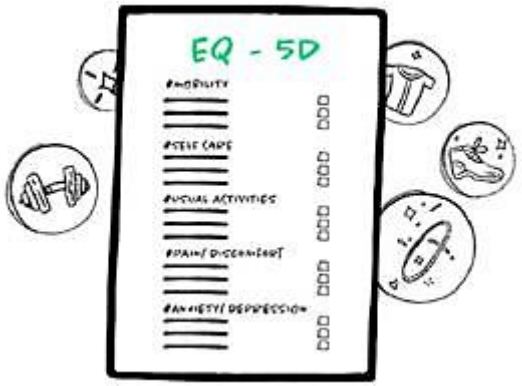
HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

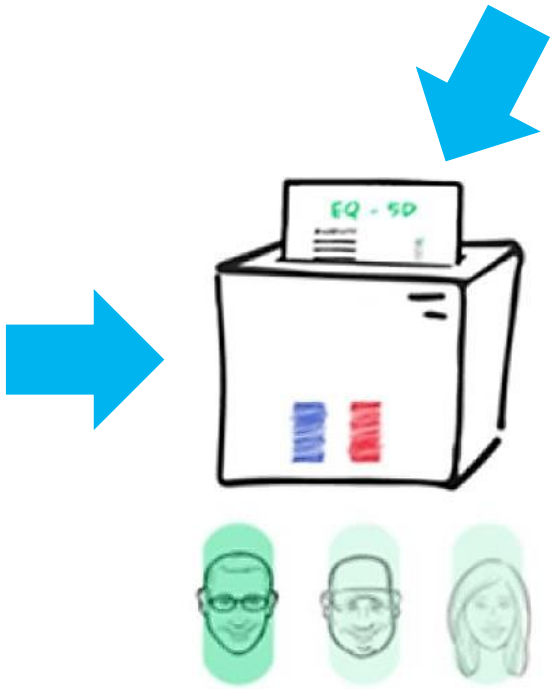


Population générale




Patient




0,75

**Questionnaire EQ-5D-3L**

Veuillez indiquer, pour chacune des rubriques suivantes, l'affirmation qui décrit le mieux votre état de santé aujourd'hui, en cochant la case appropriée.

**Mobilité**

Je n'ai aucun problème pour me déplacer à pied ☒ 1

J'ai des problèmes pour me déplacer à pied ☐ 2

Je suis obligé(e) de rester alité(e) ☐ 3

**Autonomie de la personne**

Je n'ai aucun problème pour prendre soin de moi ☒ 1

J'ai des problèmes pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e) ☐ 2

Je suis incapable de me laver ou de m'habiller tout(e) seul(e) ☐ 3

**Activités courantes** (*exemples : travail, études, travaux domestiques, activités familiales ou loisirs*)

Je n'ai aucun problème pour accomplir mes activités courantes ☐ 1

J'ai des problèmes pour accomplir mes activités courantes ☒ 2

Je suis incapable d'accomplir mes activités courantes ☐ 3

**Douleurs/gêne**

Je n'ai ni douleurs, ni gêne ☒ 1

J'ai des douleurs ou une gêne modérée(s) ☐ 2

J'ai des douleurs ou une gêne extrême(s) ☐ 3

**Anxiété/dépression**

Je ne suis ni anxieux(se), ni déprimé(e) ☐ 1

Je suis modérément anxieux(se) ou déprimé(e) ☒ 2

Je suis extrêmement anxieux(se) ou déprimé(e) ☐ 3

| Dimension | Niveau de réponse | Score de préférence | |
|---|---|---|---|
| Mobilité | 1 | u1 | 0 |
| | 2 | | 0,15 |
| | 3 | | 0,37 |
| Autonomie de la personne | 1 | u2 | 0 |
| | 2 | | 0,21 |
| | 3 | | 0,32 |
| Activités courantes | 1 | u3 | 0 |
| | 2 | | 0,16 |
| | 3 | | 0,19 |
| Douleurs / gênes | 1 | u4 | 0 |
| | 2 | | 0,11 |
| | 3 | | 0,26 |
| Anxiété / dépression | 1 | u5 | 0 |
| | 2 | | 0,09 |
| | 3 | | 0,20 |
| Constante | Si au moins une dimension est au niveau 3 | N3 | 0,17 |

Source : Chevalier 2010

- **Fonction de scorage**

$U(E) = 1 - u1 - u2 - u3 - u4 - u5 - N3$

Utilité = 1 - 0 - 0 - 0,16 - 0 - 0,09 = 0,75

# QU’EST-CE QU’UN COÛT ?

# LA NOTION DE COÛT



Pour un économiste, coût = coût d'opportunité

- le sacrifice que l'on concède en renonçant à la première alternative préférée après l'activité choisie

- **l'ensemble des ressources mobilisées, et qui ne sont donc plus disponibles pour une autre utilisation**

# CARACTÉRISATION DES COÛTS



- Son objectif : coût pourquoi faire ?
- Son contenu/périmètre : coût de quoi ?
- Sa perspective, qui le supporte : coût pour qui ?
- Son horizon temporel : coût sur combien de temps ?

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# CARACTÉRISATION DES COÛTS



*OBJET*

Coût pourquoi ?

- Evaluation médico économique : coût différentiel
- Tarification d'un acte, d'une procédure : coût complet → micro-costing
- Evaluation d'un parcours de soins : coût de la séquence de soins etc… → mobilisation possible du Système National des Données de Santé

# CARACTÉRISATION DES COÛTS



*PÉRIMÈTRE/CONTENU*

## Coût de quoi ?

Tableau 1. Les différents types de coûts

| | **Coûts médicaux** | **Coûts non médicaux** |
|---|---|---|
| **Coûts directs** | Ressources (biens et services) du secteur sanitaire utilisées pour le traitement consultations, examens, médicaments, hospitalisation...) | Ressources non sanitaires (autres secteurs) utilisées pour le traitement (transports, aménagement du logement, aide domestique, services sociaux...) |
| **Coûts indirects** | Coût des pathologies futures non liées au traitement | Coût du temps perdu du fait de la maladie<br>Perte de productivité (absentéisme, présentéisme) |

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# CARACTÉRISATION DES COÛTS



*LA PERSPECTIVE*

## Coût pour qui ?

- ++ lié à l'objectif de l'étude

- Patient/famille
- Producteur de soins: ex hôpital
- Assurance Maladie
- Système de santé
- Collectivité
- Société

- Influe ++ sur le calcul de coût

# CARACTÉRISATION DES COÛTS



*L'HORIZON TEMPOREL*

## Coût sur combien de temps ?

- Horizon temporel = perspective de temps, durée retenue pour l'évaluation des coûts et des conséquences

- L'horizon temporel choisi doit :
  - être identique pour l'analyse des coûts et celle des résultats.
  - être déterminé de manière à pouvoir englober les principaux résultats économiques des stratégies évaluées.

- Il dépend de l'impact attendu de la technologie de santé étudiée

HCL
HOSPICES CIVILS DE LYON

# MERCI

jamal.atfeh01@chu-lyon.fr

www.chu-lyon.fr

HCL
HOSPICES CIVILS
DE LYON