

# Nouveaux enjeux pour l'évaluation médico-économique

## **Matthieu Méreau**

Médecin de santé publique, chargé d'études au Cresge, Université catholique de Lille.

## **Thérèse Lebrun**

Économiste Inserm, responsable du département d'économie de la santé du Cresge

## **Caroline Bercez**

Pharmacien, chargée d'études au Cresge

**À partir d'une étude prospective sur les variations de coûts induits par le passage d'un type de traitement à un autre, cet article montre l'apport possible de l'évaluation médico-économique à la prise de décision.**

**L**es partenaires du système de santé sont confrontés, de manière de plus en plus aiguë, à l'obligation d'assurer une utilisation optimale des ressources disponibles. Le mot « partenaire » recouvre l'ensemble des acteurs du système de santé, observés comme participants à des processus de coopération : professionnels et bénévoles, usagers, pouvoirs publics, assurances. À l'échelle individuelle ou collective, ces partenaires sont souvent en situation de devoir faire des choix entre plusieurs alternatives.

L'évaluation médico-économique aide à l'éclairage des choix entre une ou plusieurs alternatives de soins. Le terme « soin » est pris, ici, dans un sens très large de techniques, procédés, procédures ou organisations. Ce terme peut s'appliquer dans une finalité diagnostique ou thérapeutique, curative ou de réadaptation.

Grâce à la simulation et à la modélisation, cette évaluation peut avoir un caractère prédictif et représenter une aide à la décision avant qu'un soin nouveau soit mis à la disposition de la population et des professionnels concernés.

Le présent article tire des enseignements généraux à partir d'un cas particulier, à savoir l'évaluation, *a priori*, des gains envisageables, pour la collectivité, du passage d'une chimiothérapie par voie intraveineuse

(IV) (en hôpital de jour) à une chimiothérapie par voie orale (en ambulatoire).

## **Contexte général de l'évaluation médico-économique**

### **Des enveloppes de ressources**

Depuis les ordonnances d'avril 1996, le principe d'un plafonnement, *a priori*, des dépenses de santé est institutionnalisé au niveau du Parlement. Ce sont les députés, représentation directe du peuple, qui fixent le montant de l'Objectif national des dépenses d'assurance maladie (Ondam). Cela s'effectue, chaque automne, par le vote de la loi de financement de la Sécurité sociale (LFSS), qui fixe l'objectif de dépenses à ne pas dépasser pour l'année suivante. Cet objectif se décline par région en enveloppes prévisionnelles de ressources disponibles pour les différents soins et les différents professionnels de santé.

### **Des besoins des populations**

Depuis les années quatre-vingt, la mise en place des observatoires régionaux de santé traduit l'attention portée à deux notions importantes :

- il faut connaître l'état de santé au niveau collectif,
- la région est une dimension territoriale pertinente.

La création des observatoires régionaux de santé s'inscrit dans un mouvement dont les aboutissements récents sont le renforcement des moyens et compétences des services statistiques du ministère de la Santé (Dress), la mise en place de banques

Nous remercions particulièrement, pour l'aide précieuse apportée en oncologie le professeur Jacques Bonneterre, directeur du centre Oscar-Lambret, Lille, et, pour la partie économique, Laurent Coudeville, chargé de recherche au Cresge.

de données de santé publique (BDSP), la création de différents organismes de veille sanitaire (Institut national de veille sanitaire, Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé, etc.).

Au-delà de la production de connaissances relatives aux états et facteurs de santé, il apparaît déterminant de raisonner sur la base des besoins de santé pour adapter l'offre de soins. Cette correspondance « offre-besoins » doit préserver une double garantie : l'accès aux soins et la qualité des soins pour tous.

L'utilisation et la répartition des enveloppes mentionnées ci-dessus doivent se réaliser dans le respect de cette adéquate correspondance [1].

### **De la mouvance des logiques**

La réponse aux besoins des populations, dans la contrainte d'une enveloppe fixée *a priori*, bouleverse les logiques traditionnelles [2].

D'un système basé sur le remboursement *a posteriori* et sans limite, hormis le contrôle du respect des textes déterminant l'ouverture des droits, on est invité à passer, en quelques années, à une gestion concertée de l'ensemble des ressources disponibles.

D'un système où les acteurs remplissent leurs différentes missions, en parallèle, grâce à des espaces de dialogue et de négociation, on s'oriente vers des processus de coopération obligée sur les objectifs à atteindre et les résultats à produire, avec le souci de l'évaluation.

Les pratiques des professionnels de santé évoluent ; les pouvoirs des institutions changent ; les usagers doivent conquérir leur place au centre de l'ensemble.

### **Des relations entre l'économie de la santé et les professionnels de santé**

De façon certes schématique, nous distinguons trois époques successives dans la manière dont les professionnels de santé — et notamment les médecins — considèrent l'économie de la santé [3].

La première (1945-1975) est marquée par l'ignorance. Le soignant réalise ses actes et la collectivité paye, dans une relation de confiance totale sur la pertinence et la qualité des soins prodigués. Les professionnels de santé ignorent les dimensions macroéconomiques sous-jacentes à leurs activités.

La deuxième (1970-1995) nous apparaît

marquée par la confrontation. Les concepts, méthodes et procédures de maîtrise des dépenses de santé apparaissent. Ils se développent, quelles que soient les alternances gouvernementales. Les professionnels de santé, dans leur discours dominant, présentent cet ensemble et ce mouvement comme une menace et une atteinte à la santé des personnes. Le refus d'intégrer le raisonnement économique dans le développement des activités de soins est souvent présent.

La troisième (1995-2000) est marquée par un changement effectif. Les réformes successives instrumentalisent l'obligation collective d'apporter aux populations des soins de qualité au moindre coût. Des professionnels de santé s'approprient, petit à petit, les notions médico-économiques, non plus au sens de restriction de la capacité d'intervention, mais plutôt au sens d'aide à l'optimisation de celle-ci.

Cette schématisation en trois époques, pour simplificatrice qu'elle soit, fait ressortir l'intégration croissante de la science économique dans les processus et critères de décision [4].

### **De l'importance des arguments économiques**

Apporter des réponses de qualité aux besoins des populations, au sein d'une enveloppe de ressources financée par la collectivité et déterminée par sa représentation parlementaire, confère aux réflexions économiques une importance particulière.

Par exemple, entre plusieurs alternatives de soins, doivent être privilégiées celles qui, pour le coût le plus faible, apportent efficacité thérapeutique, accès pour chacun, qualité de vie et satisfaction du patient.

Les observations issues des études médico-économiques concourent à donner l'assurance aux différents partenaires du système de santé que l'utilisation des ressources disponibles privilégie l'intérêt général. En d'autres termes, il faut aller vers la recherche permanente de soins de meilleure qualité pour un coût moindre, afin qu'un maximum de produits techniques ou de services soient disponibles à un moment donné pour l'ensemble de la population.

Cette responsabilité se joue à l'échelle microéconomique. D'une part, lorsqu'un thérapeute est face à son patient. D'autre part, lorsqu'une institution influe sur les

évolutions locales, régionales ou nationales du système de soins.

Pour que cette responsabilité soit correctement éclairée, il importe que l'évaluation médico-économique repose sur des méthodes validées, ainsi que sur des informations fiables et suffisantes [5].

Au regard des différents éléments exposés ci-dessus, il ressort que des méthodes d'évaluation médico-économique devront, sans doute, éclairer les différents partenaires *a priori*, en leur apportant des aides à la décision pour le développement de tel ou tel soin, en présence de plusieurs alternatives.

### **Enseignements généraux**

Dans une première partie, nous avons situé l'urgence et l'importance de l'évaluation médico-économique au regard des évolutions actuelles du système de santé.

Dans un deuxième temps, nous illustrons, à partir d'un exemple concret, comment l'évaluation médico-économique pouvait avoir une visée prospective (lire encadré p. 14-15).

### **Enseignements d'ordre méthodologique**

Sous réserve qu'il soit éprouvé et validé, le modèle constitue une approche à privilégier. À ce propos, plusieurs progrès méthodologiques sont sans doute encore à identifier et mettre en œuvre. Devant le nombre de paramètres à prendre en compte, la modélisation rend accessible plusieurs lectures de la réalité en faisant fluctuer des variables, identifiées comme pertinentes.

À ce titre, la modélisation éclaire la connaissance des modalités de soins des patients pour une pathologie et une thérapeutique données.

Sur la base de principes généraux communs, il nous apparaît que ce type d'évaluation, à caractère prédictif, relève de méthodologies bien spécifiques de chaque question traitée. Dans le cas présent, si la question de départ apparaît simple, il a fallu concevoir et ajuster la méthodologie et la présentation des résultats au regard des paramètres identifiés et des données disponibles.

Dans le cas particulier qui nous intéressait (la chimiothérapie), nos recherches ont été confrontées à la diversité des situations, des points de vue et des pratiques

[suite p. 16](#)

## Un exemple concret : la chimiothérapie

À partir de l'exemple de la chimiothérapie, voici comment l'évaluation médico-économique pourrait avoir une visée prospective.

Disposant des brevets adéquats, un laboratoire pharmaceutique peut développer et commercialiser une forme galénique orale d'un anti-néoplasique, actuellement disponible uniquement sous la forme intraveineuse réservée à l'usage hospitalier.

Dans le contexte actuel décrit *supra*, la mise sur le marché de la forme orale prend un relief particulier. En effet, la prise en charge du patient en ambulatoire évite le recours aux hospitalisations en milieu spécialisé nécessitées par l'administration des perfusions intraveineuses. Le confort du traitement, la qualité de vie du patient et sa satisfaction peuvent s'en trouver améliorés.

### Hypothèses et objectifs d'étude

Sur le plan médico-économique, on a fait l'hypothèse que la mise à disposition d'une forme par voie orale diminue le coût du traitement, par comparaison à la forme intraveineuse. Cette réduction de coût s'expliquerait par un moindre recours à l'hospitalisation.

Dans le cas présent, l'étude est menée alors que le prix de vente du médicament *per os* est inconnu ; par contre, le prix de vente du produit par voie veineuse est connu.

L'objectif général de cette analyse médico-économique consiste à évaluer les réductions de coût envisageables, en France, pour un médicament donné, lors du passage de la voie intraveineuse à la voie orale, en intégrant le prix de la forme orale comme variable de valeur inconnue.

Cet objectif général se décompose en six sous-objectifs opérationnels :

1. créer et mettre à disposition un modèle permettant le calcul du coût d'un traitement par voie intraveineuse, pour lequel le prix du produit est connu, et par voie orale, pour lequel le prix du produit est inconnu ;

2. évaluer les réductions de coût d'un traitement, escomptables si une forme

orale remplace la forme intraveineuse (approche microéconomique) ;

3. évaluer les réductions de coûts escomptables pour l'ensemble des traitements appliqués en France (approche macroéconomique) ;

4. identifier successivement dans l'analyse, et pour chacun des scénarios envisagés, l'ensemble des coûts directs et l'ensemble des coûts supportés par les organismes d'assurance maladie ;

5. permettre des estimations de coût des soins, en fonction de différents prix de vente du médicament *per os* (application du modèle selon différents prix possibles) ;

6. étudier l'impact des variables qui influencent, dans un sens ou dans l'autre, les résultats économiques attendus (analyse de sensibilité).

### Domaine de validité de l'hypothèse et objectifs

Les résultats de l'étude ne sont applicables que pour le médicament concerné et ses indications (cancer du poumon non à petites cellules et cancer du sein métastatique).

L'étude est réalisée sous l'hypothèse conjointe que l'efficacité clinique et biologique, la bio-toxicité, les effets secondaires généraux, les examens de surveillance médicale et biologique restent inchangés, que le médicament s'administre en voie orale ou intraveineuse.

La voie intraveineuse continuera à être commercialisée ; les critères de choix pour le prescripteur et le patient peuvent être :

- l'observance prévisible, le terrain et l'éloignement du patient,
- l'éventuelle polythérapie (autres médicaments administrables en IV),
- l'opinion du médecin sur la voie orale (VO).

Ces critères font l'objet d'études de pratiques, complémentaires à l'évaluation médico-économique, pour préciser le pourcentage de patients susceptibles de passer de la voie intraveineuse à la voie orale (que l'on appellera *switch*).

Les résultats de l'étude sont un des éléments permettant au laboratoire fabricant et aux pouvoirs publics de connaître,

*a priori*, l'impact du développement de la forme orale.

### Principes méthodologiques

Pour calculer le coût d'un traitement, il faut pouvoir traduire en valeur monétaire la totalité des biens et services nécessaires à l'administration de celui-ci (exemple : hôpital de jour, consultations médicales, soins infirmiers, hospitalisation à domicile, déplacements domicile-hôpital, etc.).

Dans le cas présent, plusieurs variables reliées entre elles sont constitutives d'autant de variantes dans la structure des coûts d'un et/ou de plusieurs traitements :

- indication (cancer du sein/cancer du poumon),
- voie (intraveineuse ou orale),
- secteur professionnel (hôpital public, clinique privée, centres de lutte contre le cancer, médecine ambulatoire).

Sur la base d'entretiens semi-directifs, réalisés auprès de plusieurs experts et relatifs aux pratiques professionnelles, treize scénarios de prescription ont été élaborés. Ils sont représentatifs des indications présentes (intraveineuses) et futures (voie orale), en mono et en polythérapie. Ils se distinguent en fonction du recours à des services différents : hôpital de jour, hospitalisation complète, hospitalisation à domicile, consultations de spécialistes, visites chez le médecin généraliste. Les différents services hospitaliers sont dispensés dans des structures dont les modes de tarification sont différents : hôpitaux publics, centres de lutte contre le cancer, d'une part, cliniques privées, d'autre part.

### Optique assurance-maladie et prix de revient

La valorisation de ces scénarios de prescription s'effectue sur des bases de calcul différentes en fonction de deux optiques :

- assurance maladie, pour laquelle les coûts pris en compte sont les coûts directs (médicaux et non médicaux) soumis à remboursement,
- prix de revient pour lesquels les coûts pris en compte correspondent à l'ensemble des coûts supportés par la

collectivité (remboursés et non remboursés).

La valorisation est réalisée à partir d'unités de compte dont la valeur est estimée à partir de sources spécifiques :

- données issues du PMSI [6],
- tarification des actes soumis à remboursement [7],
- prix moyens d'actes ou de services documentés à partir de statistiques et/ou d'enquêtes disponibles [8-10].

### Niveaux microéconomique et macroéconomique

Les calculs sont effectués et les résultats sont présentés selon deux niveaux, pour chaque scénario et chaque optique :

- coût d'un traitement au niveau microéconomique,
- coût de l'ensemble des traitements sur une année en France, au niveau macroéconomique.

Pour le niveau macroéconomique, le nombre de traitements a été estimé à partir de la quantité totale de médicaments consommée et de la quantité moyenne consommée pour un traitement.

La répartition de ce nombre total de traitements est effectuée sur la base des entretiens d'experts, en fonction de l'indication (cancer du sein/cancer du poumon), du contexte thérapeutique (monothérapie, polythérapie), du lieu (hôpitaux publics, centres de lutte contre le cancer, cliniques) et de la voie d'administration (voie orale et voie intraveineuse). La voie intraveineuse correspond à la situation actuelle ; la voie orale correspond à une situation future éventuelle.

### Modélisation

L'ensemble que nous venons de décrire est rassemblé dans une modélisation de la prescription et du coût de la consommation d'une chimiothérapie.

La base du modèle est constituée par l'établissement de scénarios de prescription, représentatifs des pratiques actuelles (voie veineuse) et futures (*per os*).

Utilisé sous l'angle macro et microéconomique, le modèle est développé en tenant compte des indications (cancer

du sein et cancer du poumon, mono et polythérapie), du lieu (hôpitaux publics, centres de lutte contre le cancer — CLCC —, cliniques, médecine ambulatoire) et de l'optique (assurance-maladie, collectivité).

En outre, il aboutit à des résultats différents en fonction du prix du médicament *per os* (variable non fixée dans le cadre de notre étude), d'une fluctuation des éléments intervenant dans la valorisation de  $\pm 30\%$  autour de la valeur de base (analyse de sensibilité) et du pourcentage de patients susceptibles de passer de la voie intraveineuse à la voie orale (*switch* avec hypothèses haute et basse).

### Principaux résultats de cette modélisation

La présentation détaillée des résultats chiffrés n'entre pas dans l'objet de cet article.

Les résultats sont obtenus en fonction de différentes hypothèses de prix du médicament *per os* par rapport au prix IV pour chaque valeur ; l'analyse de sensibilité permet de raisonner en valeurs moyennes, hautes ou basses.

### Résultats microéconomiques

Au niveau microéconomique, on observe des économies plus importantes en monothérapie qu'en polythérapie, quelles que soient les hypothèses de calcul. Cela s'explique par les services médicaux nécessaires à l'administration des médicaments associés.

En mono thérapie, selon l'optique du financement, on peut considérer qu'un traitement *per os* pourra coûter plus cher qu'un traitement IV quand le prix PO sera 2,25 fois supérieur au plus au prix IV.

En polythérapie, selon l'optique de l'assurance-maladie, on peut considérer qu'un traitement *per os* pourra coûter plus cher qu'un traitement IV quand le prix PO sera 1,4 fois supérieur au plus au prix IV.

En monothérapie, sous hypothèse de prix égal au prix IV, il apparaît que le coût d'un traitement est toujours plus faible en PO qu'en IV, quels que soient les paramètres pris en compte (optique, établissements de soins, mono ou

polythérapie). Sous valeurs moyennes retenues pour la valorisation, pour les scénarios de référence, l'économie calculée dans l'optique de l'assurance maladie et par traitement est de 6 260 F en clinique et 12 551 F en hôpital et CLCC (francs année 1997).

En polythérapie, sous hypothèse de prix PO égal au prix IV, on fait un constat identique. Pour les scénarios de référence, sous valeurs moyennes, l'économie calculée est de 2 836 F en clinique et 6 276 F en hôpital et CLCC pour un traitement (francs année 1997).

Rappelons toutefois, sur un plan général, que les modes de valorisation ne permettent pas de comparer les calculs en clinique avec ceux établis en hôpital et CLCC.

### Résultats macroéconomiques

Au niveau macroéconomique, on obtient une économie quand le prix PO est égal au prix IV, sous toutes les hypothèses de calcul. Cela n'est plus vérifié quand le prix PO est supérieur de 2,5 fois au prix IV.

Si l'on accepte l'extrapolation de nos calculs et dans l'optique de l'assurance maladie, avec hypothèse basse de *switch*, on peut retenir, à titre indicatif et sur la base de 12 974 traitements annuels, qu'une économie de 14 à 26 millions de francs est envisageable pour le traitement des cancers du sein et une économie de 25 à 36 millions (année 1997) de francs pour le traitement des cancers du poumon. On peut considérer que ces montants représentent l'économie minimale liée à un passage de l'IV au PO.

L'ensemble de ces résultats est à interpréter en tenant compte des éléments retenus pour la valorisation des scénarios et des données utilisées pour la connaissance des prescriptions de cet antimitotique en France.

Au-delà des difficultés et limites méthodologiques intrinsèques à toute évaluation médico-économique, la globalisation des résultats présentés dans cette étude devrait sans doute être confrontée à une autre donnée : l'acceptabilité par les patients et le corps médical d'une chimiothérapie *per os*. ■

suite de la p. 13

à prendre en compte. Tout cela conduit à bien identifier la portée des résultats, dès la fixation des objectifs et en cours d'investigation et d'analyse. Dans le cas présent, nous avons réalisé une enquête préalable pour tester différents protocoles d'études.

Enfin, cette étude n'aurait pu aboutir sans la coopération active, tout au long de son développement, de cancérologues ouverts aux méthodologies de la médico-économie. La pluridisciplinarité est gage de réussite [4].

## bibliographie

1. Haut Comité de la santé publique. *Allocation régionale des ressources et réduction des inégalités de santé*. Paris : Éditions de l'ENSP, coll. Avis et rapports, 1998.
2. Haut Comité de la santé publique. *La Santé en France. Annexe : travaux des groupes thématiques*. Paris : La Documentation française, 1994.
3. Saily J.-C. (2000). « Quel avenir pour l'assurance maladie ? Le point de vue d'un économiste de la santé. » *AMIP-Info* n° 58 : 40-46.
4. Lilymoto. *Santé et multidisciplinarité. Choix et décisions*. Paris : Éditions Hermès, 1995.
5. Drummond M., O'Brien B., Stoddart G., Torrance G. *Méthodes d'évaluation économique des programmes de santé*. Paris : Economica, 1998.
6. Mission PMSI. *Coûts décomposés par postes de dépenses et par GHM*. Paris : Direction des Hôpitaux – Mission PMSI, 1996.
7. UCANSS. *Nomenclature générale des actes professionnels*. Paris : UCANSS, 1996.
8. Foulquier J.-N., Laugier A., Touboul E., Viardot J.-P., Schwartz L.-H. « Coût de la radiothérapie et coût du transport. », *Bull. Cancer. Radioth.*, 1996, 83 : 170-171.
9. Berceiz C., Viens G., Bonnetterre J. « Evaluating Clinical Research Costs : The Experience of a French Oncology Department », *Applied Clinical Trials*, 1996, 1 ; Vol 5 (8), 54-58.
10. Direction des Hôpitaux. « Catalogue des actes médicaux Champ ALPHA. », *Bulletin officiel*, 1995, n° 8<sup>ter</sup>.
11. De Pourvouville G., Constandriopoulos A.-P. « Les économistes et la santé : questions de recherche et enjeux pour demain », *Médecine/sciences*, 2000, n° 11, volume 16 : 1172-85.

## Enseignements sur l'information sanitaire

Une difficulté majeure de notre travail a été la collecte de données sur l'activité étudiée, à savoir la chimiothérapie. Devant l'insuffisance de données, il a fallu procéder à des entretiens semi-directifs pour identifier la diversité des pratiques médicales et la répartition des patients en fonction de l'indication et du lieu de prise en charge. Le nombre total de patients traités a été estimé à partir de la consommation totale de médicaments.

Des lacunes, dans le domaine de la connaissance des patients pris en charge, sont à combler pour développer l'évaluation médico-économique à caractère prédictif.

## Enseignement sur la place de l'évaluation

Dans le cas présent, les résultats de notre étude permettent d'évaluer les ressources rendues disponibles sous la forme d'économies réalisées au sein d'une enveloppe plafonnée, par le développement d'un soin en référence à un autre.

Cela confère, outre les aspects classiques de l'évaluation, un rôle de gestion prévisionnelle dans le sens de l'intérêt général.

Cette connaissance apportée aux partenaires du système de soins est un des éléments de l'aide à la décision. En termes d'objet, elle est complémentaire d'autres éléments de l'analyse. Par exemple, l'acceptation et la mise en œuvre du nouveau soin proposé par les médecins dans leur pratique quotidienne sont à analyser. De même, les apports pour le confort, la qualité de vie et la satisfaction du patient sont à estimer. Bien sûr, on tient compte de l'efficacité clinique et biologique du soin proposé. Dans le cas présent, notre étude intervient après que la nouvelle forme galénique a été reconnue aussi efficace que l'ancienne.

Cette connaissance s'inscrit aussi dans la qualité du dialogue entre les différents partenaires du système de santé. Elle ne saurait s'y substituer ; elle peut amener des changements de représentations, d'idées, d'opinions des partenaires. En ce sens, c'est réellement un outil d'aide à la décision.

## Conclusion

Dans le cadre d'une enveloppe de ressources disponibles, fixée *a priori*, les partenai-

res de santé sont confrontés à l'obligation d'optimiser l'utilisation de ces ressources pour l'intérêt général des populations.

Entre deux alternatives de soins acceptables et acceptées par les patients et les professionnels de santé, celle qui apporte une qualité égale ou supérieure pour un coût moindre doit être privilégiée. Cette dynamique dégage les économies réalisées sous la forme de ressources disponibles pour d'autres soins et d'autres patients.

Dans ce contexte, l'évaluation médico-économique à caractère prédictif devrait mieux prendre son essor [11]. Elle pourra le faire si l'information sanitaire se développe et si des méthodologies spécifiques sont trouvées.

Dans ce sens, elle constitue un des éléments fondamentaux d'une gestion prévisionnelle du système de soins. ■