



L'évaluation économique des actions de santé

Avec l'augmentation de la demande de soins dans un contexte de resserrement budgétaire, l'évaluation économique des actions de santé devient incontournable si l'on veut maintenir un système de soin de qualité accessible à tous. Après avoir évoqué la nécessité et les difficultés de l'évaluation médico-économique, le chapitre présente les outils et le cheminement de cette démarche, ainsi que l'aide qu'elle apporte aux décideurs, favorisant la prise de décision sur des critères plus objectifs qu'intuitifs.

A. P. Contandriopoulos.
L'évaluation dans le
domaine de la santé :
concepts et méthodes. In :
Th. Lebrun, J.-Cl. Saily, M.
Amouretti. *L'évaluation en
matière de santé. Des
concepts à la pratique.*
Sofestec/Cresge éditeur,
1991, 15-32.

Si, avec Contandriopoulos, on peut définir l'évaluation comme « la démarche consistant fondamentalement à porter un jugement de valeur sur une intervention (une technique, une pratique, une organisation, un programme, une politique) dans le but d'aider à la décision », on peut convenir que, dans le champ de la santé, il s'agit là d'une démarche qui est aussi vieille que l'expérimentation scientifique pratiquée dans ce domaine.

plaine nouvelle ajoutant des critères économiques aux critères médicaux. Plusieurs éléments expliquent cette réticence, liés à des considérations de nature éthique ou à l'organisation spécifique du système de production des soins.

Éthique et évaluation

Le monde des soignants est très réservé, voire inquiet, quant à l'importance croissante accordée aux aspects économiques dans les prises de décision touchant au système de soins : comment peut-on introduire des critères de nature financière dans un domaine aussi essentiel que celui de la santé ? Ne serait-il pas choquant de refuser des soins au nom de considérations économiques ? Il est de la grandeur du médecin, qui a liberté de prescription, de ne considérer que le bien de son patient et de lui prescrire ce qu'il juge bon. Au nom même de son éthique, le soignant n'aurait pas à prendre en compte les conséquences économiques de ses décisions.

La nécessité de l'évaluation

Ce qui est plus récent (le milieu des années quatre-vingt) et beaucoup moins accepté par les milieux médicaux, est lié à l'apparition de l'évaluation de nature médico-économique, disci-

Pour l'économiste de la santé, à l'inverse de ces idées, il y a une nécessité d'ordre éthique à prendre en compte les aspects économiques. Le problème que l'économiste tente de résoudre est d'obtenir le plus de santé possible avec un budget donné ; ces préoccupations rejoignent celles des soignants qui souhaitent également produire le maximum de santé chez leurs patients, compte tenu des contraintes qui sont les leurs : état des techniques, temps disponible, hiérarchisation des urgences. De ce fait, la démarche éthique exige que le budget dont on dispose soit réparti de façon optimale.

Un système de soins propice à une régulation économique ?

En raison des particularités du bien santé (importance qui lui est attachée, grande incertitude sur son maintien, degré de gravité potentiellement lourd des maladies, souhait de permettre l'accès de tous aux soins), les pays développés ont institué des systèmes d'assurance maladie, chargés de mutualiser les risques et de rompre la liaison économique directe entre le malade et le soignant. Cette occultation des aspects économiques constitue l'honneur de nos sociétés qui ont ainsi souhaité le développement de soins de qualité pour tous.

Cependant, si pour des raisons de solidarité, on pousse trop loin cette logique, le système risque de devenir moins efficace, c'est-à-dire de produire moins de santé que ce que l'on pourrait en attendre. Aussi, apparaît-il nécessaire de réintroduire dans le système de soins, en particulier chez les offreurs, des préoccupations d'ordre économique en vue d'en améliorer l'efficacité. Ceci est d'autant plus nécessaire actuellement où l'on est confronté simultanément à la montée des besoins et au resserrement des contraintes financières.

Ceci est encore renforcé dans le cas du système de soins français qui se caractérise par des spécificités rendant plus difficile la régulation économique : multiplicité des régimes, présence de deux tutelles ; absence d'une politique de santé publique ; cloisonnement entre décideurs et financeurs, entre dispositifs et filières, entre aspects médicaux et sociaux ; faible place accordée à l'évaluation ; faiblesse des moyens de régulation de la médecine libérale. Reste à savoir si la réforme en cours portera remède à l'essentiel de ces dysfonctionnements. En toute

hypothèse, une place grandissante devra être réservée à l'évaluation.

Une démarche complexe, une pratique courageuse

Ce type d'évaluation a pour objet la recherche de l'efficacité, c'est-à-dire du meilleur rapport coût/performances des actions de santé. C'est là une démarche complexe :

- en raison de l'état d'esprit qu'elle suppose : remise en question constante des résultats des actions entreprises au regard de la fin recherchée ;
- en raison de la rigueur nécessaire de la démarche, qui doit se référer à des méthodologies éprouvées ;
- en raison de la diversité des champs couverts (depuis l'évaluation d'une politique de santé jusqu'à celle d'une pratique ou d'une technique), des points de vue à considérer et des critères de jugement adoptés.

C'est là une pratique courageuse, difficile, exigeant la collaboration de nombreuses disciplines, notamment épidémiologique, médicale, économique, statistique, voire psychosociale.

Les outils

Les responsables de la santé publique et les professionnels de santé sont et seront de plus en plus confrontés à des questions du type : faut-il lancer un programme de dépistage de l'hépatite C ? Faut-il continuer à dépister le cancer du colon ? Faut-il privilégier la greffe du rein par rapport à l'hémodialyse ? Les apports de la caméra à positrons justifient-ils sa diffusion et si oui, dans quel cas ? Quel type de traitement antiasthmatique faut-il préconiser pour tel type de malade ? Le retour rapide au domicile doit-il être préconisé pour tel type d'intervention chirurgicale ?

Pour répondre à ces questions, il convient d'évaluer, en vue de les comparer, les rapports coûts-résultats des diverses actions ou programmes de santé effectués ou envisagés. Ceci suppose trois types d'opérations : mesurer les coûts, mesurer les résultats, combiner ces deux

éléments. Or, ce cheminement est difficile pour plusieurs ordres de raisons : en l'absence de prix de marché dans le domaine de la santé, la mesure des coûts pose des problèmes méthodologiques redoutables ; en second lieu, l'occultation des aspects économiques rend difficile la révélation des préférences des individus et de la collectivité face aux utilisations alternatives des ressources : comment faire s'exprimer ces préférences, les mesurer et les additionner ? Enfin, les systèmes d'information élaborés dans le système de soins ne sont pas conçus pour recueillir facilement les informations souhaitables en vue de reconstituer ces rapports coûts-résultats.

L'évaluation économique suppose donc que l'on rapproche les coûts des résultats dans une analyse intégrée. Nous expliciterons tout d'abord l'évaluation des coûts avant d'envisager la mise en relation de chacun de ces termes dans des modèles de coût-efficacité, de coût-utilité ou de coût-bénéfice. Auparavant, nous expliciterons la nécessité de définir le point de vue d'où l'on se place pour effectuer l'évaluation médico-économique.

Ces évaluations peuvent être réalisées du point de vue de plusieurs acteurs. On peut considérer le seul patient, envisager sa famille (ainsi, pour le coût de la sclérose en plaques, peut-on analyser les répercussions de l'atteinte sur l'entourage du patient). La perspective peut s'élargir à l'institution de soins (ainsi pour alléger leur budget, certaines structures hospitalières peuvent avoir intérêt à faire réaliser des prestations en ambulatoire). Très souvent, le point de vue adopté est celui de l'assurance maladie, ou celui de l'État, voire, plus largement encore, celui de la collectivité toute entière. En toute hypothèse, le point de vue adopté doit être clairement annoncé car il influe sur la nature des éléments pris en compte dans l'évaluation, notamment dans le calcul des coûts.

L'évaluation des coûts

Lorsque l'on évalue le coût d'une pathologie ou les aspects de coûts liés à une action de santé, plusieurs types de coûts sont habituellement distingués.

Les coûts directs

Ils représentent la valeur de l'ensemble des ressources consommées directement pour traiter la

maladie ou pour produire l'action de santé évaluée. On les répartit en coûts directs médicaux (coût des interventions, des tests, des médicaments, du traitement des effets secondaires) et coûts directs non médicaux (frais de transport, par exemple). Ces coûts directs peuvent être subdivisés en coûts variables (qui sont fonction du niveau d'activité : par exemple, le matériel jetable utilisé lors d'une intervention) et en coûts fixes, qui sont indépendants du nombre d'actions effectuées (par exemple, l'amortissement des bâtiments).

Les coûts indirects

Ils reflètent la valeur des conséquences de la maladie ou de l'action de santé qui ne sont pas prises en compte dans les coûts directs. On distingue d'une part, les coûts pouvant être mesurés, par exemple les pertes de production liées à un arrêt d'activité professionnelle, d'autre part les coûts intangibles tels que les conséquences psychologiques, la survenue d'un handicap, le *pretium doloris*.

Quels coûts prendre en compte ?

La nature des coûts à prendre en compte dépend du point de vue d'où l'on se place et de la nature de l'évaluation effectuée. Pour les évaluations de type coût-efficacité ou coût-utilité qui seront présentées plus loin, l'opinion générale prévaut que l'on s'intéresse uniquement aux coûts directs.

Dans un secteur où les aspects économiques sont occultés et où il existe de nombreux prix administrés, la reconstitution des coûts se heurte à de nombreux problèmes méthodologiques.

Pour les économistes, la notion de coût pour une action qu'il faudrait adopter est celle du coût d'opportunité. Ce coût est défini par la valeur de ce que produirait l'utilisation alternative des ressources affectées à cette action si elles étaient appliquées à la production d'une autre action. Cette opération est rendue très difficile en l'absence de prix de marché. En toute hypothèse, dans un système administré où sont appliqués les nomenclatures en médecine ambulatoire, les forfaits ou les budgets globaux en médecine hospitalière, comment connaître, de façon précise, le coût unitaire des ressources consommées ?

En pratique, et en fonction de la nature de la question posée, de l'identité du demandeur et du point de vue d'où l'on se place (celui du patient, de l'hôpital, de la sécurité sociale, de

la collectivité), plusieurs mesures de coût sont utilisées :

- les tarifs de convention, tels qu'ils sont définis par la nomenclature générale des actes professionnels (NGAP), par les tarifs de prestation journalière, par les prix publics de médicaments ;
- les résultats de la comptabilité analytique, utilisés dans la reconstitution des coûts à l'hôpital, qui posent question au regard de la prise en compte des charges fixes ;
- les coûts de référence : coûts associés à une pathologie (groupe homogène de malades, GHM) ; coûts standards associés à une prestation médicale (indice de coût relatif, ICR) ;
- les reconstitutions du coût réel à partir d'un relevé détaillé du volume de chaque ressource utilisée, ces volumes étant ensuite valorisés par le recours à des prix (eux-mêmes pas toujours faciles à reconstituer !).

Pour ce qui est de la mesure des pertes de production, plusieurs propositions sont avancées : certaines recourent au niveau du salaire moyen de l'ensemble des actifs ou des actifs de la catégorie professionnelle concernée, d'autres au produit intérieur brut par actif, d'autres encore au coût d'ajustement que représente, pour les entreprises, l'absence d'un salarié.

Enfin, des difficultés sont souvent rencontrées dans l'établissement des fonctions de coût, qui relient les coûts aux quantités produites, notamment lorsque des effets de seuil se produisent en lien avec le volume de production (par exemple, lorsque le coût de certains examens complémentaires est fonction de la quantité produite).

Les études coût-efficacité

Dans ce type d'évaluation, on compare, pour plusieurs stratégies, les coûts et les résultats obtenus, ces derniers étant mesurés en unités physiques (par exemple, la réduction de la pression sanguine exprimée en mm/Hg ou le nombre d'années supplémentaires de survie). On peut ainsi comparer différents types de stratégies dans toutes sortes de domaines (intérêt d'une campagne de dépistage du cancer du côlon ; traitement des insuffisants rénaux chroniques par dialyse ou par greffe du rein ; traitement de l'infarctus du myocarde par trois stratégies médicamenteuses différentes, etc.). Pour des maladies graves, on peut ainsi déter-

miner, par exemple, le montant financier nécessaire pour gagner une année de vie.

Dans ce genre d'études, il importe de s'intéresser à un critère d'efficacité qui soit pertinent. Plusieurs critères peuvent être utilisés. Il existe en premier lieu des résultats intermédiaires (par exemple l'évolution d'un paramètre biologique ou clinique). La question est alors de savoir s'il existe une liaison positive (et, si oui, laquelle : de type linéaire, proportionnel, etc.) entre ce résultat intermédiaire et l'amélioration de la santé ? La question se pose de manière aiguë dans l'évaluation des stratégies diagnostiques : les résultats obtenus influent-ils sur la thérapeutique adoptée et sur les résultats de cette dernière ? Un autre exemple est donné, dans les campagnes de dépistage, par la détection de cancers : cette détection change-t-elle les taux de mortalité de la population concernée ? En second lieu, on peut recourir à des critères plus tangibles de cette amélioration, à savoir les années de vie gagnées.

Une illustration de la nécessaire pertinence des indicateurs de résultats utilisés est fournie par la procréation médicalement assistée, prend-on comme indicateur d'efficacité le nombre de grossesses biochimiques, le nombre de grossesses cliniques, le nombre d'enfants nés vivants ou le nombre d'enfants nés et sans handicap ?

Depuis quelque temps, dans certaines affections (traitement du cancer par exemple), les cliniciens ajoutent, parmi les critères d'efficacité, la mesure de la qualité de vie, telle qu'elle peut être mesurée par des instruments généraux (du type ISPN, SF 36, SIP) ou par des instruments spécifiques élaborés dans le cadre de pathologies particulières (l'asthme, le cancer). Les avis sont partagés sur la pertinence de cet ajout dans le cadre d'études coût-efficacité.

Les études coût-utilité

Ces études constituent, en fait, un enrichissement des études coût-efficacité en ce sens que l'efficacité est ici pondérée par la qualité de vie afin de mesurer l'« utilité » de l'action ainsi évaluée. Dans ce type d'étude, le coût de la stratégie est mis en face du résultat de l'action, apprécié désormais à travers une mesure unique incorporant à la fois la quantité et la qualité de vie gagnée. À l'aide de méthodes dites expérimentales, du type échelles visuelles analogiques, loteries (standard Gamble),

marchandage temps (time trade off), on tente de mesurer les pondérations de qualité de vie qu'un individu présente concernant les états de santé proposés à son évaluation. Deux indicateurs sont actuellement utilisés : les Qalys (*Quality adjusted life years*), qui multiplient chaque année de vie par une pondération comprise entre 0 et 1, pondération traduisant l'évaluation de l'état de santé ; les Hyes (*Healthy years equivalent*) que l'on définit comme le nombre d'équivalent années en bonne santé correspondant à un certain nombre d'années passées dans un état de santé donné.

De multiples controverses ont surgi, depuis le début des années quatre-vingt-dix, pour critiquer les fondements théoriques et méthodologiques des méthodes expérimentales utilisées et pour comparer les mérites respectifs des deux types d'indicateurs élaborés. Concernant les Qalys, Pliskin *et al.*, par exemple, ont défini les conditions nécessaires pour que cet instrument constitue une mesure cardinale valide des décisions individuelles : indépendance entre nombre d'années et qualité de l'état de santé ; indépendance de la substitution durée de vie/qualité de vie à l'égard du nombre d'années restant à vivre ; hypothèse de neutralité au risque. Loomes et McKenzie ont montré que la réalité ne correspond guère à ces hypothèses. De plus, la façon dont on calcule les Qalys (selon les différentes méthodes exposées plus haut) aboutit à des résultats assez différents. Concernant les Hyes, il semble que les hypothèses sur lesquelles repose cet indicateur soient moins restrictives que pour les Qalys, même si certains auteurs ne sont pas en accord sur ce point. La controverse n'est pas achevée, mais de nouvelles voies de recherche se dessinent, tels les essais pour établir les Qalys à partir d'une fonction d'utilité multi-attributs.

Au total, si l'ensemble des experts s'accorde à reconnaître l'intérêt de recourir à des études de type coût-utilité, il n'y a pas accord quant au meilleur moyen d'y parvenir.

Les études coût-bénéfice

Les études coût-efficacité et coût-utilité sont particulièrement intéressantes dans le cadre de décisions touchant un petit nombre de stratégies ayant trait au même domaine sanitaire (par exemple comparaison de deux stratégies médicamenteuses dans la prise en charge du diabète).

- M. Le Net. *Le prix de la vie humaine*. Paris : La documentation Française, 1978.
- B. Walliser. *Les disparités des valeurs de la vie humaine*. Revue RCB, ministère de l'Économie et des Finances, direction de la Prévision, 1975.
- M. W. Jones-Lee. *The Value of Life and Safety: A Survey of Recent Developments*. Genève : Paper on Risk and Insurance, 1985, 10, 36.

▶ J. S. Pliskin, D. S. Shepard, M. C. Weinstein. *Utility Functions for Life Years and Health Status*. Operations Research, 1980, 28 : 206-224.

C. Buron, A.-M. Fericelli, C. Le Gales. *Théorie de l'utilité espérée multi-attributs explicitement décomposée : norme des modèles Qalys ?* Communication aux 17^{es} Journées des économistes français de la santé, Grenoble, juin 1995.

- A. Gafni. Willingness-to-Pay as a Measure of Benefits. *Medical Care*, 1991, 29(12) : 1246-52.
- A. Johannesson, H. Aberg, L. Agreus, L. Borgquist, B. Jonsson. Cost-Benefit Analysis of Non-Pharmaceutical Treatment of Hypertension. *Journal of Internal Medicine*, 1991, 230 : 307-12.
- M. Johannesson. Economic evaluation of hypertension treatment. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 1992, 8(3) : 506-23.

Elles se heurtent néanmoins à deux types de limites : d'une part, elles ne prennent pas en considération les conséquences non tangibles des actions de santé ; d'autre part, si les coûts des stratégies peuvent être comparés entre eux, il n'en va pas toujours de même des résultats (comment comparer une diminution du nombre de crises chez un asthmatique avec l'allongement d'un périmètre de marche chez un arthritique ?). Les études coût-bénéfice tentent de remédier à ces inconvénients en évaluant et les coûts et les résultats en termes monétaires. De ce fait, tous les programmes analysés peuvent être comparés entre eux puisqu'évalués dans la même unité.

Pour apprécier les résultats en unités monétaires, deux méthodes sont utilisées. La première, déjà ancienne, se propose de mesurer le prix de la vie humaine à partir de la théorie du capital humain. Elle consiste à valoriser les jours de vie ou de santé perdus à cause d'une atteinte, au moyen de la valeur productive de l'individu. Cette méthode est aujourd'hui très critiquée, notamment en raison des difficultés d'application qu'elle soulève dans une économie se caractérisant par le chômage et la flexibilité ou encore dans le cas de patients âgés.

Une seconde méthode, dite d'évaluation contingente, tente de mesurer le consentement à payer des individus pour une amélioration de leur santé. Empruntée à l'économie de l'environnement, cette méthode a été appliquée au domaine de la santé depuis les années quatre-vingt-dix. On citera à cet égard Gafni ; dans des applications au traitement de l'hypertension, Johannesson ; dans le dépistage anténatal, Moatti, Julian, Le Gales et Seror ; dans le traitement de la narcolepsie, Allenet. Cette méthode doit encore être étayée aux niveaux conceptuel et méthodologique : comment construire des scénarios réalistes pouvant être proposés aux personnes interrogées, comment déterminer les populations à enquêter, comment traiter les divers biais repérés dans les réponses ?

À propos des études coût-bénéfice, les experts soulignent à la fois l'intérêt qu'il y aurait à disposer d'un indicateur unique et cardinal des résultats et la difficulté à construire cet indicateur.

Devant cette difficulté, certains économistes pensent qu'en attendant des avancées conceptuelles et méthodologiques, il convient de préférer à ces analyses (idéales mais non praticables pour le moment) des études offrant aux

décideurs les divers types de résultats obtenus grâce à une action de santé (changements dans l'état de santé, dans la qualité de vie perçue, dans le recours aux soins, dans l'activité, professionnelle ou non) sans pouvoir agréger ceux-ci, et en mettant en présence de ces divers résultats, le coût de l'investissement nécessaire pour les obtenir.

D'autre part, on réalise des études coût-bénéfices au sens étroit : on rapproche alors des coûts d'une stratégie, les coûts évités grâce à cette dernière (par exemple des journées d'hospitalisation en moins, le recours évité à une tierce personne, de moindres arrêts de travail). Tant les coûts que les résultats sont alors estimés en unités monétaires. Mais il faut indiquer que cette approche ne prend pas en compte les résultats non tangibles d'une action de santé.

La question de l'actualisation

Bien des actions de santé font intervenir le temps, soit au niveau de leur réalisation (traitement au long cours, par exemple, recours à des appareils dont la durée de vie est longue), soit au niveau de leurs conséquences (évitement d'une maladie à long terme, par exemple). Or, on sait que l'on accorde plus de valeur au présent qu'au futur. De ce fait, si l'on veut comparer des périodes de temps différentes, il importe de les comptabiliser dans une même unité de mesure, ce qui se traduit par la technique de l'actualisation.

Les économistes sont d'accord pour indiquer que toute mesure de coût faisant intervenir le temps doit recourir à la technique de l'actualisation. Néanmoins, dans le cas des coûts monétaires associés au bien non marchand que constitue la santé, non transférable dans le temps, le principe et, surtout, les modalités de l'application de l'actualisation posent problème : quel taux faut-il utiliser ? Faut-il actualiser et les coûts et les résultats ? Si oui, le taux d'actualisation appliqué doit-il être le même ?

Concrètement, les préconisations effectuées sur ce point sont de procéder à une actualisation doublée d'une analyse de sensibilité, ce qui permet de voir dans quelle mesure les résultats de l'évaluation sont dépendants du taux d'actualisation retenu.

Même si des avancées significatives ont été réalisées depuis une dizaine d'années concernant les soubassements théoriques de l'évalua-

- J.-P. Moatti, C. Julian, A. Loundou, G. Macquart-Moulin, C. Le Gales, V. Seror, S. Ayme. Willingness to Pay for Amniocentesis Among a General Population of French Pregnant Women, MK Chytil, Duru G, Van Eimeren W, Flagle CD (Eds), In : *Health Systems. The Challenge of Change*, Prague : Omnipress, 1992, 414-417.
- B. Allenet. *La mesure du bénéfice en santé par la méthode de l'évaluation contingente : application au domaine du médicament*. Thèse présentée devant l'Université Claude Bernard Lyon I, pour l'obtention du diplôme de doctorat, mars 1996.

tion économique, ainsi que la mise au point des méthodologies appropriées, des progrès doivent encore être réalisés pour que ces travaux d'évaluation soient jugés pleinement recevables au regard de leur pertinence scientifique et qu'ils soient acceptés par les professionnels de santé et par les décideurs. À cet égard, les travaux de standardisation des méthodes qui sont entrepris tant au niveau national qu'europpéen et les évolutions en cours ou prévues dans les règles de fonctionnement du système de soins devraient entraîner un développement plus important et mieux accepté de ces évaluations.

Jean-Claude Saille et Thérèse Lebrun

L'aide à la décision

L'analyse décisionnelle occupe une place centrale dans l'élaboration et la résolution des évaluations prospectives des programmes et actions de santé. Cette analyse repose sur un ensemble de méthodes qui se situent à la croisée de plusieurs disciplines complémentaires : économie, épidémiologie, biostatistique, mathématique, psychométrie.

Son objectif général est d'éclairer les modalités de choix du décideur et non pas de se substituer à ce dernier. Paradoxalement, ce type de méthodes est peu utilisé, alors que grandit le besoin d'asseoir les décisions de santé publique sur des bases rationnelles et claires pour aller vers plus d'efficacité dans le système de prestation et de remboursement des soins. Si les méthodes proposées sont théoriquement rigoureuses et bien adaptées à la résolution des problèmes actuellement posés, leur recevabilité par les décideurs de santé publique et par le corps médical reste en pratique sujette à caution.

Les raisons de cet état de fait sont multiples : les choix méthodologiques des analyses proposées ne sont pas toujours transparents ; en second lieu, l'analyse décisionnelle permet d'estimer, puis de réduire l'incertitude, non de la supprimer, ce qui interdit le plus souvent d'aboutir à une recommandation univoque. Enfin, toute formulation décisionnelle implique une réduction de la réalité à ses composantes principales : la qualité des analyses dépend donc du juste équilibre trouvé entre, d'une part les simplifications abusives de la réalité et