

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

# Les huit étapes pour analyse décisionnelle

d'autre part la trop grande complexité rendant impossible la mise en œuvre.

Les étapes et les outils nécessaires à la mise en œuvre d'une analyse décisionnelle sont décrits ici dans le but de faciliter l'acquisition d'un langage commun et de permettre une réflexion critique constructive sur les analyses qui sont conduites. Pour être menée à bien, cette mise en œuvre suppose de conduire avec rigueur une démarche progressive. Il est nécessaire de parcourir successivement plusieurs étapes (voir ci-contre).

Au total, la conduite d'une analyse de décision en santé publique représente une démarche structurée et systématique. Son premier intérêt — savoir pour décider — tient au fait qu'elle impose une identification puis une formulation explicite de la question posée et des composantes du problème décisionnel. Elle tend donc à favoriser la prise de décision sur des critères plus objectifs qu'intuitifs. Son second intérêt est de réduire l'incertitude inhérente au processus décisionnel en déterminant si l'imprécision des connaissances affecte le choix stratégique et, si c'est le cas, quel est l'impact potentiel de cette imprécision.

Il s'agit d'un exercice multidisciplinaire dont l'objectif ultime n'est pas de se substituer au décideur, mais de fournir à ce dernier des éléments objectifs d'information. De ce point de vue, mieux vaut une analyse claire et bien documentée, conduite avec rigueur dans le cadre d'une question restreinte, plutôt qu'une modélisation complexe, à prétention exhaustive, dont l'opacité technologique compromet l'acceptabilité. Pour les méthodologistes soucieux d'améliorer l'impact décisionnel des analyses comme pour leurs destinataires potentiels, le principal enjeu commun est aujourd'hui de trouver les voies d'une plus grande transparence méthodologique, sans pour autant compromettre la représentation la plus rigoureuse possible d'une réalité souvent complexe et multifactorielle.

Michel Lamure et Pierre-Philippe Sagnier

## 1 Définir précisément le problème décisionnel

La première étape consiste en une définition précise et non ambiguë de la question posée. C'est l'étape fondamentale qui conditionne l'ensemble de la démarche. Elle est pourtant trop souvent négligée par les investigateurs qui considèrent, à tort, que la question « s'impose d'elle-même », sans qu'il soit besoin d'en établir une formulation explicite. Pour être non ambiguë, la question peut être formulée en termes généraux, mais doit comporter des indications sur le type de programme étudié, la (ou les) population(s) à laquelle ce programme s'adresse et le critère principal de jugement envisagé.

### Exemple

Quatre formulations possibles d'une question concernant le dépistage du cancer du sein

1. Faut-il dépister le cancer du sein ?
2. Faut-il dépister le cancer du sein chez les femmes après la ménopause ?
3. Le dépistage du cancer du sein par mammographie augmente-t-il l'espérance de vie des femmes ménopausées ?
4. Quelle stratégie de dépistage du cancer du sein par mammographie peut être recommandée sur base du rapport coût-efficacité ?

## 2 Choisir une perspective de travail

Le choix d'une perspective claire pour l'analyse est un corollaire indispensable à la formulation précise de la question de recherche. En effet, l'estimation de certains des paramètres de l'évaluation est directement dépendante de la perspective choisie. Plusieurs perspectives peuvent ainsi être choisies :

- la société dans son ensemble ;
- l'État ;
- le prestataire de soins (hôpital, clinique, médecin...) ;
- les organismes de sécurité sociale et les mutuelles ;
- les patients eux-mêmes.

La perspective de la société dans son ensemble est la « meilleure » du point de vue de l'évaluation socio-économique des programmes. C'est une perspective globale qui prend en compte le coût d'opportunité des différentes interventions proposées. Les recommandations fondées sur ce type d'analyse tendent à rapprocher les schémas d'allocation des ressources en santé de l'efficacité économique optimale. Cependant, sa mise en œuvre se heurte au fait que l'estimation exhaustive des coûts directs, indirects et intangibles n'est parfois pas faisable. Dans l'intervalle, il est souvent raisonnable de choisir une perspective plus limitée, mais adaptée aux besoins spécifiques de chaque décideur, ce qui permet de conduire l'évaluation dans de bonnes conditions techniques.

# la mise en œuvre d'une

## 3 Identifier les « interventions » qui seront prises en compte dans l'évaluation

À l'instar de l'essai thérapeutique de type expérimental, le choix du comparateur est une étape-clé dans le développement de modèles décisionnels intégrant des cri-

tères épidémiologiques et économiques. Toute évaluation prospective repose sur la comparaison de deux ou plusieurs interventions diagnostiques ou/et thérapeutiques. La (ou les) stratégie(s) nouvelle(s) que l'on veut évaluer sera (seront) toujours comparée(s) à une stratégie « de base ». Le plus souvent, une pratique de référence existe qui servira de base pour l'évaluation prospective. Cette pratique de référence peut être la pratique médicale usuelle, si celle-ci est largement utilisée et acceptée. Il peut aussi s'agir de la pratique recommandée, c'est-à-dire compatible avec la référence médicale opposable, lorsque celle-ci existe. Il peut enfin s'agir de la pratique médicale « la moins chère ». Ailleurs, le terme de comparaison sera l'absence d'intervention lorsque aucune technique de référence n'existe dans le champ de la pathologie considérée. (C'est le cas, par exemple dans le cas de l'introduction d'un nouveau vaccin). Ce choix doit également être fait en fonction des objectifs et du destinataire de l'étude. Un exemple est donné ci-après dans le cadre de la commission de la transparence.

### Exemple

Amélioration du service médical rendu par un nouveau médicament. Choix des comparateurs et des éléments à prendre en compte :

1. Définir le groupe des médicaments à même visée thérapeutique.
2. Choisir les comparateurs :
  - les médicaments utilisés comme comparateurs dans les essais cliniques de l'AMM,
  - les médicaments utilisés dans les essais cliniques post-AMM, quand ceux-ci existent,
  - les médicaments inscrits dans la même indication thérapeutique,
  - les autres stratégies ou alternatives thérapeutiques.
3. Quels éléments prendre en compte dans les stratégies comparées ?
  - efficacité,
  - tolérance,
  - coprescriptions et posologie,
  - durée des traitements et interruptions de traitement,
  - acceptabilité, observance, commodité d'emploi.

## 4 Choisir les critères de jugement

L'analyse décisionnelle offre un cadre méthodologique rigoureux dont l'intérêt est de pouvoir être adapté de façon flexible à des questions par nature très diverses. Ceci est dû à la possibilité d'utiliser des critères de jugement variés. Cependant, si le choix du critère de jugement influence peu la conduite relativement standardisée de l'analyse, il conditionne entièrement la nature des résultats et la portée des conclusions obtenues. Ce choix est donc essentiel et découle directement de la question originelle, dès lors que cette dernière a reçu une formulation explicite et précise. Il peut s'agir d'un critère purement médical comme pour l'évaluation des tests diagnostiques et

de l'aide à la décision médicale en pratique clinique. Dans ces deux cas, l'analyse guide la décision individuelle du médecin vis-à-vis d'un patient particulier ou d'un groupe de patients bien défini. Les voies de recherche actuelle dans ces domaines portent sur le développement de systèmes experts performants. Cependant, c'est dans le domaine de la santé publique que cette famille de méthodes a connu son développement le plus important dans la dernière décennie. Il s'agit alors d'aider à la décision à visée collective reposant sur des critères de jugement médicaux et économiques. Ces derniers peuvent être utilisés séparément ou concomitamment.

### Exemple

Critères de jugement utilisables pour l'évaluation d'un programme ou d'une action de santé

#### 1. Critères médicaux

- valeurs prédictives d'un test : nombre de cas correctement identifiés, nombre de faux-positifs (de faux-négatifs) évités,
- nombre de cas évités,
- mortalité/survie ; nombre de vies sauvées,
- espérance de vie ; nombre d'années de vie gagnées.

#### 2. Critères économiques

- minimisation des coûts (idéalement coûts d'opportunité) : coûts directs médicaux et non médicaux, coûts indirects : perte de production du patient, de son entourage ;
- critères coût-bénéfice : coûts et bénéfices exprimés dans une unité commune, impliquant, s'il y a lieu, d'estimer

une valeur monétaire de la vie humaine,

- mesure des préférences individuelles et collectives : utilité associée à un état de santé, exprimée par un indicateur unidimensionnel.

#### 3. Critères de qualité de vie : approche multidimensionnelle de la qualité de vie liée à la santé

- échelles génériques : index global ou score sur chacune des dimensions de l'échelle,
- échelles spécifiques.

#### 4. Critères composés

- rapport coût-efficacité : coût (en unités monétaires) par unité de bénéfice médical (en unités « naturelles » : nombre de vies sauvées, années de vie gagnées, etc.),
- rapport coût-utilité : coût (en unité monétaire) par année de vie sauvée pondérée par l'utilité associée à cette survie (Qaly).

# Les huit étapes pour la mise en œuvre d'une analyse décisionnelle (suite)

## 5 Décrire les stratégies retenues

À la différence de l'essai thérapeutique de type expérimental dont la problématique est volontairement restreinte au test d'une hypothèse médicale ou biologique limitée, l'évaluation épidémiologique et économique se propose de rendre compte d'une réalité plus complexe. Même lorsque l'analyse décisionnelle évalue une intervention ponctuelle — par exemple un médicament nouveau ou une technique diagnostique nouvelle — cette dernière s'intègre toujours dans une stratégie globale de prise en charge des patients considérés. La qualité décisionnelle de l'analyse dépend donc en partie de sa capacité à refléter la complexité des interventions étudiées. Par l'utilisation du terme « stratégie », on entend donc définir une chaîne plus ou moins complexe d'actions à visée diagnostique et thérapeutique.

La construction des stratégies à évaluer impose une lecture de la réalité qui tend à réduire cette dernière à ses composantes principales. Les conclusions de portée générale à partir d'une lecture très réductionniste du réel suscitent un scepticisme justifié vis-à-vis des démarches d'évaluation prospective. À l'inverse, l'exigence d'exhaustivité dans la représentation du réel condamne à ne jamais pouvoir conclure. La crédibilité des analyses décisionnelles en santé publique repose donc sur la capacité à trouver un juste équilibre entre validité interne, d'une part, et faisabilité, d'autre part.

Il est donc nécessaire de rechercher un consensus *a priori* entre les promoteurs de l'analyse, les évaluateurs et les destinataires des résultats. Le plus souvent les bases de ce consensus seront trouvées dans une recherche ex-

haustive des données scientifiques déjà disponibles et des pratiques médicales usuelles. La contribution d'experts et de représentants d'associations professionnelles, choisis pour leur compétence dans le domaine étudié, sera également utile.

## 6 Mesurer ou estimer modèle décisionnel

On appelle paramètres des modèles décisionnels toutes les informations statistiques, épidémiologiques, économiques et psychométriques nécessaires à l'analyse. Le nombre et le type des paramètres à prendre en compte dépendent de la nature et de la complexité du modèle choisi. Il est difficile d'en faire une description exhaustive, mais il est possible d'esquisser une typologie destinée à faciliter la collecte des informations.

Les paramètres du modèle peuvent être estimés à partir des données publiées dans la littérature scientifique et avec les informations obtenues auprès des experts du domaine considéré. On peut alors identifier deux situations « types ».

Ou bien, il existe des informations disponibles sur le paramètre considéré ; on en fera une analyse critique qui doit porter, d'une part, sur la qualité des sources de l'information, d'autre part, sur la précision de l'estimation du paramètre. Ou bien tout ou partie de ces informations manque : la démarche suivante peut alors être proposée. Dans un premier temps, on fait une estimation non statistique des paramètres manquants, au mieux à partir du jugement des experts (groupes nominaux, méthode Delphi...). Pour chacun des paramètres en question, il faut obtenir une valeur « de base » et un intervalle des variations possibles du paramètre autour de cette valeur. Ceci permet de tester la sensibilité des conclusions de l'analyse aux variations du paramètre inconnu. Si les conclusions sont peu affectées par ces variations, il est légitime d'exclure *a posteriori* le paramètre du modèle. Cette absence de sensibilité est une information utile en

### Exemple

Quels éléments prendre en compte dans la description des stratégies évaluées ?

- Quels sont les patients concernés ? Y a-t-il plusieurs sous-populations distinctes ?
- L'intervention comporte-t-elle une phase de dépistage de l'affection considérée ? Quelles sont les modalités de ce dépistage ?
- Quelles sont les étapes-clé du diagnostic de l'affection considérée : examens cliniques, biologiques, d'imagerie médicale, etc ?
- Les conclusions diagnostiques peuvent-elles s'exprimer de façon binaire (malade/non malade) ou y a-t-il lieu de

prévoir plus de deux classes diagnostiques ?

- Quelles sont les modalités thérapeutiques usuelles/nouvelles qu'il est pertinent de prendre en compte ?
- Les traitements considérés imposent-ils une surveillance clinique et paraclinique particulière ? une coprescription ?
- Selon quels critères d'efficacité médicale ces traitements ont-ils été évalués : taux de guérison, taux de survie, incidence des récurrences, paramètre clinique, critère biologique, etc. ?
- Quel est l'horizon temporel pertinent pour l'analyse ? Les

résultats de l'intervention évaluée peuvent-ils être appréciés dans un intervalle de temps court ? Quelle est l'histoire naturelle de la maladie ? S'agit-il d'une maladie aiguë ou chronique ? D'éventuelles conséquences à long terme doivent-elles être prises en compte ?

## les paramètres du

elle-même, puisqu'elle conduit à minimiser la valeur décisionnelle d'une donnée que l'on pensait *a priori* importante. En revanche, si les conclusions de l'analyse se révèlent sensibles au(x) paramètre(s) inconnu(s), il est alors légitime de mettre en œuvre les études ou démarches *ad hoc* en vue d'en obtenir une estimation fiable.

## 7 Choisir la méthode de représentation et de structuration des données

Les étapes précédentes nécessitent de définir, tôt dans le processus de mise en place de l'analyse, une politique de structuration et/ou de représentation des données, dans l'optique de la production de résultats pertinents à analyser et à interpréter par rapport aux objectifs de cette analyse. La phase de structuration des données est essentielle dans le déroulement de l'analyse ; elle peut être suivie ou non d'une phase de représentation des données. Cela dépend de l'existence *a priori* d'un modèle.

Par modèle, nous entendons toute représentation de la réalité du ou des phénomènes observés. Cette représentation peut prendre des formes diverses. Elle peut atteindre un niveau de complexité élevé ou être tout à fait simple. Sur ce point, il faut garder à l'esprit les deux contraintes antagonistes déjà indiquées, à savoir représentativité et applicabilité de la modélisation.

Par ailleurs, la modélisation implique que l'on dispose de données pour mesurer, qualitativement ou quantitativement, l'adéquation du modèle à la réalité. Il faut d'une part, disposer d'un système d'information adapté au problème étudié, d'autre part, pouvoir nourrir correctement le modèle avec les données recueillies. On voit là les limites théoriques et pratiques de la modélisation.

Plusieurs méthodes de représentation et de structuration des données sont à disposition, dont la présentation dépasserait l'objet de cette communication. Indiquons seulement le nom de plusieurs techniques utilisées :

- description des données à l'aide des analyses en composantes principales, des analyses factorielles des correspondan-

ces, qui synthétisent les informations en respectant l'aspect multidimensionnel de celles-ci ;

- structuration des données à l'aide d'analyses de classification ;
- construction des modèles (permettant, notamment, d'étudier l'évolution de variables dans le temps, par exemple des états de santé).

## 8 Analyse et interprétation des résultats

L'étape d'analyse statistique des résultats constitue le dernier pas vers la production de résultats finaux que le décideur pourra utiliser avec profit. Ces résultats doivent être fournis avec une mesure de la précision statistique, c'est-à-dire une mesure de l'incertitude. Dans un premier temps, le calcul des critères de jugement est fait sous le modèle dit « de base », c'est-à-dire en utilisant les valeurs « moyennes » des paramètres du modèle. On a vu que la connaissance de ces valeurs peut être dérivée de la littérature, de l'analyse statistique de données statiques transversales ou dynamiques longitudinales, voire du jugement d'experts. Cette analyse décisionnelle de base conduit à l'estimation du critère de jugement et permet d'aboutir à une recommandation stratégique, sous l'hypothèse que les variables incluses dans le modèle ont toutes une valeur connue et précise. Or, on sait que l'estimation de certaines de ces valeurs est entachée d'incertitude. L'interprétation des résultats sous l'hypothèse de base doit donc prendre en compte l'incertitude inhérente à la modélisation. Ceci suppose de mener une étude systématique de la sensibilité des conclusions de l'analyse décisionnelle à la variation des valeurs des paramètres de base. Concrètement, on fera successivement varier chacun des paramètres du modèle sur la totalité de l'intervalle de ses valeurs possibles, les autres paramètres restant constants. Plus rarement, il est également possible de tester l'impact de la variation concomitante de deux ou plusieurs paramètres dans le cadre de modélisations décisionnelles très élaborées.