

# Déficients sur l'efficacité?

## L'évaluation économique, un outil de priorisation au service d'une éthique de la décision publique

**L'évaluation économique en santé, c'est-à-dire la recherche de l'efficacité, tend à mobiliser au mieux les ressources collectives et à éviter les « pertes de chance » pour la population.**

**Marie-Odile Carrère**

Professeur de sciences économiques, université Lyon 1, membre du Haut Conseil de la santé publique

La dépense de santé s'élève aujourd'hui en France à plus de 10 % du produit intérieur brut, financée pour les trois quarts par la collectivité nationale. Elle croît structurellement plus vite que la richesse nationale. Cela tient à de multiples raisons, et en premier lieu à la rapidité de l'innovation technologique dans ce secteur<sup>1</sup>. Il en résulte un problème structurel de financement de notre système de santé, notamment par la collectivité, et un risque réel de désengagement collectif qui pénaliserait les plus fragiles d'entre nous. D'où la nécessité de s'interroger sur les choix publics d'allocation des ressources dans ce secteur d'activité. Mais sur quels critères ces choix peuvent-ils être réalisés?

### La responsabilité du décideur public

Partons du cas le plus simple, celui d'une situation d'ordre thérapeutique, diagnostique ou préventif. Il peut s'agir, par exemple, de la consommation de médicaments pour le traitement de l'hypertension artérielle. La plupart du temps, il existe une stratégie courante et plusieurs stratégies de prises en charge concurrentes possibles pour le futur, notamment si l'on tient compte de l'innovation. Il faut alors se demander laquelle il conviendrait de mettre en œuvre.

La question posée est la suivante : faut-il remplacer la stratégie de référence, mise en œuvre au cours de la période récente, par une autre? Le premier critère de jugement qui

vient à l'esprit se rapporte aux résultats, c'est-à-dire à l'effet de chacune des deux stratégies sur la santé et même sur le bien-être de la population, qu'on qualifiera par commodité d'« efficacité<sup>2</sup> ». Selon ce critère, la stratégie préférée, à promouvoir, sera celle dont l'efficacité est la plus grande parmi les stratégies possibles. C'est le critère de jugement des professionnels de santé<sup>3</sup>.

Mais, pour le décideur public, ce critère n'est pas suffisant et un autre critère doit intervenir, celui des moyens, c'est-à-dire des ressources mobilisées. En effet, avant d'engager des ressources publiques, il est de la responsabilité du décideur de se demander si elles ne seraient pas mieux utilisées ailleurs, que ce soit dans le système de santé ou dans un autre secteur d'intervention des pouvoirs publics. Si les ressources pouvaient être mieux utilisées ailleurs et si elles étaient engagées malgré tout, la valeur dont la collectivité serait privée est qualifiée de « coût d'opportunité » de cette utilisation des ressources. À l'évidence, ce concept de coût d'opportunité n'est spécifique ni au secteur de la santé, ni à la décision publique. Il s'impose à toute décision humaine dès lors qu'elle porte sur la gestion de ressources rares (le temps, les biens et services, la monnaie, etc.). Dans tous les cas, il s'agit simplement de répondre à la question : « *Si j'affecte cette ressource à telle*

1. À titre d'exemple, le coût de certains médicaments ciblés utilisés en cancérologie (Avastin®, Erbitux® et Vectibix®) était estimé aux États-Unis en 2007 à plus de 100 000 dollars par malade et par an, sans tenir compte du coût de traitement des effets secondaires éventuels.

2. Ce terme désigne ici l'effet sur la santé des bénéficiaires, conformément à la définition couramment admise dans le domaine de l'évaluation économique, ou l'effet sur le bien-être de la population dans son ensemble de façon plus générale.

3. C'est ce critère qui fonde les « Recommandations pour la pratique clinique ».



utilisation, quelles sont les autres utilisations dont je me prive, et ne seraient-elles pas plus intéressantes pour moi?» Sur un plan éthique, il apparaît d'autant plus nécessaire de prendre en compte cette question au niveau collectif que le décideur public est supposé agir au nom des individus et dans leur intérêt.

Pour comparer deux stratégies, il faudra donc prendre en compte non seulement leur efficacité, mais aussi les ressources qu'elles mobilisent, qu'on qualifiera de « coût ». Sur la base cette fois des deux critères, et en accord avec le simple bon sens, le décideur public peut trancher facilement en faveur du remplacement d'une stratégie par une autre dans deux cas : si la seconde est plus efficace sans être plus coûteuse, ou si elle est moins coûteuse sans être moins efficace. On dit alors qu'une stratégie domine l'autre. La recherche des stratégies dominantes devrait être systématiquement encouragée car, tout en respectant le critère d'efficacité, c'est-à-dire le critère de jugement des professionnels de santé, elle pourrait éviter de mobiliser des ressources considérables. Un exemple simple et direct est fourni par l'arrivée des médicaments génériques, qui concernent de nombreuses stratégies thérapeutiques.

La question est bien sûr plus complexe lorsqu'il s'agit de comparer deux stratégies dont aucune ne domine l'autre, l'une étant à la fois plus efficace et plus coûteuse que l'autre. C'est le cas de la plupart des innovations technologiques, qu'il s'agisse de médicaments ou de dispositifs médicaux. Mettre en œuvre l'innovation améliorerait certes l'efficacité, mais engagerait aussi des ressources supplémentaires, avec le risque d'un coût d'opportunité. Pour comparer les deux stratégies, on doit alors dépasser le cadre d'une situation particulière pour s'intéresser à l'ensemble du système de santé, voire à d'autres secteurs d'intervention des pouvoirs publics.

### Une démarche opérationnelle et ses fondements

La démarche qui est suivie en Grande-Bretagne dans le cadre du National Health Service (NHS)<sup>4</sup> par le National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) est particulièrement illustrative de l'aide que peut apporter l'évaluation économique dans ce type de situation [22]. Elle repose sur trois grands principes. D'abord, la mesure de l'efficacité

d'une stratégie thérapeutique, diagnostique ou préventive doit prendre en compte la durée de la vie et la qualité de la vie des personnes à qui elle est appliquée. Ensuite, l'efficacité d'une stratégie par rapport à une autre est, concrètement, définie par le gain de durée de vie pondérée par la qualité de la vie (liée à la santé), généralement mesuré en Quality Adjusted Life Years (QALYs) [10]. Enfin, après avoir éliminé les stratégies dominées, il reste les situations où une stratégie B est à la fois plus efficace et plus coûteuse qu'une autre A. Le remplacement de A par B se traduirait par un coût supplémentaire qu'on peut rapporter au nombre de QALYs gagnés, pour obtenir le « ratio coût-utilité » (RCU) de B par rapport à A. Le principe d'équité conduit alors à classer, pour chacune des situations concernées, l'ensemble des couples de stratégies de types A et B (B plus efficace et plus coûteuse que A), dans l'ordre des RCU décroissants correspondants. Au coût total accepté par la collectivité est associé un seuil d'acceptabilité du RCU, le même pour toutes les situations : les stratégies de type B sont acceptées en deçà de ce seuil, rejetées au-delà. Bien entendu, l'application de cette démarche par le NICE pour le NHS n'est pas mécanique et d'autres critères entrent en ligne de compte. Cependant, les recommandations de NICE révèlent bel et bien *a posteriori* l'existence d'un seuil d'acceptabilité, de l'ordre de 45 000 livres [9].

Cette démarche pose de nombreuses questions, largement débattues, sur lesquelles on dispose d'une littérature scientifique considérable. En amont, les principes sur lesquels elle repose sont évidemment discutables et discutés. C'est le cas, notamment, du critère d'équité sous-jacent [6]. De multiples questions plus spécifiques sont également débattues en permanence : comment mesurer les QALYs, pourquoi s'en tenir au seul secteur de la santé, que sait-on de l'efficacité et du coût des activités de soin qui échappent à l'évaluation de NICE, comment la valeur du seuil peut-elle être justifiée?

Il reste que cette démarche a plusieurs atouts majeurs. Premièrement, celui d'être explicite et transparente, en affichant les critères de jugement et la façon dont ils sont utilisés. Ainsi, NICE émet régulièrement des recommandations méthodologiques pour l'évaluation économique [22]. Deuxièmement, celui de reposer sur un principe d'équité qu'on peut résumer de la façon suivante : l'année de vie en bonne santé gagnée a le même poids quel qu'en soit le bénéficiaire, et le droit de

tirage sur les ressources publiques pour obtenir ce résultat est le même pour tous.

### L'évaluation économique : un outil de priorisation au service d'une éthique de la décision publique

D'autres approches sont possibles et une littérature considérable leur est consacrée, même si elles sont encore peu opérationnelles aujourd'hui dans le secteur de la santé. Elles utilisent la méthode des choix discrets ou la méthode de l'évaluation contingente, qui permettent d'explicitier les préférences des consommateurs/citoyens vis-à-vis des différentes stratégies de prise en charge [10]. L'évaluation contingente, en particulier, est très utilisée dans d'autres domaines de la décision publique comme ceux des transports et de l'environnement.

Mais il ne faut pas s'y tromper : ces approches s'appuient sur les mêmes catégories de critères de jugement, coût d'une part et résultat d'autre part. Elles visent tout autant la recherche de l'efficience, même si la mesure des résultats est différente. De ce fait, elles constituent tout autant des outils de priorisation, et peuvent conduire, par exemple, au rejet de certaines stratégies pour les mêmes raisons : des moyens requis trop importants pour un résultat trop modeste. Il s'agit toujours d'utiliser au mieux les ressources collectives : la mobilisation de ces moyens rendrait impossibles d'autres utilisations qui seraient plus intéressantes pour la collectivité.

En d'autres termes, la mise en œuvre de l'évaluation économique dans le secteur de la santé, c'est-à-dire la recherche de l'efficience, vise à éviter des « pertes de chance » pour la population. C'est en cela qu'elle constitue un outil au service d'une éthique des choix publics. Pour reprendre les termes du titre, si les choix publics en santé s'appuient sur l'évaluation des résultats en ignorant les coûts, c'est-à-dire s'ils sont déficients dans la recherche de l'efficience, ce ne peut être qu'au détriment de cette éthique collective. **F**

4. Le NHS concerne l'Angleterre et le pays de Galles. Il prend en charge, sur la base de l'impôt, 85 % des dépenses de santé de la population.

Les références entre crochets renvoient à la Bibliographie générale p. 63.