

# PRINCIPES DE L'EVALUATION ECONOMIQUE



Virginie NERICH  
PharmD, PhD

Professeur des Universités – Praticien Hospitalier

[v1nerich@chu-besancon.fr](mailto:v1nerich@chu-besancon.fr)

# LIENS D'INTERET (2020-2023)

EXPERTISE SCIENTIFIQUE, ORATRICE

Laboratoires BAYER, EXACT SCIENCES, NOVO NORDISK,  
ROCHE, TAKEDA, VIATRIS

# OBJECTIF

FORMER AUX PRINCIPES DE  
L'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE

## COMPÉTENCES VISEES

Comprendre et définir ce qu'est l'évaluation économique

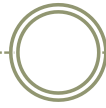
Connaître les principes méthodologiques de l'évaluation économique

Connaître la notion d'utilité en économie de la santé

Savoir calculer et interpréter les résultats d'une évaluation économique

Avoir les principales clés pour réaliser une lecture critique d'articles médico-économiques

# CONTEXTE



- **Contraste**

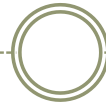
- Désirs illimités : avancées médicales, innovations, etc.
- Ressources limitées (surtout en période de )

→ Maîtrise des dépenses de santé

*« 1€ dépensé pour une action ne peut l'être pour une autre action ;  
il n'y aura jamais assez d'€ pour s'offrir tous les idéaux »*

→ Choix pratiques ? Choix politiques ?

# EVALUATION ECONOMIQUE



- Objectif
  - Éclairer une prise de décision en améliorant la qualité des prises de décision, et donc des choix collectifs

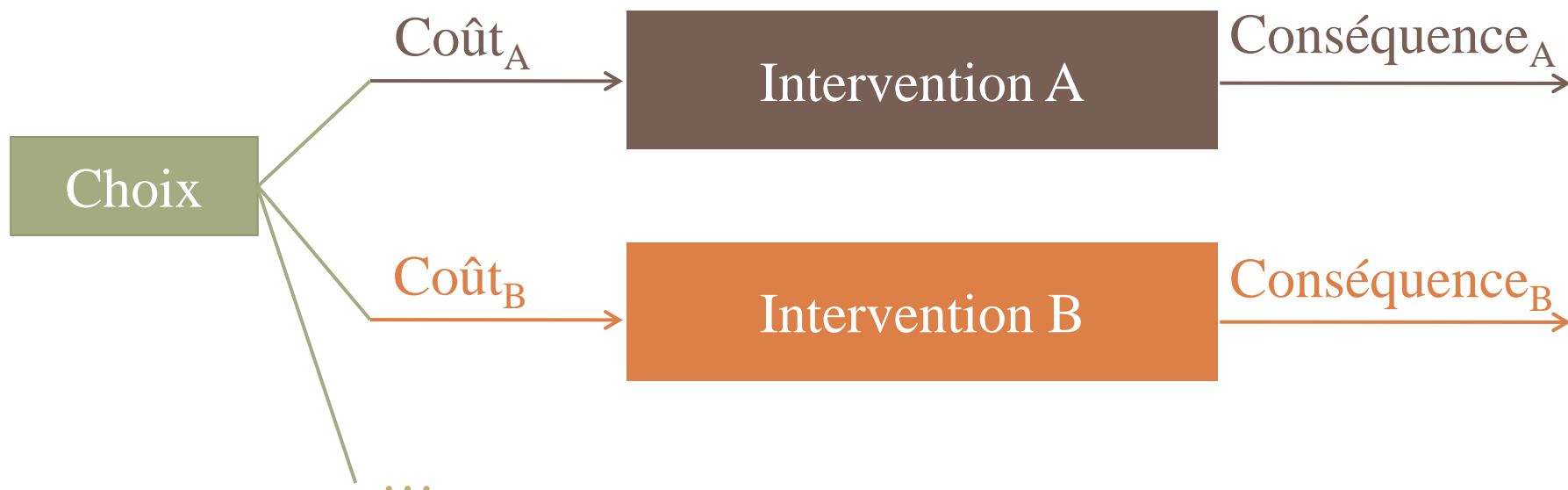
OUTIL D'AIDE A LA DECISION

Contribuant ainsi à l'arbitrage et aux choix des priorités entre différentes interventions disponibles

FINALITE = DEPENSER MIEUX

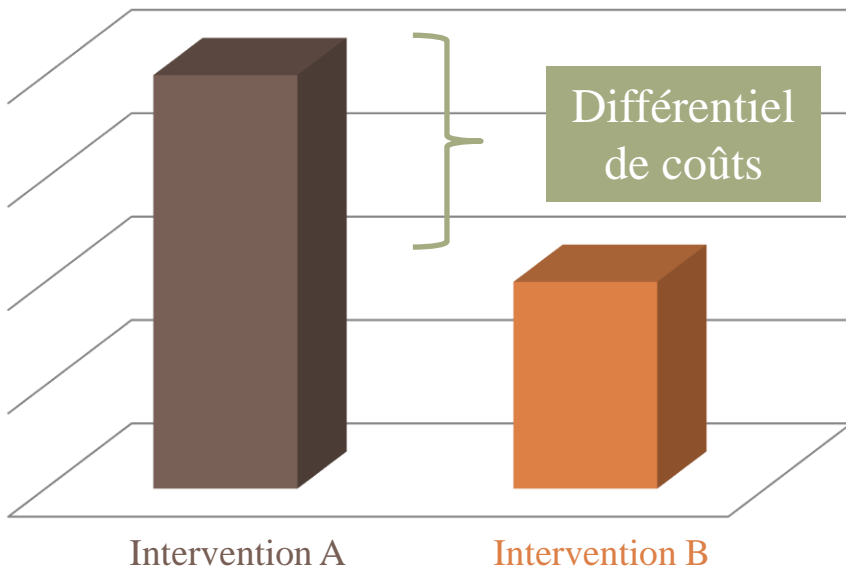
# PRINCIPES GENERAUX

« *EE is the comparative analysis of alternative courses of action in terms of both their costs and consequences* »  
(Drummond *et al.* 1987)

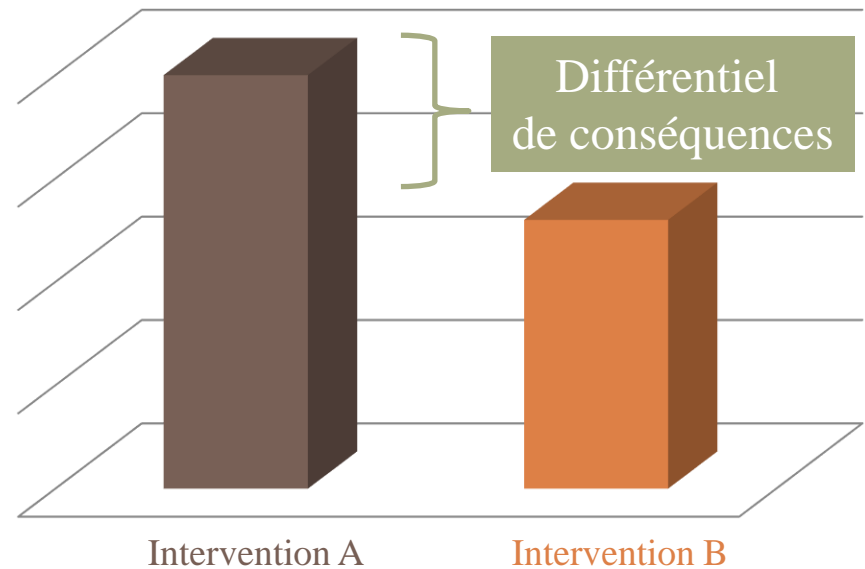


# PRINCIPES GENERAUX

## Coûts



## Conséquences



Concept = confronter coûts (notion d'investissement)  
et conséquences (effets) (notion de résultat)

# EN PRATIQUE



**ÉVALUER**  
LES TECHNOLOGIES DE SANTÉ

**GUIDE**  
**MÉTHODOLOGIQUE**

## Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS

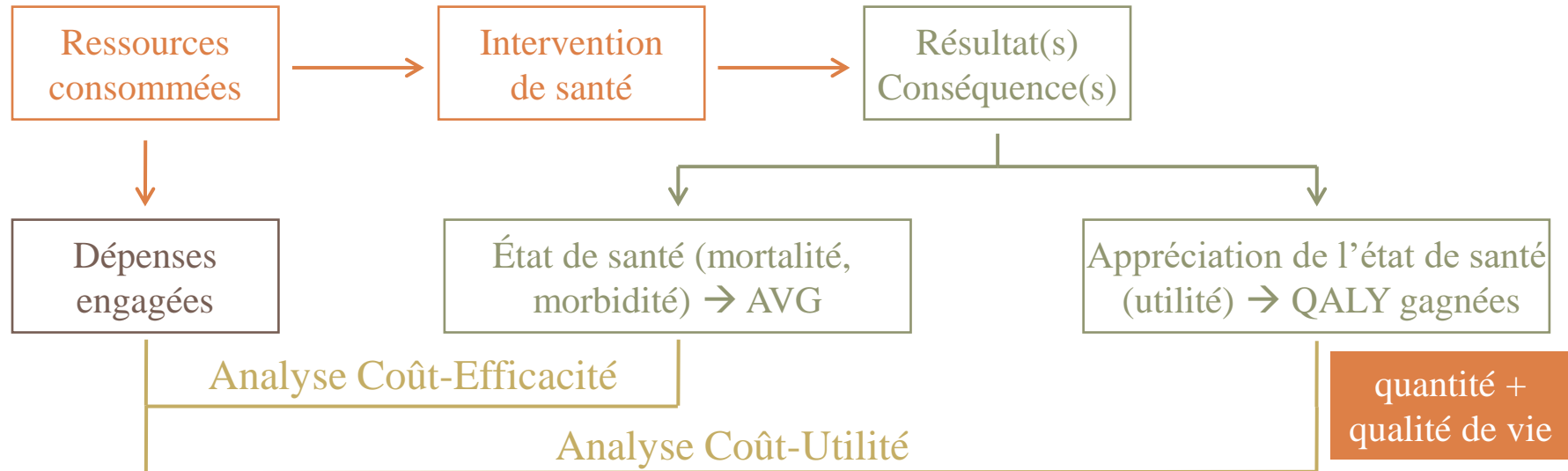
Validé par le Collège le 2 juillet 2020



	Les options méthodologiques retenues sont de la responsabilité de l'auteur, qui argumente son choix.
Objectif	Dans le cadre des missions de la HAS, l'objectif d'une évaluation économique est d'éclairer la décision publique d'allocation de ressources collectives, en documentant notamment le critère d'efficience.
La méthode d'évaluation	<p>Analyse coût-efficacité ou coût-utilité en fonction de la nature des effets des interventions sur la santé et de la disponibilité des données.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>– ACE si la qualité de vie n'est pas une conséquence importante.</li> <li>– ACU si la qualité de vie est une conséquence importante.</li> </ul>
La perspective	<p>Perspective collective ou, à défaut, perspective restreinte au système de santé.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>– Population dont la santé est affectée (identification et mesure des effets sur la santé) et population générale (valorisation des préférences sur la santé)</li> <li>– Ensemble des ressources qui concourent à la production de la prise en charge, indépendamment de leur source de financement.</li> </ul>
La population d'analyse	Ensemble des individus concernés par l'intervention évaluée, directement ou de manière induite.
Les interventions à comparer	<p>Toutes les options dans la population d'analyse sont identifiées.</p> <p>La sélection des interventions comparées est dûment argumentée.</p>
L'horizon temporel	Le choix d'un horizon temporel sur la vie entière ou sur une durée déterminée relève d'un arbitrage entre l'information produite et l'incertitude générée par l'extrapolation dans le temps.
L'actualisation	<p>Actualisation au-delà de 12 mois selon le taux d'actualisation public en vigueur au moment de l'évaluation (fixé à 2,5 % au moment de l'édition de ce guide).</p> <p>Le taux d'actualisation décroît après 30 ans jusqu'à 1,5%.</p>
Critère de résultat de santé	ACE : durée de vie (indicateur : années de vie sur la mortalité toutes causes).
	ACU : durée de vie ajustée sur la qualité (indicateur : QALY)
Critère de coût	Coûts directs valorisés aux coûts de production ou, à défaut, sur leur tarif/prix.
Conclusion de l'évaluation	<p>En matière d'efficience, les résultats présentés sont l'identification des interventions sur la frontière d'efficience et l'estimation des RDCR ou des BN sur la frontière d'efficience.</p> <p>Exploration de l'incertitude par des approches déterministes et probabilistes</p>
	Analyse des transferts de dépenses entre financeurs
Analyse critique de l'évaluation	Analyse de la validité de la méthode et de l'incertitude sur les résultats
	Discussion des conclusions et des limites de l'évaluation



# ACE ? ACU ?



# EN PRATIQUE



ÉVALUER  
LES TECHNOLOGIES DE SANTÉ

GUIDE  
MÉTHODOLOGIQUE

## Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS

Validé par le Collège le 2 juillet 2020

Modélisation

	Les options méthodologiques retenues sont de la responsabilité de l'auteur, qui argumente son choix.
Objectif	Dans le cadre des missions de la HAS, l'objectif d'une évaluation économique est d'éclairer la décision publique d'allocation de ressources collectives, en documentant notamment le critère d'efficience.
La méthode d'évaluation	Analyse coût-efficacité ou coût-utilité en fonction de la nature des effets des interventions sur la santé et de la disponibilité des données. <ul style="list-style-type: none"><li>– ACE si la qualité de vie n'est pas une conséquence importante.</li><li>– ACU si la qualité de vie est une conséquence importante.</li></ul>
La perspective	Perspective collective ou, à défaut, perspective restreinte au système de santé. <ul style="list-style-type: none"><li>– Population dont la santé est affectée (identification et mesure des effets sur la santé) et population générale (valorisation des préférences sur la santé)</li><li>– Ensemble des ressources qui concourent à la production de la prise en charge, indépendamment de leur source de financement.</li></ul>
La population d'analyse	Ensemble des individus concernés par l'intervention évaluée, directement ou de manière induite.
Les interventions à comparer	Toutes les options dans la population d'analyse sont identifiées. La sélection des interventions comparées est dûment argumentée.
L'horizon temporel	Le choix d'un horizon temporel sur la vie entière ou sur une durée déterminée relève d'un arbitrage entre l'information produite et l'incertitude générée par l'extrapolation dans le temps.
L'actualisation	Actualisation au-delà de 12 mois selon le taux d'actualisation public en vigueur au moment de l'évaluation (fixé à 2,5 % au moment de l'édition de ce guide). Le taux d'actualisation décroît après 30 ans jusqu'à 1,5%.
Critère de résultat de santé	ACE : durée de vie (indicateur : années de vie sur la mortalité toutes causes).
	ACU : durée de vie ajustée sur la qualité (indicateur : QALY)
Critère de coût	Coûts directs valorisés aux coûts de production ou, à défaut, sur leur tarif/prix.
Conclusion de l'évaluation	En matière d'efficience, les résultats présentés sont l'identification des interventions sur la frontière d'efficience et l'estimation des RDCR ou des BN sur la frontière d'efficience. Exploration de l'incertitude par des approches déterministes et probabilistes
	Analyse des transferts de dépenses entre financeurs
Analyse critique de l'évaluation	Analyse de la validité de la méthode et de l'incertitude sur les résultats
	Discussion des conclusions et des limites de l'évaluation

# HEALTH-RELATED QUALITY OF LIFE PROFILE *VERSUS* PREFERENCE-BASED MEASURES



## HRQoL PROFILE MEASURE

Psychometric approach

A respondent describes his/her own HRQoL

Domains of HRQoL are kept separate, a series of domain scores describe a HRQoL *profile*

Each domain score is typically derived from several items (questions)

Typically items (questions) are unweighted

Ordinal scales

No anchors: minimum and maximum values are a function of scoring algorithm

Typically average or sum of items

Often linearly transformed to 0-100 range

## PREFERENCE-BASED MEASURE

Utility approach

Scores represent the value of health states

Domains of HRQoL are combined into a single *index*

Typically one item (question) per domain

Domains are weighted

Weights are derived using a preference-based method

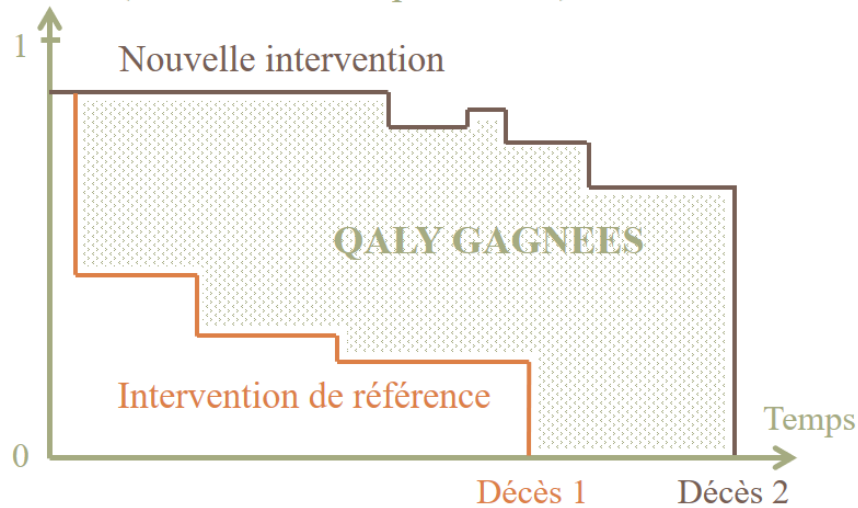
Interval scale, anchored at 0 (death) and 1 (full health), values worse than death are possible

# HEALTH-RELATED QUALITY OF LIFE PROFILE VERSUS PREFERENCE-BASED MEASURES

**Préférence** des individus (société) par rapport à un ensemble de résultats de santé

Mesure de la **valeur** d'un état de santé (variable selon personne interrogée)

Utilité (coeff = score de préférence)



## PREFERENCE-BASED MEASURE

Utility approach

Scores represent the **value of health states**

Domains of HRQoL are combined into a single *index*

Typically one item (question) per domain

Domains are weighted

Weights are derived using a preference-based method

Interval scale, anchored at 0 (death) and 1 (full health), values worse than death are possible

< 0

0

1

État de santé pire que la mort

Pire état de santé imaginable (mort)

Meilleur état de santé imaginable

Figure 1: EQ-5D-5L (UK English sample version)

Under each heading, please tick the **ONE** box that best describes your health **TODAY**

### MOBILITY

- I have no problems in walking about ☐
- I have slight problems in walking about ☐
- I have moderate problems in walking about ☐
- I have severe problems in walking about ☐
- I am unable to walk about ☐

### SELF-CARE

- I have no problems washing or dressing myself ☐
- I have slight problems washing or dressing myself ☐
- I have moderate problems washing or dressing myself ☐
- I have severe problems washing or dressing myself ☐
- I am unable to wash or dress myself ☐

### USUAL ACTIVITIES (e.g. work, study, housework, family or leisure activities)

- I have no problems doing my usual activities ☐
- I have slight problems doing my usual activities ☐
- I have moderate problems doing my usual activities ☐
- I have severe problems doing my usual activities ☐
- I am unable to do my usual activities ☐

### PAIN / DISCOMFORT

- I have no pain or discomfort ☐
- I have slight pain or discomfort ☐
- I have moderate pain or discomfort ☐
- I have severe pain or discomfort ☐
- I have extreme pain or discomfort ☐

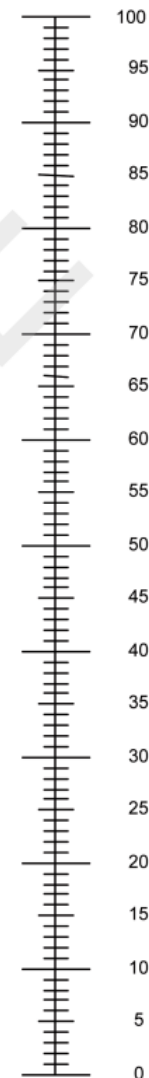
### ANXIETY / DEPRESSION

- I am not anxious or depressed ☐
- I am slightly anxious or depressed ☐
- I am moderately anxious or depressed ☐
- I am severely anxious or depressed ☐
- I am extremely anxious or depressed ☐

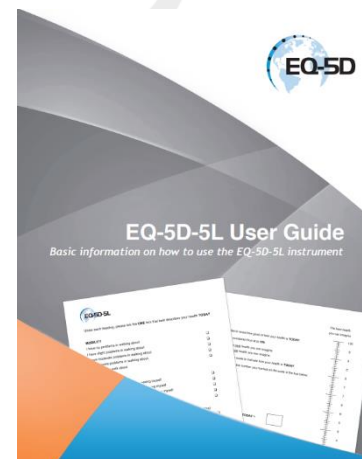
- We would like to know how good or bad your health is **TODAY**.
- This scale is numbered from **0** to **100**.
- 100** means the best health you can imagine.  
**0** means the worst health you can imagine.
- Mark an **X** on the scale to indicate how your health is **TODAY**.
- Now, please write the number you marked on the scale in the box below.

YOUR HEALTH TODAY =

The best health  
you can imagine



The worst health  
you can imagine



# EN PRATIQUE



ÉVALUER  
LES TECHNOLOGIES DE SANTÉ

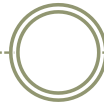
GUIDE  
MÉTHODOLOGIQUE

## Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS

Validé par le Collège le 2 juillet 2020

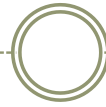
	Les options méthodologiques retenues sont de la responsabilité de l'auteur, qui argumente son choix.
Objectif	Dans le cadre des missions de la HAS, l'objectif d'une évaluation économique est d'éclairer la décision publique d'allocation de ressources collectives, en documentant notamment le critère d'efficience.
La méthode d'évaluation	Analyse coût-efficacité ou coût-utilité en fonction de la nature des effets des interventions sur la santé et de la disponibilité des données. <ul style="list-style-type: none"><li>– ACE si la qualité de vie n'est pas une conséquence importante.</li><li>– ACU si la qualité de vie est une conséquence importante.</li></ul>
La perspective	Perspective collective ou, à défaut, perspective restreinte au système de santé. <ul style="list-style-type: none"><li>– Population dont la santé est affectée (identification et mesure des effets sur la santé) et population générale (valorisation des préférences sur la santé)</li><li>– Ensemble des ressources qui concourent à la production de la prise en charge, indépendamment de leur source de financement.</li></ul>
La population d'analyse	Ensemble des individus concernés par l'intervention évaluée, directement ou de manière induite.
Les interventions à comparer	Toutes les options dans la population d'analyse sont identifiées. La sélection des interventions comparées est dûment argumentée.
L'horizon temporel	Le choix d'un horizon temporel sur la vie entière ou sur une durée déterminée relève d'un arbitrage entre l'information produite et l'incertitude générée par l'extrapolation dans le temps.
L'actualisation	Actualisation au-delà de 12 mois selon le taux d'actualisation public en vigueur au moment de l'évaluation (fixé à 2,5 % au moment de l'édition de ce guide). Le taux d'actualisation décroît après 30 ans jusqu'à 1,5%.
Critère de résultat de santé	ACE : durée de vie (indicateur : années de vie sur la mortalité toutes causes).
	ACU : durée de vie ajustée sur la qualité (indicateur : QALY)
Critère de coût	Coûts directs valorisés aux coûts de production ou, à défaut, sur leur tarif/prix.
Conclusion de l'évaluation	En matière d'efficience, les résultats présentés sont l'identification des interventions sur la frontière d'efficience et l'estimation des RDCR ou des BN sur la frontière d'efficience.
	Exploration de l'incertitude par des approches déterministes et probabilistes Analyse des transferts de dépenses entre financeurs
Analyse critique de l'évaluation	Analyse de la validité de la méthode et de l'incertitude sur les résultats
	Discussion des conclusions et des limites de l'évaluation

# CRITERES DE COÛTS



- Le coût d'un bien n'existe pas
  - Autant de coûts que d'utilisation (type)
- Composantes
  - Fixes, variables (dépendant de Qté produite), totaux
- Directs, indirects, intangibles
- Identification, mesure, valorisation des ressources associées à l'intervention

# CRITERES DE COÛTS



## ■ Identification

### ○ Coûts de production (= coût total de l'intervention)

- Coûts directs, définis comme les ressources consommées en biens, services ou en temps pour produire les interventions étudiées

### ○ Recueil restreint aux

- Coûts susceptibles de différer entre les 2 stratégies
- *Cost driver* (poste de dépenses avec coût élevé)

○ Ex : traitement (acquisition + administration), EI en cancérologie





# EN PRATIQUE



**ÉVALUER**  
LES TECHNOLOGIES DE SANTÉ

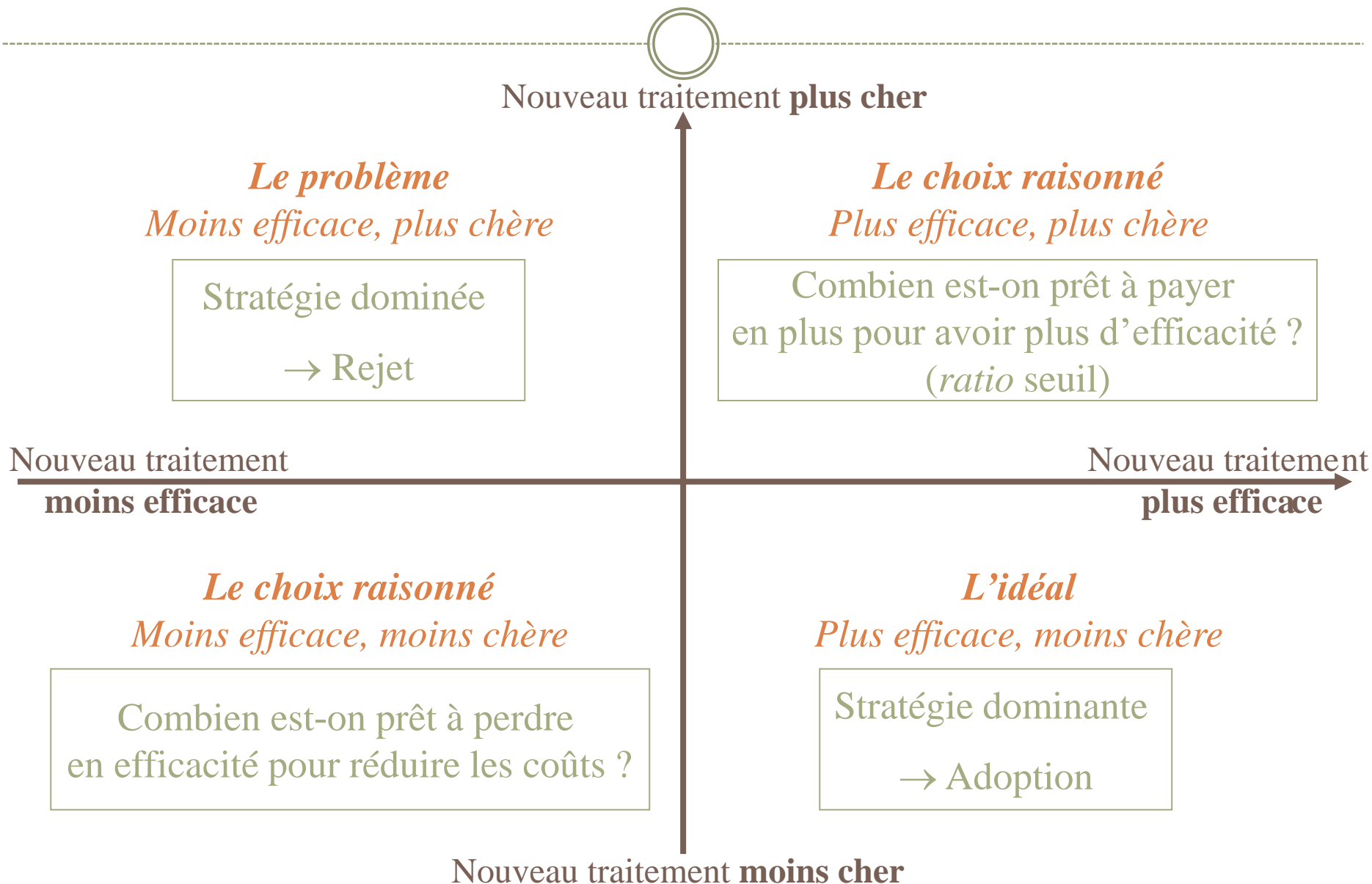
**GUIDE**  
**MÉTHODOLOGIQUE**

## Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS

Validé par le Collège le 2 juillet 2020

	Les options méthodologiques retenues sont de la responsabilité de l'auteur, qui argumente son choix.
Objectif	Dans le cadre des missions de la HAS, l'objectif d'une évaluation économique est d'éclairer la décision publique d'allocation de ressources collectives, en documentant notamment le critère d'efficience.
La méthode d'évaluation	Analyse coût-efficacité ou coût-utilité en fonction de la nature des effets des interventions sur la santé et de la disponibilité des données. <ul style="list-style-type: none"> <li>– ACE si la qualité de vie n'est pas une conséquence importante.</li> <li>– ACU si la qualité de vie est une conséquence importante.</li> </ul>
La perspective	Perspective collective ou, à défaut, perspective restreinte au système de santé. <ul style="list-style-type: none"> <li>– Population dont la santé est affectée (identification et mesure des effets sur la santé) et population générale (valorisation des préférences sur la santé)</li> <li>– Ensemble des ressources qui concourent à la production de la prise en charge, indépendamment de leur source de financement.</li> </ul>
La population d'analyse	Ensemble des individus concernés par l'intervention évaluée, directement ou de manière induite.
Les interventions à comparer	Toutes les options dans la population d'analyse sont identifiées. La sélection des interventions comparées est dûment argumentée.
L'horizon temporel	Le choix d'un horizon temporel sur la vie entière ou sur une durée déterminée relève d'un arbitrage entre l'information produite et l'incertitude générée par l'extrapolation dans le temps.
L'actualisation	Actualisation au-delà de 12 mois selon le taux d'actualisation public en vigueur au moment de l'évaluation (fixé à 2,5 % au moment de l'édition de ce guide). Le taux d'actualisation décroît après 30 ans jusqu'à 1,5%.
Critère de résultat de santé	ACE : durée de vie (indicateur : années de vie sur la mortalité toutes causes).
	ACU : durée de vie ajustée sur la qualité (indicateur : QALY)
Critère de coût	Coûts directs valorisés aux coûts de production ou, à défaut, sur leur tarif/prix.
Conclusion de l'évaluation	En matière d'efficience, les résultats présentés sont l'identification des interventions sur la frontière d'efficience et l'estimation des RDCR ou des BN sur la frontière d'efficience.
	Exploration de l'incertitude par des approches déterministes et probabilistes
	Analyse des transferts de dépenses entre financeurs
Analyse critique de l'évaluation	Analyse de la validité de la méthode et de l'incertitude sur les résultats
	Discussion des conclusions et des limites de l'évaluation

# Plan coût/efficacité d'après Black

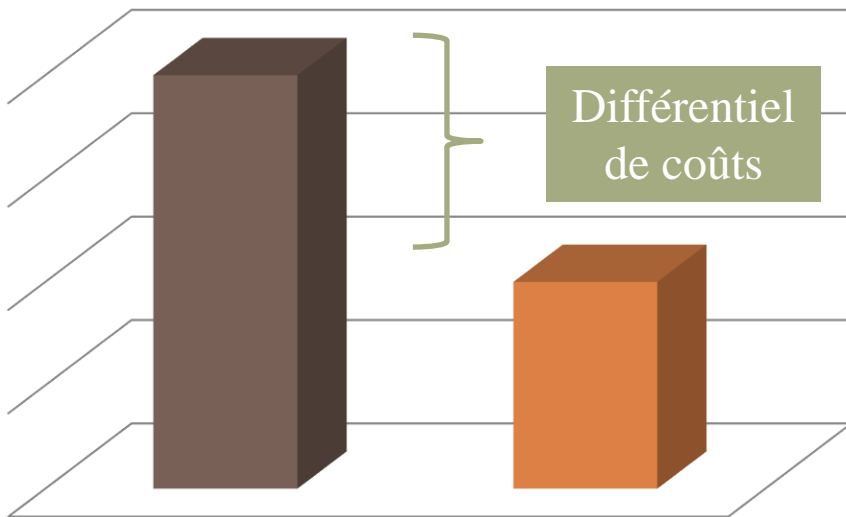


# CALCUL ET INTERPRETATION DES RESULTATS

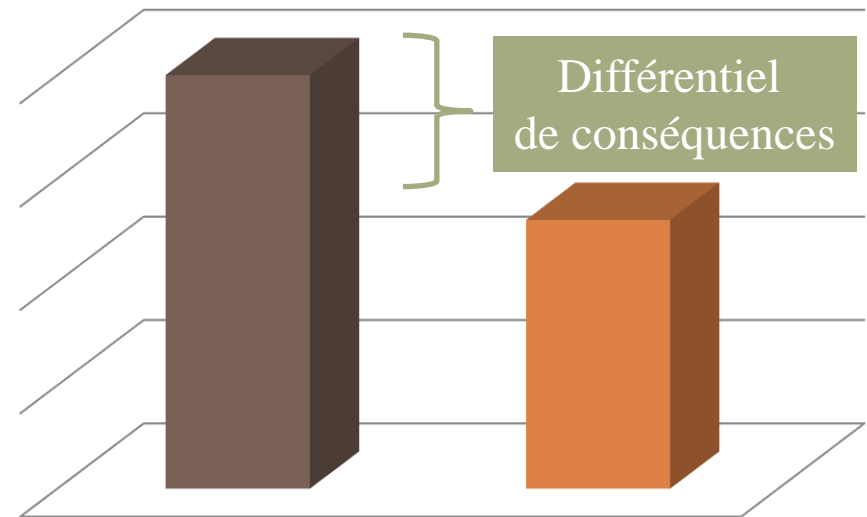
RDCR = *Ratio* Différentiel Coût-Résultat

Coûts

Conséquences



Nouveau traitement    Traitement de référence



Nouveau traitement    Traitement de référence

$$\frac{C_A - C_B}{E_A - E_B} =$$

Incremental Cost-Effectiveness *Ratio* (€/LYS)

ou

Incremental Cost-Utility *Ratio* (€/QALY)

# CALCUL ET INTERPRETATION DES RESULTATS

## STRATEGIE COUT-EFFICACE ?

- Comparaison de l'ICER à une valeur seuil ? des valeurs seuils ?
- *League tables* ?
  - Hémodialyse (hôpital) : 31 000 \$/AVG
- UK – **NICE** National Institute for Health and Care Excellence → 20 000 à 30 000 £/QALY
  - Mais 70 000£/QALY pour fin de vie, M<sup>ies</sup> orphelines
- US → 50 000 \$/LYG
- Aux Pays-Bas → 80 000€/QALY

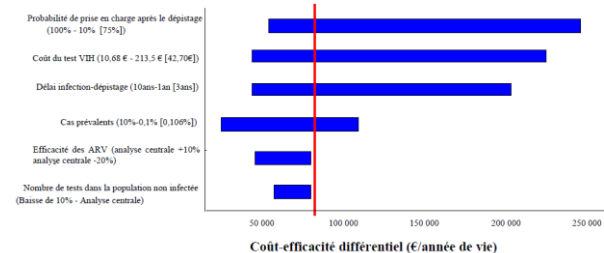
En Fr ?



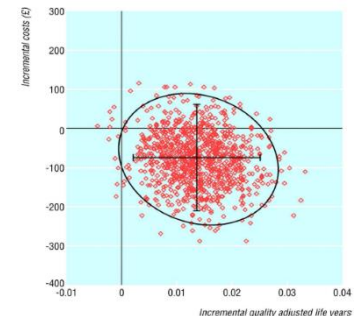
# ANALYSE DE SENSIBILITE



- Partie intégrante de l'EME
  - Raison : démarche d'EE effectuée en situation d'incertitude
- Objectif
  - Observer la robustesse des résultats + mesurer l'impact des paramètres clés sur les résultats
- Sources d'incertitude à identifier
  - Paramètres, structure du modèle, choix méthodolog<sub>q</sub>
- Déterministe et probabiliste



Source : Dépistage de l'infection par le VIH en France. Stratégies et dispositifs de dépistage. HAS, Octobre 2009.



# EN PRATIQUE



ÉVALUER  
LES TECHNOLOGIES DE SANTÉ

GUIDE  
MÉTHODOLOGIQUE

## Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS

Validé par le Collège le 2 juillet 2020

	Les options méthodologiques retenues sont de la responsabilité de l'auteur, qui argumente son choix.
Objectif	Dans le cadre des missions de la HAS, l'objectif d'une évaluation économique est d'éclairer la décision publique d'allocation de ressources collectives, en documentant notamment le critère d'efficience.
La méthode d'évaluation	Analyse coût-efficacité ou coût-utilité en fonction de la nature des effets des interventions sur la santé et de la disponibilité des données. <ul style="list-style-type: none"><li>– ACE si la qualité de vie n'est pas une conséquence importante.</li><li>– ACU si la qualité de vie est une conséquence importante.</li></ul>
La perspective	Perspective collective ou, à défaut, perspective restreinte au système de santé. <ul style="list-style-type: none"><li>– Population dont la santé est affectée (identification et mesure des effets sur la santé) et population générale (valorisation des préférences sur la santé)</li><li>– Ensemble des ressources qui concourent à la production de la prise en charge, indépendamment de leur source de financement.</li></ul>
La population d'analyse	Ensemble des individus concernés par l'intervention évaluée, directement ou de manière induite.
Les interventions à comparer	Toutes les options dans la population d'analyse sont identifiées. La sélection des interventions comparées est dûment argumentée.
L'horizon temporel	Le choix d'un horizon temporel sur la vie entière ou sur une durée déterminée relève d'un arbitrage entre l'information produite et l'incertitude générée par l'extrapolation dans le temps.
L'actualisation	Actualisation au-delà de 12 mois selon le taux d'actualisation public en vigueur au moment de l'évaluation (fixé à 2,5 % au moment de l'édition de ce guide). Le taux d'actualisation décroît après 30 ans jusqu'à 1,5%.
Critère de résultat de santé	ACE : durée de vie (indicateur : années de vie sur la mortalité toutes causes).
	ACU : durée de vie ajustée sur la qualité (indicateur : QALY)
Critère de coût	Coûts directs valorisés aux coûts de production ou, à défaut, sur leur tarif/prix.
Conclusion de l'évaluation	En matière d'efficience, les résultats présentés sont l'identification des interventions sur la frontière d'efficience et l'estimation des RDCR ou des BN sur la frontière d'efficience.
	Exploration de l'incertitude par des approches déterministes et probabilistes
	Analyse des transferts de dépenses entre financeurs
Analyse critique de l'évaluation	Analyse de la validité de la méthode et de l'incertitude sur les résultats
	Discussion des conclusions et des limites de l'évaluation

---

## 10 Questions of Drummond's checklist

---

Q1 Was a well-defined question posed in answerable form?

Q2 Was a comprehensive description of the competing alternatives given?

Q3 Was the effectiveness of the programs or services established?

Q4 Were all the important and relevant costs and consequences for each alternative identified?

Q5 Were costs and consequences measured accurately in appropriate physical units?

Q6 Were costs and consequences valued credibly?

Q7 Were costs and consequences adjusted for differential timing?

Q8 Was an incremental analysis of costs and consequences of alternatives performed?

Q9 Was allowance made for uncertainty in the estimates of costs and consequences?

Q10 Did the presentation and discussion of study results include all issues of concern to users?

---

# TAKE-HOME MESSAGE

## ETS, EE DANS LE DOMAINE DE LA SANTE

- Eclairage indispensable au décideur public dans la recherche du meilleur équilibre entre
  - Amélioration de l'état de santé des personnes, équité d'accès aux soins, qualité de l'offre de soins, capacité à intégrer l'innovation, maîtrise des dépenses
- Aide à la décision  $\pm$  importante selon systèmes de santé
- Nécessité de renforcer pratique, qualité