

ETHIQUE ET ÉCONOMIE DE LA SANTÉ : QUELS ENJEUX ACTUELS ?

Actes de la 15^e Matinée thématique du 21 juin 2018

SOMMAIRE

TABLE RONDE 1

La recherche en économie de la santé : le temps de s'interroger sur les pratiques ?

- Jean-Claude K. Dupont 3
- Florence Jusot..... 4
- Philippe Tessier..... 7
- Céline Lefève..... 9

TABLE RONDE 2

Evaluation économique et critères de priorisation dans l'allocation des ressources en santé

- Clémence Thébaut..... 10
- Daniel Herrera..... 10
- Christian Léonard 12
- Christian Saout..... 13

LE MOT DU PRÉSIDENT

L'espérance de vie stagne... tout comme le niveau de vie

L'espérance de vie stagne en France depuis 4 ans, celle des hommes a augmenté faiblement depuis 2014 (de 79 à 79,2 ans) et celle des femmes a légèrement baissé (85,4 à 85,3 ans). Aux Etats-Unis l'espérance de vie recule depuis 4 ans (78,9 ans en 2014 pour 78,6 ans en 2017). Les causes sont diverses et il est difficile d'en tirer des conclusions sur l'évolution à long terme de l'espérance de vie nous dirait-on. Certes, il est néanmoins possible dire que cette quasi-stagnation de l'espérance de vie sur 4 ans en France est inédite depuis 70 ans.

Le niveau de vie des ménages est également inchangé en France depuis 10 ans

maintenant, c'est un phénomène inconnu depuis l'après-guerre sur une si longue période. Il ne s'agit pas de faire un parallèle hasardeux entre ces deux évolutions, c'est simplement pour nous l'occasion de rappeler que l'augmentation de l'espérance de vie, et de l'état de santé d'une population en générale, n'est pas uniquement déterminée par le progrès médical. Elle est aussi et surtout le résultat depuis 1945 d'un formidable essor économique et social, d'une volonté politique forte d'améliorer les conditions de vie (conditions matériels d'existence, accès à l'éducation, accès au loisir, mobilité, pénibilité du travail, environnement...), des plus défavorisés en particulier. La santé est, nous

(Suite page suivante)

ÉDITORIAL

La rencontre et la complémentarité, en matière de santé, entre l'économie et l'éthique sont illustrées par Sénèque lorsqu'il se demande pourquoi nous ne sommes pas quittes vis-à-vis du médecin (ou du précepteur !) après les avoir payés ? Cette réflexion montre combien il ne s'agit pas de réduire la santé à une dimension économique mais inversement, aussi, combien la santé n'est pas étrangère à toute dimension économique.

La santé nous concerne tous, au plus intime et comme corps social, renvoyant aux deux sens de l'économie, étymologique (domestique) et usuel (sens contemporain). Nous avons besoin de produire des connaissances en utilisant nos méthodes respectives. Nous avons également besoin de dialogue et d'échanges, ce qui a été souhaité lors de cette Matinée thématique.

L'économie est une science sociale basée sur des pratiques de quantification. Or, lorsque nous mesurons quelque chose, c'est le résultat de conventions sur l'outil qui va nous permettre de mesurer. C'est la réflexion d'Alain Desrosières, par exemple, sur le fait que la « quantification » suppose deux choses : « mesurer » et « conve-

nir ». Avant de mesurer, il faut que nous nous soyons accordé, que nous ayons délibéré ensemble, que nous ayons réfléchi sur l'outil qui nous permet de mesurer. L'éthique nous invite à questionner nos normes, nos conventions, lorsque nous « mesurons ».

Lorsqu'on mesure deux choses au moyen d'un même outil, on peut construire des comparaisons. « Mesurer », c'est ainsi porter des jugements sur la base des résultats que nous observons et que nous aurons mesurés sur différentes interventions. Il existe alors une proximité entre la culture clinique, à travers la recherche clinique, et la culture en économie, à travers la recherche ou l'évaluation économique. Effectivement en économie comme en clinique, une mesure est aussi un critère de jugement.

Autre point de convergence, les recherches en économie reposent sur la participation de patients ou de professionnels de santé, ce qui est un autre point de départ pour la réflexion éthique. Toute recherche en économie s'inscrit dès lors dans un cadre plus large d'éthique de la recherche en santé. La recherche en économie,

(Suite page suivante)

Collège des économistes de la santé

CESP – Équipe 1 – Hôpital Paul Brousse
Bâtiment 15/16
16, avenue Paul Vaillant Couturier
94807 Villejuif cedex

Tél. : 06 67 52 04 16

E-mail : sg@ces-asso.org

Site internet : www.ces-asso.org

Directeur de rédaction :

Jérôme Wittwer, assisté de
Denis Raynaud et Bruno Detournay

Secrétariat de rédaction :

Claire Maugé

IRDES Conception maquette :

Franck-Séverin Clérembault (Irdes),
Anne Evans (Irdes)

Mise en page :

Franck-Séverin Clérembault (Irdes),
Damien Le Torrec (Irdes)

ISSN : 2266-7857

Tous droits réservés. Les reproductions de textes, graphiques ou tableaux sont soumises à autorisation écrite et préalable du Collège des économistes de la santé.

Le mot du président (suite)

Le savons tous, étroitement associée aux conditions de vie tout au long de la vie. C'est une banalité mais une banalité utile à rappeler, comme il est utile de rappeler que, de manière quasi-tautologique, l'égalité des chances (en santé et en général) a d'autant plus de chance d'être forte que les inégalités de conditions de vie sont faibles.

L'universalité (théorique) de l'accès et du recours aux soins offerte par les systèmes de santé de nos pays développés est un amortisseur précieux de l'effet des inégalités de condition de vie sur la santé. Cela ne reste qu'un amortisseur, à l'efficacité d'ailleurs variable d'un pays à l'autre.

Un ralentissement de la croissance du niveau de vie doit-il se traduire par un ralentissement de la hausse de l'espérance de vie, voire une stagnation ou même un recul ? Il n'y a certainement aucun déterminisme, bien heureusement, les condi-

tions de vie ne sont pas uniquement déterminées par la croissance et le niveau de richesse d'un pays, mais il est encore une fois utile de rappeler qu'une détérioration significative des conditions de vie se traduira par une dégradation de la santé des populations affectées et celle de leurs enfants.

La santé d'une population est le reflet d'arbitrages individuels et de choix collectifs. Les deux sont liés, naturellement, les préférences s'héritent et se construisent faces aux contraintes (quitte à heurter notre doctrine de microéconomiste !) et les contraintes sont façonnées par les choix collectifs. Notre rôle est d'évaluer l'impact des choix collectifs sur la santé des populations et pas seulement des choix collectifs en lien direct avec le système de santé. ■

Jérôme Wittwer
Président du Collège
des économistes de la santé

ÉDITORIAL, suite...

et les expérimentations, questionnent ce cadre de l'éthique de la recherche qui s'est élaboré à partir des pratiques de recherche clinique et de quelle manière nous pouvons optimiser l'utilité des connaissances produites.

En recherche clinique, tout moyen efficace pour améliorer la santé (à partir du moment où il est bien toléré par les patients) est « bon à prendre » ; en matière de politique de santé, nous savons que tous les moyens « ne sont pas bons » pour arriver à une fin. De telles intuitions morales (cette « acceptabilité sociale ») doivent-elles conduire à juger non-éthiques certaines recherches en économie, par exemple lorsqu'elles portent sur des moyens d'agir efficacement sur des comportements néfastes pour la santé ? Il y aurait là un risque de dérive car la recherche doit pouvoir être politiquement « incorrecte » ; mais où placer le curseur ? Voilà une question importante posée par l'économie à l'éthique de la recherche.

Du point de vue cette fois des « technologies de santé », nous avons vu arriver récemment sur le marché des thérapies innovantes et coûteuses dans divers champs thérapeutiques, comme les immunothérapies en cancérologie. Celles-ci suscitent des espoirs importants, mais elles soulèvent dans le même temps un certain nombre de difficultés du fait du prix qui est revendiqué par les laboratoires pharmaceutiques. En 2013-2014, un appel de professionnels de santé avait été lancé en France et aux États-Unis pour souligner le problème de financement soulevé par le prix des anti-cancéreux. Plus récemment, on a pu entendre le cri d'alarme du président de l'Institut Curie et de celui de La Ligue contre le cancer. La question se pose de savoir quel montant maximum nous pouvons accepter de payer collectivement pour ces innovations.

Les économistes ont contribué à ces discussions, en particulier depuis la loi de 2012 qui a confié à la HAS, et plus précisément à la CEESP que préside Christian Saout, une mission d'évaluation

économique, en évaluant le rapport coût/efficacité des différentes interventions. Ce RDCR identifie le coût qu'implique de consentir chaque stratégie pour produire une unité de santé supplémentaire (par exemple, une année de vie supplémentaire en bonne santé (QALY)). Ces analyses conduisent à montrer que le prix acceptable d'un médicament dépend de son efficacité. Si le médicament est très efficace, on peut accepter un prix élevé, mais si le produit est peu efficace, le prix devrait être plus bas.

Utiliser cette information dans le processus de fixation et de remboursement soulève toutefois une question importante : est-ce que l'on souhaite définir une valeur tutélaire unique, pour interpréter le résultat de l'évaluation, ce qui implique que les gains en santé seraient valorisés de façon identique quelle que soit le contexte des patients, conformément à la célèbre formule de Weinstein "A QALY is a QALY is a QALY" (1988), ou souhaitons-nous collectivement accorder davantage de ressources à l'amélioration de l'état de santé de certaines populations, comme celles jugées plus vulnérables. Le cas échéant, il s'agit de définir les critères de priorité qui doivent prévaloir.

En intégrant ainsi la perspective d'un arbitrage, la recherche économique, par rapport à la recherche clinique, nous invite à remplacer le principe d'indifférence clinique, ou « équipoise », par le principe d'un « voile d'ignorance ». Ce changement n'est certainement pas neutre ou trivial d'un point de vue éthique. Là aussi, la recherche en économie nous invite à réfléchir sur l'éthique, qui est bien une pratique du questionnement et non un livre de recettes ou de prescriptions. ■

Jean-Claude K. Dupont Directeur adjoint de la Chaire Hospinomics (AP-HP/PSE) ; Chercheur associé à l'EA ETRES (Centre de recherche des Cordeliers, Université Paris Descartes)

Clémence Thébaut MCF à l'Université de Limoges, OMIJ

Jean-Claude K. Dupont

Directeur adjoint de la Chaire Hospinomics (AP-HP/PSE),

Chercheur associé à l'EA ETRES (Centre de recherche des Cordeliers, Université Paris Descartes)

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :

www.ces-asso.org/sites/default/les/jckd_tr_1.pdf

Le but de cette table ronde est de s'intéresser aux pratiques de recherche (ou d'évaluation) comme à des points de rencontre entre l'économie et l'éthique en santé.

Les intervenants ont été ainsi invités à aborder la recherche en économie dans le domaine de la santé à travers deux thèmes.

Le premier thème est celui de la mesure. L'économie est une science sociale basée sur des pratiques de quantification. Nous allons donc nous intéresser à ces mesures qui nous permettent en économie de juger d'une intervention ou une autre. Cet usage de la « mesure » comme « critères de jugement » est commune aux pratiques de recherche en médecine et en économie. Il y a cependant des différences et notamment le caractère générique des mesures (par exemple de qualité de vie) en économie par rapport aux mesures spécifiques (à une pathologie ou à une population) en clinique. Dans cette table-ronde, nous questionnerons ces différences et aussi la tendance actuelle à vouloir mesurer la « valeur » d'une intervention de santé d'une autre manière que la manière habituelle en économie, à partir de « standard sets » spécifiques, de données qui « importent aux patients » qui sont chargés de les « auto-rapporter ». La première intervention porte sur la définition et l'arrière-plan théorique des mesures différentes utilisées en économie et la deuxième intervention présente quant à elle une dynamique contemporaine, en termes de mesures et d'outils de mesure. Les deux approches ont en commun de s'intéresser à mesurer la « valeur » d'une intervention de santé et aider, ou éclairer, la décision en santé ; il importe d'interroger les points de rencontre entre ces approches !

Le second thème que nous souhaitons aborder au cours de cette table ronde c'est celui de l'expérimentation, au sens des recherches menées en économie et impliquant la participation de patients ou de professionnels de santé. C'est un aspect de la recherche en économie qui est moins immédiatement perçu par les non-économistes, et elle interroge immédiatement des notions d'éthique de la recherche en santé. Une première question concerne la nature de la recherche en économie dans sa dimension « interventionnelle », c'est-à-dire dans le fait qu'elle se traduit pour les participants par des modifications par rapport à une situation habituelle, des efforts supplémentaires, etc. Une autre question qui doit être abordée tient au fait que l'économie s'intéresse au coût d'opportunité d'une intervention, et donc au risque pour la collectivité d'avoir à faire des arbitrages par ailleurs lorsqu'elle adopte une nouvelle technologie. Ceci ne peut qu'interroger l'éthique de la recherche car, d'une certaine manière, nous demandons aux patients actuels de participer à une recherche dont les résultats viendront abonder une décision qui pourra aller à l'encontre d'intérêts, ou d'attentes, de patients futurs dans une même pathologie (en matière clinique, le postulat prévaut que les résultats de recherche « profiteront » aux patients futurs). Ces deux questions doivent s'accompagner de réflexion sur les pratiques de recherche, en tenant compte de l'environnement particulier de la recherche en santé et en conservant la part de liberté nécessaire à la production de résultats utiles et significatifs, en termes de connaissance et pour la décision publique. ■

QUELLES NORMES ETHIQUES EN SCIENCES ECONOMIQUES ?

Florence Jusot

Professeur en sciences économiques, Université Paris-Dauphine, membre du CCNE

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :
www.ces-asso.org/sites/default/les/ethique_ces_21_juin_nal.pdf

Il s'agit d'un projet qui s'appelle FISCIP (*Financial Incentives for Smoking Cessation in Pregnancy*), qui est soutenu par l'INCA et que je conduis avec Ivan Berlin, Léontine Goldzahl et Noémie Berlin. Le contexte de cette recherche est le fait reconnu que le tabagisme pendant la grossesse est néfaste pour la santé du fœtus et pour le déroulement de la grossesse, mais aussi qu'il a des effets à long terme sur la santé de l'enfant. Pourtant, un pourcentage relativement important de femmes fument pendant la grossesse : près de 20% en France et, dans certains groupes sociaux, le pourcentage est encore plus élevé.

L'objectif de ce projet est d'évaluer l'efficacité d'incitations financières pour la cessation tabagique durant la grossesse. Notre projet a quatre volets. Le premier est d'évaluer l'acceptabilité de la mise en place des incitations financières en France. Nous allons ainsi mettre en place une étude et regarder si, dans la population générale, il y a des préférences qui sont en accord avec l'intervention qui pourrait être mis en place. Ensuite, nous sommes en train de mesurer l'efficacité de ces incitations financières sur deux critères de résultat : le taux d'abstinence des femmes enceintes et le poids de naissance de l'enfant. Et puis nous nous intéressons aussi à évaluer l'hétérogénéité de ces résultats selon plusieurs caractéristiques individuelles des femmes : le statut social, l'origine sociale, les traits de personnalité, les préférences dans le temps et pour le risque, et le parcours tabagique. Enfin, le dernier volet est une analyse coût-bénéfice sur le coût de prise en charge d'un nouveau-né et d'un enfant sans complication péri et post-natale versus avec complication péri et post-natale.

Il s'agit d'une étude expérimentale, randomisée en simple aveugle. C'est une étude de supériorité, visant à montrer la supériorité de la mise en place de l'intervention par rapport au fait de ne rien faire. Cette enquête est nationale.

Nous l'avons implantée initialement dans 18 maternités et centres de coordination. Cependant, il y a une maternité qui a dû fermer et une qui s'est retirée du programme. Nous avons fait un calcul de puissance et nous avons cherché à avoir une intervention auprès de 400 femmes. Aujourd'hui, le groupe témoin est de 398 femmes.

Il s'agit de proposer à des femmes qui sont enceintes de moins de 18 semaines d'aménorrhée, qui fument au moins cinq cigarettes par jour et qui souhaitent arrêter de

fumer, de participer à notre intervention qui est mise en place par les sages-femmes lors de leur consultation de suivi de grossesse. Le protocole prévoit que les femmes viennent pour leur consultation et se voient proposer un suivi tabagique particulier consistant à mettre en place des incitations financières. Si les femmes acceptent de participer, elles sont affectées aléatoirement à un groupe (groupe de contrôle ou groupe d'intervention). Si elles viennent au rendez-vous fixé par le groupe de contrôle, elles recevront un bon d'achat de 20 euros (permettant d'acheter des biens). A chaque visite nous allons mesurer leur consommation tabagique et elles recevront une rémunération supplémentaire conditionnée à leur abstinence. Nous mesurons l'abstinence tabagique de trois manières : en premier, la femme déclare si elle a fumé depuis la dernière visite ; puis un CO testeur est utilisé qui permet de mesurer la consommation de tabac au cours des 10-12 dernières heures ; enfin, un prélèvement urinaire est réalisé avec un dosage d'anabasine qui permet de mesurer de manière objective la consommation de tabac. Pour des raisons strictement financières, un prélèvement est effectué à chaque visite mais nous allons tirer aléatoirement un seul dosage pour le test et également pour mesurer la concordance avec les déclarations.

Les critères principaux d'évaluation de l'efficacité sont : l'abstinence à chaque visite, le poids de naissance et l'abstinence à 6 mois de l'accouchement.

Un paiement incitatif sur du long terme a été mis en place afin d'introduire une incitation à prolonger l'abstinence. Pour le groupe de traitement, lors de la première visite, nous expliquons le protocole. A la deuxième visite, si elle est abstinente, la participante reçoit 40 euros, au lieu de 20 euros seulement. Ensuite, à la troisième visite, si elle est abstinente au deuxième rendez-vous, elle reçoit 60 euros au lieu de 20 euros. Mais si, au deuxième rendez-vous, elle est non-abstinente, elle reçoit 40 euros et si elle est non-abstinente à la troisième visite elle reçoit 20 euros. Au final, le gain total potentiel est de 380 euros pour une femme qui serait abstinente à chaque rendez-vous. Pour le groupe de contrôle, le gain total est de 80 euros. Ce gain correspond à la rémunération de la participation et les visites avec la sage-femme.

Aujourd'hui, nous avons 300 femmes qui ont accepté de participer à cette étude. Et nous sommes toujours en cours de collecte des données.

Je tiens à dire qu'on a plutôt une bonne acceptation par les femmes et une très bonne acceptation par les sages-femmes qui ont été extrêmement favorables à ce dispositif et qui sont très contentes d'avoir un nouvel outil pour essayer d'organiser leur consultation tabacologique. En effet, ça leur a donné un nouveau moyen de parler du tabac avec les femmes. Finalement, quand on discute avec les sages-femmes, elles trouvent l'intervention plutôt innovante, plutôt intéressante et ludique. Elles ont été également favorable alors qu'initialement c'était plus les chefs de services que les sages-femmes qui avaient accepté de participer à l'intervention. C'est pour cela que j'insiste sur le fait que, dans les services qui avaient accepté, les personnes de terrain en contact avec les femmes sont plutôt favorables.

Initialement, nous avons recruté les femmes au sein des maternités participantes via des dépliants et des affiches. Cependant, suite à une fuite dans les médias, qui n'était pas prévue, il y a eu une déferlante assez importante. Ainsi, le département communication de l'AP-HP a élaboré un dossier de presse, avec des informations, à la demande des journalistes, mais sans demander notre avis. De plus, au détour de cette fuite médiatique, il y a eu des réactions assez vives dans le milieu de la santé publique. On nous a reproché de faire un essai randomisé et pas un essai pragmatique, de se fonder sur une approche individuelle s'appuyant sur la responsabilité individuelle et pas une intervention collective qui mettrait mieux en jeu la responsabilité populationnelle des institutions. On nous a également reproché de porter une attention particulière aux enfants et d'ignorer les femmes. On nous a dit que les incitations financières sont sans doute stigmatisantes et stressantes. Je pense qu'il y avait aussi un problème lié à l'évaluation coût-efficacité de l'intervention. Quoi qu'il en soit, l'étude en elle-même a fait l'objet d'une évaluation éthique par un Comité de Protection des Personnes.

En économie, fondamentalement, nous sommes conséquentialistes, donc la fin justifie les moyens. Nous ne jugeons pas une intervention sur la moralité de sa procédure mais sur ses résultats. Nous sommes pragmatiques, nous avons envie de voir si ça marche et c'est pour ça qu'on fait l'intervention. Deuxièmement, nous sommes fondamentalement welfaristes en économie. C'est-à-dire, le critère qui est utilisé pour juger du bien-fondé d'une intervention, c'est le bien-être (*welfare*) agrégé de la population étudiée. Nous sommes utilitaristes en considérant seulement la somme des welfares individuels. Nous sommes, également, parétiens si on considère qu'une situation est préférable si elle permet d'améliorer le bien-être d'au moins un individu sans diminuer celui des autres. Ou enfin, il est possible d'introduire en économie de l'aversion aux inégalités, de donner des priorités au moins bien lotis. Globalement, nous allons chercher à agréger le bien-être des individus et à respecter le bien-être. Ce bien-être dépend des préférences des individus et de leurs choix qu'il va donc falloir prendre en compte. Ainsi, s'il est une valeur éthique que l'économiste veut respecter avant tout, c'est la liberté de choix.

Fondamentalement, nous partons du fait que, quand les individus font un choix, ce choix est relié à leurs préférences et à leur bien-être, compte tenu des contraintes auxquelles ils font face. Le choix qu'ils adoptent était le meilleur pour eux. On pense que les actions des individus renseignent sur leurs préférences et donc quelque part, si une femme fume, c'est qu'elle est contente de fumer et que cela répond à ses besoins. Elle peut avoir beaucoup de contraintes mais cela implique que, compte-tenu de ces contraintes, le fait de fumer était la meilleure option pour elle. Et, toujours du point de vue de la science économique, cela veut dire que contrarier ce choix sera coûteux pour elle ; il faut donc être conscient du coût induit et avoir une bonne justification pour contrarier ce choix, puisque la liberté de choix est chez nous une valeur fondamentale.

Evidemment, on parle de choix éclairés. Le choix qu'on a envie de respecter est un choix éclairé. Si quelqu'un fume parce qu'il n'a aucune information sur les conséquences sur le fœtus, la première chose va être de donner de l'information qui lui rendra de l'autonomie de choix dans un cadre éclairé. Globalement, en économie, on adore la transparence de l'information, qui va de pair avec l'autonomie de choix, et on ne ment pas aux gens. Notamment, dans le cadre de notre expérimentation, nous ne mentons pas aux participantes. Par exemple, je n'ai pas le droit de leur faire croire qu'un CO testeur va mesurer le tabac sur 15 jours alors que ce n'est pas vrai.

Dans ce cadre-là, l'économiste n'est pas très à l'aise pour mettre en place des interventions paternalistes.

Du point de vue de l'économiste, contrarier une femme enceinte parce qu'elle fume, ça demande une justification. Il y a trois types de justifications qui peuvent être avancées :

- Les défauts de rationalité, c'est-à-dire les gens ont des défauts de rationalité qui font que leurs choix ne sont pas les bons car ils ont, par exemple, de l'incohérence temporelle qui peut être source de regret, ils ont des problèmes de manque de contrôle. En tout cas, il y a des défauts de rationalité qui pourraient faire que leur choix n'est pas tant éclairé que ça. Sous réserve d'avoir prouvé que c'est un peu vrai !
- Ils peuvent avoir des défauts de perception des risques encourus que ce soit sur le niveau des conséquences, sur les probabilités... Il y a beaucoup de travaux en économie expérimentale sur ce thème qui montrent que les gens déforment les probabilités et ou les conséquences. Mais là encore, cela implique d'être certains que les gens déforment effectivement les probabilités ou les conséquences.
- Les externalités négatives, c'est-à-dire les effets négatifs du comportement de quelqu'un sur autrui et ici le fœtus.

Pour nous, en tant qu'économistes, une des bonnes justifications de cette intervention c'est que l'enfant n'est pas responsable du tabagisme de sa mère et qu'il en subit

les conséquences. Et donc le tabagisme de la mère est source d'inégalités de chances en santé pour l'enfant. Ce qui justifie l'intervention visant à limiter le tabagisme des femmes enceintes même si on veut respecter le tabagisme des femmes en général.

Toujours en tant qu'économistes, nous partons du principe que les individus font des choix sur la base d'un arbitrage coûts/bénéfices. Cela veut dire qu'une femme arrête de fumer si la différence entre le bénéfice de fumer et le coût de fumer est inférieur à la différence entre le bénéfice d'arrêter de fumer et le coût d'arrêter de fumer. Cet arbitrage porte à la fois sur des coûts et des bénéfices de différentes natures : il y a des bénéfices qui s'analysent en termes de santé, d'autres en termes de satisfaction d'un besoin, de gestion du stress ; il y a des coûts qui sont monétaires, liés à l'achat de cigarettes, ou non monétaires, comme le stress lié au fait d'arrêter de fumer.

Sur cette base, il est possible pour l'économiste de mettre en place des interventions incitatives, c'est-à-dire qui visent à modifier l'arbitrage entre coûts et bénéfices. Par exemple, on peut mettre en place une taxation du tabac qui, pour un même bénéfice à continuer de fumer, vise à augmenter le coût du tabagisme. Cela n'est pas très différent d'augmenter le bénéfice d'arrêter de fumer en donnant une récompense financière. La taxation du tabac est une intervention très largement acceptée, avec l'idée qu'on taxe un comportement jugé moralement moins souhaitable ou polluant. Mais les récompenses financières ne sont pas acceptées alors que, du point de vue de la science économique, c'est juste l'autre face de la médaille qui nous permet de sanctionner un comportement non vertueux. La récompense n'est pas perçue comme une incitation, mais plutôt comme un moyen d'encourager un comportement vertueux. Je pense que cette idée nous rapproche de la philosophie de la responsabilité, c'est-à-dire qu'on a envie de rendre les gens

responsables financièrement d'adopter un comportement non souhaitable et le corolaire, c'est qu'on pourrait les financer pour des comportements souhaitables. C'est deux interventions font tout à fait appel à un même sens de la responsabilité.

On a fait une analyse de l'acceptabilité en population générale des incitations financières pour l'arrêt du tabac chez la femme enceinte fumeuse. En France, 55 % des gens interrogés trouvent acceptables de mettre en place des incitations financières. Quand on demande, en Grèce, si les personnes doivent avoir accès à des soins financés par l'État si leur conduite nuit à leur santé, 57 % des gens ne sont pas d'accord. Dans le cas du tabac, l'idée de la responsabilité est majoritairement acceptée.

L'approche standard en économie considère que « l'argent n'est pas sale » ; dès lors, la perspective d'un gain monétaire à court terme peut être plus efficace pour conduire la personne à modifier un comportement que la perspective d'un gain de santé pour son enfant futur, car il peut y avoir une perception biaisée du gain incertain en termes de santé pour son enfant. Pour autant, d'un point de vue économique, on ne suppose pas que cette femme n'est pas altruiste. On peut néanmoins s'interroger sur l'éviction des motivations intrinsèques (c'est-à-dire améliorer la santé future de mon enfant) par l'introduction d'un gain à court terme, à l'aide d'une récompense.

Globalement, les incitations financières sont largement utilisées en économie expérimentale pour révéler les préférences en matière d'aversion au risque par exemple, pour motiver les choix dans le cadre de jeux stratégiques et pour récompenser les sujets pour leur participation. C'est un instrument, pour nous, qui nous évite de faire des choix hypothétiques mais qui donne du concret aux décisions prises par les gens, en les plaçant dans des situations réelles d'arbitrage. ■

QUELLES ALTERNATIVES AUX QALYS ? QUELS ARGUMENTS NORMATIFS ?

Philippe Tessier

MCF en économie de la santé, Université et CHU de Nantes

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :
www.ces-asso.org/sites/default/les/matinee_ces_21_juin_2018_tessier.pdf

Les QALYS sont l'un des indicateurs les plus fréquemment utilisés dans les évaluations médico-économiques. Néanmoins, les économistes étudient des pistes alternatives depuis quelques décennies.

Au point départ de cette réflexion, il y a un constat qu'on peut faire facilement, celui de la prédominance des QALYS dans les évaluations médico-économiques. Si on veut l'observer simplement, il suffit de lire les recommandations nationales publiées par les différents pays et qui, pour la plupart, mettent en avant l'utilisation de ce que l'on appelle l'analyse coût-utilité, c'est-à-dire des évaluations économiques dans lesquelles ce sont les QALYS qui vont jouer le rôle d'indicateur de résultats. Cela soulève la question des raisons qui font que l'on donne de l'importance à cette façon de concevoir les résultats de santé et quelles sont les alternatives envisagées.

Le principe philosophique des QALYS, c'est la valorisation de mesures de type « *Patient-Reported Outcome Measures* » (PROMs) par les préférences de la population. Les QALYS ne sont pas une mesure de la santé mais une évaluation de la santé. La mesure peut être faite à l'aide d'un questionnaire, générique ou spécifique à une maladie ou une population, qui permet la caractérisation d'un état de santé. A partir du moment où on veut établir des priorités dans les possibilités d'utilisation des ressources dédiées à la santé, on va se demander comment déterminer une valeur relative pour chaque état de santé (décrit à l'aide d'un questionnaire) par rapport à un état de référence. Autrement dit : Quel étalon de valeur va-t-on retenir pour décider qu'un état de santé est meilleur qu'un autre ? Dans le cadre des QALYS, le principe suivi consiste à demander à des personnes représentatives de la population générale de se projeter dans des scénarios hypothétiques mettant en jeu leur santé pour en déduire la valeur relative des états de santé. La question que je me suis posée au départ de ma réflexion est : Qu'est-ce qui justifie cette pratique ?

Un papier récent fait le point sur cette question et on peut en tirer deux constats. Tout d'abord, la justification de cette pratique s'appuie sur des arguments qui sont variés et, pour certains, incompatibles entre eux. Ensuite, dans la plupart des travaux qui cherchent à justifier cette pratique, la question posée porte sur les raisons du choix des préférences de la population générale et non pas sur les raisons du choix des préférences comme source de la valeur.

Il y a un peu plus d'une dizaine d'années, j'ai commencé à m'intéresser à la question : Qu'est-ce qui fait qu'on met en avant les préférences des personnes pour juger la valeur de la santé ? On trouve une justification possible dans plusieurs papiers qui expliquent que le principe moral qu'on met en avant ici c'est celui du respect de l'autonomie. Le respect de leur autonomie implique de suivre les préférences des personnes. Or, dans ce cadre-là, il peut y avoir un paradoxe à savoir que, si on suit ce principe, il arrive parfois que l'on nie les conséquences de la perte d'autonomie au nom du respect de l'autonomie. Jon Elster expliquait, en se référant à une fable de la Fontaine (Le Renard et les Raisins), ce qui se passe lorsque les préférences sont formées par une adaptation aux contraintes rencontrées (comme par exemple suite à un problème de santé) : les préférences résultent alors d'une perte d'autonomie à laquelle les personnes s'adaptent en réduisant leurs aspirations et leurs ambitions. Quand on met en avant l'importance normative ou morale du respect de l'autonomie, on fait référence à des personnes informées. Or on se rend compte, quand on interroge les personnes de la population générale quant à leurs préférences sur des états de santé hypothétiques qu'elles ignorent la plupart du temps la capacité que vont avoir les patients à s'adapter à certaines situations. Par conséquent, la conclusion qu'en tirent certains auteurs, c'est qu'en interrogeant ces personnes on mesure des préférences de qui ne sont pas informées. Ceci serait de nature à saper le fondement même de l'approche.

On pourrait se dire que la difficulté peut être facilement surmontée : il suffit d'interroger les patients. Or les préférences des patients peuvent elles aussi être biaisées. En effet, lorsqu'on vous interroge sur vos préférences, on vous demande de vous projeter dans un état de santé hypothétique, c'est-à-dire qu'est-ce que vous préférez partant de votre situation actuelle. Quand une personne est interrogée de cette manière-là, elle peut être soumise à une illusion de focus, c'est-à-dire qu'elle peut se dire que rien n'est jamais aussi important qu'à partir du moment où on lui demande à quel point c'est important. La possibilité d'un tel biais conduit à douter que l'on puisse interroger directement les personnes sur leurs préférences réelles (par opposition à celles potentiellement induites par les questions qui leurs sont posées).

Comment les auteurs proposent-ils de procéder dans ce cadre ? L'une des pistes envisagées est d'interroger les personnes non pas sur leurs préférences mais sur leur expérience vécue et leur bien-être subjectif. Cela fait

référence à des questions concernant leur satisfaction liée à la vie et leurs affects positifs et négatifs : Est-ce que présentement vous êtes heureux ? Inquiet ? Stressé ? Plutôt enthousiaste ? L'idée est que, lorsqu'on pose ces questions à des personnes, on obtient une évaluation globale de leur situation présente et de ce qui est important à leurs yeux. Ainsi, contrairement aux préférences pour lesquelles on demande de se projeter dans une situation hypothétique, on obtiendrait ici un jugement des personnes concernées sur une situation qu'elles vivent réellement. Autrement dit, il s'agit ici d'interroger non plus la population générale mais directement les patients pour déterminer la valeur (relative) des états de santé.

Cette approche est mise en avant pour deux raisons normatives au moins. Un premier argument a été développé par Dolan et Kahneman qui considèrent qu'en matière d'allocation des ressources, il faudrait donner la priorité aux situations auxquelles on n'arrive pas à s'adapter. L'idée est que les situations auxquelles on n'arrive pas à s'adapter sont probablement les plus difficiles à gérer et à supporter. Un deuxième argument a été mis en avant par l'économiste Richard Layard. Selon lui, le bonheur est le seul aspect de la vie qui est recherché pour lui-même, ce qui lui donne une valeur morale supérieure à tout autre aspect. Le problème est que, dans ce cas, on pourrait lui demander mais de quoi parle-t-il ? Parce que dans les mesures du bien-être subjectif, il y a des choses différentes : la satisfaction face à la vie et les affects notamment. Or on se rend compte, dans les travaux empiriques, que les deux ne correspondent pas et semblent représenter des notions proches mais néanmoins distinctes.

Je me suis aussi intéressé à un autre aspect, à la fois empirique et normatif, sur cette question, à savoir que, contrairement aux mesures des préférences, lorsque l'on s'intéresse au bien-être vécu et à l'expérience des personnes, on obtient des données temporelles et on peut ainsi étudier comment l'expérience de la maladie modifie la perception des personnes, leur perception de ce qui est important dans la vie.

Il y a un courant de pensée qui postule qu'il ne faut plus évaluer la santé par les préférences mais par une analyse du vécu et du bien-être subjectifs. Cependant, si les problèmes de santé nous amènent à changer nos priorités dans la vie, ces priorités ne concernent pas uniquement la santé elle-même, mais plus largement le travail, les loisirs, la vie de famille, etc. Ceci conduit à un second questionnement : doit-on valoriser les mesures du type PROMs par le bien-être subjectif des personnes ou bien faut-il remplacer les mesures PROMs (centrées sur la santé) par des mesures du bien-être subjectif (allant au-delà des seuls aspects relatifs à la santé) ? En d'autres termes, se focaliser seulement sur la santé pourrait être réducteur pour évaluer les conséquences de la prise en charge des problèmes de santé.

Dans ce domaine, un dernier courant de recherche et de pensée s'appuie sur les travaux de l'économiste Amartya

Sen qui a une vision plus radicale du rejet des mesures des préférences. Il rejette l'utilisation des appréciations subjectives, qu'il s'agisse de mesures des préférences ou du bien-être subjectif, pour décider de l'allocation des ressources. Pour lui, le problème vient de ce que l'adaptation – à des problèmes de santé par exemple – distord les appréciations subjectives. Alternativement, il met en avant l'importance de l'autonomie de choix. Selon lui, il faudrait valoriser, donner une vraie valeur, à l'autonomie de choix. Pour cela, il propose d'évaluer l'outcome d'intérêt, en particulier en santé, à travers la liberté réelle que les personnes ont de choisir ce qu'elles peuvent être et ce qu'elles peuvent faire dans la vie (que Sen nomme les « capacités »). Pour résumer, il s'agit là d'une approche paternaliste, puisqu'elle rejette les préférences, qui donne une valeur intrinsèque à l'autonomie de choix, à la possibilité de choisir.

En santé, un véritable courant de recherche, principalement anglo-saxon, se développe en suivant cette approche initiée par Sen. Mais il est confronté à une difficulté évidente : même si l'approche nous paraît intéressante, elle est difficile à opérationnaliser. Il est extrêmement compliqué d'observer la liberté réelle des personnes. Par conséquent, les auteurs ont un peu biaisé l'approche et l'ont en quelque sorte « subjectivée ». Ils promeuvent, ainsi, une démarche qui rejette les évaluations subjectives, mais ils opérationnalisent cette démarche à l'aide de mesures subjectives, par le développement d'indicateurs de capacités perçues. Au lieu de demander à une personne « Est-ce que vous marchez ? Est-ce que vous faites du sport ? Est-ce que vous avez des relations amicales ? », on formule la question en termes de possibilités « Est-ce que vous êtes capables de marcher, de faire du sport, d'avoir des relations amicales ? ». En procédant ainsi, on pourrait saisir la liberté réelle et l'autonomie de choix perçues des personnes.

Cela soulève a minima plusieurs problèmes. Notamment, puisqu'on s'intéresse à des capacités perçues, cette perception n'est-elle pas tout aussi sensible au phénomène d'adaptation que l'est le bien-être subjectif ? Avec un collègue nous nous sommes intéressés à une autre question associée : si on mesure la liberté réelle telle que les personnes la perçoivent, n'y aurait-il pas une partie de cette liberté qui serait déjà prise en compte dans les mesures du bien-être subjectif ? Autrement dit, le fait que je sois satisfait de ma vie dépend bien sûr de la situation que j'arrive à atteindre mais probablement aussi de ce que je pense être capable de faire ou pas. Donc, finalement, opérationnaliser ce concept de capacité de manière subjective, ne le rendrait-il pas (au moins partiellement) redondant avec les mesures du bien-être subjectif ? C'est une question que nous commençons seulement à creuser. Je ne mentionne pas ces différentes réflexions pour arriver à une solution mais plutôt pour arriver à des questionnements. Je vais cependant conclure en posant deux constats et terminer par une question.

En premier lieu, quand on fait le tour, on se rend compte que les justifications normatives de la pratique standardi-

sée de construction des QALYs sont extrêmement fragiles. Elles sont diverses et pas forcément compatibles entre elles. Mais, et en second lieu, cela ne veut pas dire pour autant que les approches alternatives sont plus solides et en particulier le débat sur le sujet associe de manière assez peu identifiable des considérations qui sont pure-

ment normatives et des considérations empiriques ou d'opérationnalisation. Je me permettrai donc de terminer par une question : ne faudrait-il pas, dans une tentative d'éclaircissement de ce débat, se contraindre à la règle de Hume, cette règle qui dit qu'on ne peut pas déduire des jugements de valeur de l'observation des faits ? ■

ANALYSE PHILOSOPHIQUE

Céline Lefève

MCF en philosophie de la médecine, Université Paris-Diderot

J'ai quelques remarques qui peuvent donner lieu à des questions et à des points de critiques. Ce qui m'a beaucoup intéressée dans ce qui a été dit aujourd'hui, notamment dans les deux premières interventions, concerne la manière dont l'économiste pense les soins, l'efficacité des soins, les résultats des soins de santé en fonction du sujet qui en est le bénéficiaire. Et de fait, vous faites effectivement droit à la notion de valeur à partir de laquelle le philosophe Georges Canguilhem, par exemple, pense la santé et la maladie. Vos analyses me semblent en effet bien rendre compte du fait que la santé est bien la capacité d'instituer des valeurs - cette capacité étant fondée sur le fait que le vivant et, en particulier le sujet humain évalue, apprécie ou dévalorise, valorise ou répugne, repousse ou au contraire est appétant à certains liens à son milieu. Dès lors, ce qui définit la santé et la maladie, c'est d'abord cette expérience vécue, ressentie et appréciée, à savoir valorisée ou dévalorisée.

Très important également est le caractère central que vous avez donné tous les trois à ce qui importe à la personne, au patient. Ce qui enclenche des débats entre des approches polémiques ou critiques à l'intérieur même du champ économique, ou du moins à l'intérieur de ce que le philosophe peut percevoir du champ de l'économie.

C'est notamment ce que Philippe Tessier met en avant avec la notion de préférence ; j'ai beaucoup apprécié la discussion sur le fait que l'accent sur ce qui importe pour des sujets bien portants n'est pas ce qui importe pour des sujets malades. Et ce qui va importer pour des sujets malades va être extrêmement variable en fonction des moments de leur maladie, des situations et des contextes de vie des personnes. Il est en effet important de porter attention non pas à des préférences ou des valeurs morales qui seraient déterminées une fois pour toutes pour tel ou tel acteur économique, en l'occurrence telle

ou telle personne malade, mais sur leur évolutivité en fonction de l'évolution de la maladie et en fonction de sa situation propre et du contexte. C'est un point de vue critique sur la notion même de préférence.

Le fait de penser l'action de soins et les résultats de santé en fonction de situations non-adaptatives a retenu toute mon attention. Penser à ces situations non-adaptatives permet de réintroduire la dimension de l'imprévisible qui caractérise bien souvent la maladie, ainsi que la part de la créativité de la personne malade face à cette absence d'adaptation. Sont également imprévisibles les préférences d'une personne en situation de non-adaptation, les manières de voir l'existence, de se réapproprier l'existence, de se réapproprier ses valeurs en fonction de cette non-adaptation. Ainsi, on s'intéresse à ce que le patient ressent et vit. Du point de vue épistémologique, ce qui m'intéresse, c'est que ceci montre la centralité du pathologique, la primauté et la centralité de l'expérience pathologique pour définir ce bien-être subjectif.

Enfin, ce qui me semble logique c'est l'accent mis sur ce qui est ressenti comme possible dans l'évaluation du bien-être subjectif et pas simplement sur ce qui est effectif. Ainsi la question à poser à la personne n'est pas seulement : « Est-ce que vous faites bien telle ou telle chose ? », mais : « Que pensez-vous pouvoir faire ? Est-ce que vous pensez que vous pourriez faire telle ou telle chose ? » De fait, la santé est une puissance d'action, qui met l'accent sur le possible, sur ce qu'on est capable de faire, la manière dont on se sent capable d'imprimer ses valeurs et ses actions sur le monde. Et, de manière plus simple, c'est vraiment le fait de poser des questions en termes de possibilité, de ressenti sur ce qu'on peut faire, et non seulement une somme de choses qu'on peut faire, c'est aussi une capacité d'ouvrir l'avenir et de se projeter vers l'avenir. ■

PAROLES D'INTRODUCTION DE LA DEUXIÈME TABLE RONDE

Clémence Thébaut

MCF à l'Université de Limoges, OMIJ

La deuxième table ronde porte sur le sujet suivant : évaluation économique et critères de priorisation dans l'allocation des ressources en santé. En préambule, je vous propose de faire un bref rappel du contexte dans lequel ces discussions ont lieu.

Les discussions sur les critères de priorité en matière d'allocation des ressources en santé sont nombreuses au niveau international. Certains pays comme la Grande-Bretagne, les Pays-Bas, ou encore l'Australie, ont précisé qu'il pouvait être justifié de recommander le remboursement de traitements dont le ratio différentiel coût/résultat était particulièrement élevé, notamment lorsque l'état de santé était très sévère ou dans des situations de fin de vie. D'autres pays, comme l'Allemagne, la Belgique, ont jusqu'à présent préféré laisser les comités d'évaluation des technologies de santé apprécier ces situations, au cas par cas, de façon délibérative. En France, l'IGAS (2012) et la HAS (2014) ont, tour à tour, souligné l'importance qu'il y avait à soumettre ces sujets au débat public. L'explicitation des priorités serait utile pour guider le processus de fixation de prix et de remboursement. Enfin, la définition de priorités peut servir à orienter la programmation et le financement de la recherche en santé. Il y a toute une réflexion en France et au niveau international, par exemple à l'OMS, sur les critères de priorisation de la recherche en santé car celle-ci pose également des questions de justice.

L'objectif de la table ronde c'est de souligner, à nouveau, l'intérêt qu'il y a à ouvrir ce débat et montrer qu'il existe un grand nombre de travaux en sciences humaines et sociales qui peuvent être utilisés pour nourrir les discussions. Nous disposons tout d'abord des travaux sur les préférences individuelles en économie du bien-être qui peuvent servir à comprendre les arbitrages que les individus font pour eux-mêmes, c'est ce que Daniel Herrera va nous présenter. Nous disposons également d'un ensemble de travaux en philosophie et économie normative sur les théories de la justice sociale qui permettent d'identifier des grandes familles de solutions pour répondre aux questions que nous évoquons (l'approche utilitariste, l'approche par les capacités de Sen, ainsi qu'un ensemble d'autres approches dites libéral-égalitaristes). Nous disposons de travaux sur l'application concrète des principes de justice délibérative qui découlent par exemple des réflexions de John Rawls (Cf. Norman Daniel, *Just Health*, 2007). Enfin, nous disposons de méthodes empiriques pour identifier les valeurs sociales auxquelles adhèrent la population, comme le travail passionnant que Christian Léonard, Directeur général du KCE, va nous présenter. Christian Saout, actuellement Président de la CEESP et membre du Collège de la HAS, interviendra à l'issue de ces deux premières interventions. ■

LES PRÉFÉRENCE INDIVIDUELLES EN ÉCONOMIE DU BIEN-ÊTRE

Daniel Herrera

Post-doctorant de la Chaire Hospinnomics (AP-HP – PSE)

Lorsqu'on évalue une politique de santé visant soit à accroître la longévité, soit à améliorer la qualité de vie, ou les deux, on peut distinguer deux types d'impacts. Un impact dit intra-personnel, lorsqu'un individu peut bénéficier d'une dimension de la politique, mais subir les effets négatifs d'une autre dimension. Un exemple d'une politique de ce type est l'introduction d'un système de transport en vélo dans une ville. Les bénéfices en santé pour une personne viennent grâce à l'exercice additionnel, mais l'exposition au risque d'accident est lui aussi accru. L'autre type d'impact est interpersonnel, lorsqu'un individu peut bénéficier d'une dimension de

la politique, tandis qu'un autre peut en subir les effets négatifs. Un exemple d'une politique avec des impacts intra-personnels est la désincitation à la consommation de poissons pour les mères enceintes. Pourquoi veut-on désinciter une femme enceinte à manger du poisson ? La raison est la présence du méthyl mercure qui peut avoir des effets négatifs sur le développement cognitif de l'enfant. Néanmoins, la consommation de ce même aliment peut avoir des effets positifs parce qu'il possède des acides gras pouvant améliorer la santé cardio-vasculaire de la mère.

Comment arbitrer entre les effets positifs et négatifs des différentes politiques, tant intra-personnel comme inter-personnel ? Idéalement, on veut avoir une mesure qui soit cohérente, d'un côté intégrant les préférences individuelles et, d'un autre côté, avec une idée de préférences sociales. Il y a plusieurs unités de mesures, mais aujourd'hui je vais me référer au QALY — *quality adjusted life year* —. D'un point de vue économique, c'est rationaliser la mesure du QALY dans un contexte d'utilité. En fait, on peut le justifier comme une modélisation d'utilité sous des contraintes particulières.

Dans sa grande majorité, le QALY est utilisé dans des analyses coût-utilité. Néanmoins, un problème des QALYs est son unité de mesure : ce n'est pas une mesure monétaire. Ceci pose des problèmes de comparabilité lorsqu'on veut comparer des gains en QALY d'une nouvelle technologie avec les coûts de cette nouvelle technologie, qui utilise une mesure monétaire. La solution adoptée par la littérature pour interpréter un ratio coût/QALY est l'utilisation d'un seuil λ , pour lequel la technologie est considérée comme sous-efficace si QALY/coût est inférieur à ce seuil λ . La littérature nous indique qu'il y a au moins quatre moyens de trouver ce seuil.

Les quatre techniques sont : (1) la construction de "*leagues tables*" ; (2) la notion de déplacement aux autres technologies lors de l'introduction d'une nouvelle technologie ; (3) les décisions d'introduction de technologies passées ; (4) enfin, l'estimation de la valeur à payer pour la technologie.

La méthode de "*leagues tables*" implique posséder une ample connaissance de toutes les technologies disponibles, leur efficacité, c'est-à-dire de connaître leur ratio coût/QALY, d'être en mesure de les ordonner en ordre décroissant (du plus efficace au moins efficace) et d'accepter toutes les technologies jusqu'au point où le budget permet de le faire. Le ratio coût/QALY de la dernière technologie acceptée d'être financée représente le seuil. En pratique, l'opérabilité de cette technique est très limitée.

Le déplacement de services lors de l'introduction d'une nouvelle technologie est une autre alternative pour estimer la valeur seuil. Cette technique consiste à estimer une fonction production en termes de santé et à investiguer l'effet d'un choc (e.g., introduction d'une nouvelle technologie) sur « la production » de santé.

Des préférences individuelles peuvent être mobilisées pour estimer le seuil. La littérature économique mobilise deux techniques différentes. La première est une méthode directe dans laquelle on demande aux gens, dans une situation hypothétique, combien sont-ils prêts à payer pour améliorer leur condition. La deuxième méthode utilise la littérature de l'économie de l'environnement. Cette littérature utilise la notion de la valeur de la vie statistique. Évidemment, il ne s'agit pas d'une valeur de la vie intrinsèque. Ce qu'un économiste entend

avec la valeur statistique de la vie c'est l'idée d'un arbitrage assez commun. À chaque décision prise on associe un risque de mortalité. Par exemple, lorsqu'on prend la décision de faire notre trajet en vélo, on le fait (peut-être) pour gagner du temps, mais cette décision entraîne aussi le risque plus grand de mourir dans un accident. Il y a toujours un petit arbitrage à faire.

Supposons que la différence entre le risque de mourir en vélo contre le risque de mourir en voiture est de 1/1 000. Si 1 000 personnes décident de prendre le vélo au lieu de la voiture alors on aura 1 mort statistique. C'est-à-dire que chacune de ces 1 000 personnes a considéré que le temps épargné en vaut le risque. En agrégeant les coûts d'opportunité à travers les utilisateurs de la voiture ou du vélo, on retrouve le concept d'arbitrage entre une réduction du risque de mortalité et le coût d'opportunité. C'est cela que les économistes appellent « la valeur de la vie statistique » (ou VVS). Elle consiste en une agrégation de la volonté à payer pour diminuer un micro risque sur un ensemble de personnes.

La méthode des "*leagues tables*" et la méthode d'estimation d'une fonction de production peuvent être catégorisées comme des méthodes fléchées « offre ». L'esprit des deux méthodes étant de chercher à trouver des valeurs avec des décisions qui ont été déjà prises. Par contre, la méthode d'élicitation de préférence directe ou celle du VSL sont catégorisées du côté de la demande. La valeur du seuil est fondée sur les préférences individuelles et non sur les décisions prises à l'égard des technologies passées.

A priori, les valeurs produites par les approches de type "offre" peuvent diverger de celles produites par les types « demande ». Et, en fait, c'est la norme. Au jour d'aujourd'hui, la valeur du seuil lorsqu'on utilise les approches de type « offre » est plus petite que la valeur obtenue lorsqu'on utilise les approches de type « demande ». Plusieurs interprétations se prêtent pour expliquer cette divergence. Une interprétation consiste à dire que le budget alloué à la santé n'est pas suffisant pour satisfaire la volonté des membres de la société en matière de santé.

Qu'elle est donc la volonté de payer pour un QALY ? Du côté « offre », l'hypothèse faite est que la valeur du seuil est constante. Par contre, les analyses du côté « demande » trouvent qu'il n'y a pas qu'une seule valeur. En fait, les résultats suggèrent que la volonté à payer pour un QALY est décroissante. Ceci implique qu'une personne avec une meilleure qualité de vie est prête à payer moins qu'une personne dont la qualité de vie est inférieure. Mais, comment estimer la valeur d'un QALY ? Comme je l'ai dit préalablement, il y a au moins deux techniques qu'un économiste peut déployer. La première consiste à demander directement la volonté à payer pour un QALY dans une situation hypothétique. La deuxième consiste à diviser la valeur de la vie statistique par le nombre de QALYs. Ces deux techniques ne sont pas équivalentes. En fait, la méthode utilisant la valeur de la vie statistique

produit toujours des valeurs plus élevées que la méthode d'élicitation directe.

Dans les deux cas, l'hétérogénéité dans les préférences est reflétée sur la variation dans les valeurs attribuées à un QALY. Quel est l'impact d'attribuer une unique valeur à des individus avec des préférences et des situations différentes ? Pour l'individu, attribuer une valeur unique risque de sous-estimer ou surestimer sa volonté à payer. Pour la société, l'attribution d'une seule valeur (par exemple la volonté à payer d'un individu représentatif) peut conduire à une sur-acceptation de financement de

technologies. Les effets sur ces deux dimensions dérivent de la concavité de la fonction de volonté à payer pour un QALY.

Pour conclure, je pense que l'utilisation des outils que les économistes peuvent apporter dans l'analyse coût-efficacité ou l'analyse coût-bénéfice ne restent que des outils. Il y a d'autres raisons pour lesquelles on peut avoir une volonté de prioriser. Il faut tenir compte que c'est juste une des dimensions que les décideurs prennent en compte. ■

EVALUATION ÉCONOMIQUE ET CRITÈRES DE PRIORISATION DANS L'ALLOCATION DES RESSOURCES EN SANTÉ

Christian Léonard

Directeur général du Centre fédéral d'expertise des soins de santé KCE, Belgique

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :
www.ces-asso.org/sites/default/les/paris_-_21062018_-_priorites_en_sante_leonard_0.pdf

Le KCE, à l'instar des autres agences qui sont chargées de missions similaires, formule des recommandations politiques sur la base d'études scientifiques. Il est ainsi amené à établir des rapports coûts-utilité pour de nouvelles technologies médicamenteuses ou de nouveaux médicaments. Au sens strict, le KCE ne peut se prononcer sur l'efficacité de ces technologies car la Belgique a fait le choix de ne pas se doter d'un seuil d'ICER. Nous savons que les analyses de type HTA dépassent le seul cadre des ratios euros par QALY en considérant notamment les aspects juridiques organisationnels ou éthiques des technologies analysées. Toutefois, le caractère utilitariste de ces analyses amène à réfléchir sur des alternatives ou du moins des compléments d'analyse qui prendraient des allures moins technocratiques. C'est ainsi que le KCE a décidé, dès le début des années 2000, de s'intéresser aux différentes manières d'impliquer les *stakeholders* et, parmi ces derniers, à l'input que pourrait fournir les patients ou citoyens. En conséquence, un premier rapport a été rédigé à propos de l'acceptabilité et la faisabilité de l'implication des citoyens-patients dans l'établissement des priorités et choix en soins de santé. Les décideurs ont alors manifesté, non seulement un intérêt, mais surtout leur accord à l'égard de cette question qui leur était posée « acceptez-vous d'impliquer les citoyens-patients dans le processus décisionnel de l'assurance-maladie ? » Réponse à la fois étonnante, car elle remettait en question leur « monopole » et enthousiasmante car elle ouvrait de nouvelles perspectives de recherche pour les experts du KCE. La démarche était donc épistémologique car il s'agissait d'établir de nouvelles méthodes de connaissance mais aussi éthique car la connaissance changeait

de nature. Nous pouvions dépasser l'expertise du « sachant » et étendre nos connaissances vers l'expert du vécu, l'expert du « vivant », vers celle et celui qui finance, qui souffre, qui guérit ou du moins aspire à la guérison.

A l'issue d'une analyse fouillée de la littérature, quelques critères susceptibles de fonder les priorités et choix en soins de santé ont été proposés à un échantillon de la population belge. Ainsi, 20 000 questionnaires ont été envoyés afin de proposer des scénarios permettant de dégager l'importance relative de cinq critères de choix : la qualité de vie, l'espérance de vie, l'inconfort lié à un traitement, la prévalence de la pathologie traitée et le coût de ce traitement par patient. Ce sont 24 questionnaires différents qui ont été élaborés afin d'assurer une combinaison optimale de ces scénarios dont la teneur des réactions des personnes consultées ne pouvait alors être le fruit du hasard. L'échantillon des répondants, plus de 24 %, s'est avéré représentatif en termes d'âge, de sexe et de langue pratiquée.

Grâce aux informations personnelles demandées, nous avons pu constater que les réponses des personnes bien portantes ne différaient pas significativement des personnes malades. Les scénarios proposés visaient à déterminer le poids relatifs des critères au regard de trois domaines distincts : la nécessité thérapeutique d'un traitement (l'inconfort, la qualité de vie et l'espérance de vie associés au traitement existant), la nécessité sociale d'un traitement (la prévalence de la pathologie traitée et le coût de son traitement par patient) et la valeur ajoutée d'un nouveau traitement (l'impact du nouveau trai-

tement par rapport au traitement existant sur l'inconfort associé au traitement, la qualité de vie, l'espérance de vie, la prévalence et sur le niveau de dépenses publiques par personne traitée). A chacun des critères utilisés étaient associés plusieurs niveaux, par exemple pour la qualité de vie les scénarios envisageait des niveaux de 2/10, 5/10 ou 8/10. Les personnes devaient donc s'exprimer à l'égard de choix entre deux groupes de patients, deux pathologies et deux traitements caractérisés par des niveaux différents des critères utilisés. Une analyse de type multicritères a ensuite permis de calculer les pondérations recherchées.

A titre illustratif, un scénario relatif au besoin thérapeutique pouvait prendre la forme suivante : les patients du groupe 1 ont une qualité de vie de 2/10, leur traitement est très contraignant, ils ont entre 18 et 64 ans mais ils ne mourront plus de la maladie et les patients du groupe 2 présentaient des caractéristiques différentes, suffisamment mais pas trop pour que la réponse ne soit pas « évidente ». Les répondants devaient alors s'exprimer sur le groupe de patients pour lequel il leur semblait le plus important de développer un traitement. L'enquête a été réalisée en parallèle auprès des décideurs.

Quelques résultats de cette enquête peuvent être mentionnés. Concernant la dimension « besoin thérapeutique » par exemple, on note que ce qui compte le plus pour les citoyens-patients répondants, c'est la qualité de vie et l'inconfort lié au traitement. Les décideurs accordent autant d'importance à la qualité de vie mais moins à l'inconfort associé au traitement. Assez étonnement, il est apparu que l'impact sur les dépenses publiques était jugé important pour les citoyens-patients répondants. Concernant la dimension « plus-value du traitement », les citoyens-patients et les décideurs accordent pareillement beaucoup d'importance à l'impact sur la qualité de vie.

Les résultats de cette enquête ont pu être mobilisés dans le cadre d'un travail sur les besoins médicaux non rencontrés, réalisé avec l'INAMI (Institut National d'Assurance Maladie-Invalidité), qui a donné lieu à la publication du rapport 272 du KCE en 2016. Il s'agissait d'établir un classement au sein d'une liste de besoins médicaux non rencontrés tels que la maladie d'Alzheimer ou certains cancers très rares. Une revue de littérature a tout d'abord permis d'établir les « niveaux » (des scores) qui caractérisait les critères des besoins thérapeutiques et sociétaux liés à chacun de ces besoins (pathologies). Ensuite, les pondérations obtenues grâce à l'enquête ont été utilisées afin de calculer des scores pondérés. Enfin, la somme de ces scores pondérés pour chacun des critères des deux types de besoins (thérapeutiques et sociétaux) a permis d'établir un classement par ordre d'importance décroissante. Ce projet pilote a démontré la faisabilité de l'analyse du KCE mais aussi son utilité pour aborder la question des choix d'une manière non utilitariste. Il ne s'agit toutefois pas de choisir l'une des deux méthodes mais d'utiliser l'une ou l'autre, voire les deux de manière complémentaire en fonction des questions posées. Il faudra à présent discuter les avantages et inconvénients respectifs de l'une et de l'autre, la versatilité de l'opinion publique doit certainement être prise en considération afin d'assurer toute la robustesse nécessaire à l'intégration des préférences sociétales dans les décisions relatives aux soins de santé.

Dans la même veine, le KCE se lance actuellement dans la réalisation de trois rapports : un "position paper" sur l'implication des citoyens-patients, ses fondements philosophiques, son utilité, les méthodes permettant de la réaliser de manière optimale. Un projet sur l'identification des besoins des patients et un troisième relatif à la littérature en santé, ses contours et sa répartition inégale au sein de la société. ■

REMARQUES SUR L'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE ET CRITÈRES DE PRIORISATION DANS L'ALLOCATION DES RESSOURCES EN SANTÉ

Christian Saout

Membre du Collège de la HAS, président de la CEESP

Les diapositives de cette présentation sont disponibles sur :

www.ces-asso.org/sites/default/les/cs-has-ces-juin-2018.pdf

Sur ce sujet, trois remarques me semblent devoir être produites.

La première sur le lien entre l'évaluation et les décisions publiques, lien qui n'est pas si nouveau si l'on veut bien se souvenir de l'article 15 de la Déclaration des Droits de l'Homme et du Citoyen, lequel stipule, dès 1789,

tout de même (!), que « la société a le droit de demander compte à tout agent public de son administration ». Formule aujourd'hui un peu désuète pour dire que l'action publique doit être évaluée pour qu'il en soit rendu compte. Ce qui fonde les contrôles parlementaires, des inspections et des cours, parfois dans une dimension juridictionnelle comme le montre l'arrêt initiateur de la

théorie du bilan appliqué par le Conseil d'Etat. Ce qui fonde aussi la jonction à tout projet de loi de l'étude d'impact des mesures qu'il contient. Autrement dit l'analyse économique des biens de santé a aujourd'hui tout le loisir d'être conduite très souvent dans le processus d'élaboration ou de censure d'une décision publique prise à leur propos.

C'est dans cette perspective qu'il convient de voir le calcul médico-économique appliqué aux biens de santé quand l'avis de la Commission économique et de santé publique de la HAS est réclamé dans une procédure préparatoire à une demande de fixation de prix devant le Comité économique des produits de santé.

La deuxième remarque est plutôt autour des limites à l'évaluation aujourd'hui.

D'abord, le périmètre de l'évaluation d'efficacité est restreint à quelques biens de santé car les textes posent des conditions de recevabilité des demandes d'évaluation d'efficacité. Autrement dit, le spectre de l'évaluation clinique est infiniment plus large que celui de l'évaluation médico-économique. Y échappent, par exemple, les biens de santé dont le chiffre d'affaire est inférieur à 20 millions d'euros.

Ensuite, l'obstacle conceptuel. Aujourd'hui il est réclamé que les parcours de soins soient évalués. Mais cela suppose que dispositions de modèles pour une telle évaluation là où aujourd'hui nous évaluons séparément actes, dispositifs et produits.

Enfin, il faut probablement faire bouger les lignes de l'évaluation médico-économique en silo au moment où les innovations plaident pour une évaluation globale, d'une part, et qu'il faut reprendre le nécessaire travail méthodologique vers l'évaluation multicritères et la redoutable question des effets bénéfiques de l'innovation sur l'or-

ganisation des soins, trop souvent allégués et rarement démontrés, d'autre part.

Troisième remarque, sur les enjeux démocratiques. Il s'agit de l'implication des citoyens, patients ou usagers, comme on voudra les appeler, dans l'évaluation médico-économique ou l'évaluation plus généralement. Nous faisons quelques progrès, comme la possibilité ouverte aux associations de formuler une contribution devant les trois commissions règlementées de la HAS dédiées à l'évaluation des produits de santé. Mais nous devons encore progresser sur ces questions. D'autant que la collecte maintenant immense des données de santé à l'aide de solutions digitales change la donne. Ajoutons, que la culture participative des pays anglo-saxon, qui permet l'inclusion de patients ou de citoyens dans l'évaluation, reste encore un modèle mobilisant pour nous français.

Il n'en reste pas moins une question encore totalement ouverte, celle de ce que l'on fait de ces apports citoyens : ont-ils vocation à entrer en compte dans l'évaluation en face d'une revue de littérature ou de données cliniques, et à quelles conditions méthodologiques ? Cela permettrait peut-être de donner une force au modèle de l'evidence-based-medicine en le complétant par une evidence-based-patient, tant nous avons peu fait pour faire vivre la dimension « préférence des patients » dans l'EBM telle qu'elle se déploie depuis près de 30 ans.

Nous ne sommes pas sans outils au plan international, dans la succession de la convention d'Arhus pour associer nos concitoyens à l'évaluation et au choix même économiques. C'est le cas des jurys-citoyens ou des débats publics par exemple. Mais nous avons, vraiment, du mal à faire ces efforts dans notre pays. ■

¹ Conseil d'Etat, Assemblée, 28 mai 1971, Ville Nouvelle-Est.

**Cette Matinée thématique du Collège
a été organisée en partenariat avec Hospinomics et le Laboratoire d'économie de Dauphine
le jeudi 21 juin 2018 à l'Université Paris-Dauphine, Salle Raymond Aron
(Place du Maréchal De Lattre de Tassigny, 75016 PARIS)
Elle a reçu le soutien de la Mutualité française.**

