

## LE MESSAGE DU PRÉSIDENT

Un travail de longue haleine est fini. J'en remercie tous les auteurs en votre nom, car sa rédaction est une œuvre collective, avec débats approfondis et pour certains encore ouverts. L'équipe du CES a été mise à rude épreuve dans ce chantier, et je ne peux que les féliciter d'avoir eu la patience d'organiser, de rédiger et de compléter les différents travaux réalisés en sous-groupes. Merci à eux également. On peut faire mieux et ce document sera sans nul doute critiqué. Tant mieux : cela veut dire que nous traitons là une matière vivante et que notre discipline continue de progresser. Mais pas trop quand même, car le travail de réactualisation est long et il faut laisser à tous le temps de l'appropriation d'un document riche. L'ironie tient sans doute au fait qu'au moment où le calcul économique appliqué aux actions de soins atteint une maturité certaine dans ses concepts et ses méthodes et que notre communauté les maîtrise bien, leur rôle dans la décision publique dans notre pays soit de plus en plus ambigu. Mais nous avons fait un pari : celui de contribuer à l'amélioration des travaux d'évaluation, à leur mise en conformité avec les normes internationales, de façon à rentrer dans un cercle vertueux, au sein duquel la bonne qualité chasse la mauvaise. En faisant ce choix, nous ne nous sommes pas contentés pour autant de plagier ou de paraphraser les textes de références, nous avons adopté me semble-t-il des positions originales. Nous avons également tenté de rendre compte avec honnêteté des débats scientifiques en cours, en laissant au lecteur le soin de se faire sa propre opinion. Enfin, ce document est complété par des annexes plus techniques qui permettront entre autre de standardiser le traitement des données de coût dans le contexte français. Enfin, ce guide vient compléter utilement l'investissement fait dans la base CODECS, et maintenant au sein du projet EURO NHEED, en explicitant les bases théoriques et méthodologiques sur lesquelles reposent les études publiées. Bonne lecture, et faites nous part de vos remarques...

**Gérard de POUVOURVILLE**  
Directeur de recherche CNRS  
CREGAS – Unité INSERM U537

## ÉDITORIAL : LES NOUVELLES RECOMMANDATIONS DU COLLÈGE POUR L'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE DES STRATÉGIES DE SANTÉ

Il y a six ans la Lettre du Collège, dans son numéro d'avril 1997, publiait sous double version française et anglaise, nos Recommandations de bonne pratique des études d'évaluation économique des stratégies médicales et thérapeutiques.

Résultat d'un travail commun d'experts de l'Industrie, de l'Administration et de la Recherche, ces Recommandations restituaient, comme chez nos voisins, l'état de l'art en la matière pour les années 1990.

D'ores et déjà, nous avons prévu la nécessité à terme d'une actualisation de ces orientations, à la lumière de l'expérience et des progrès méthodologiques attendus.

Entre temps, nos deux partenaires de l'époque s'étaient progressivement détournés, à part quelques pharmaco-économistes de certains laboratoires qui ont bien voulu participer à nos réflexions, de l'intérêt initialement marqué, pour ce type d'études.

De fait, seuls les économistes de la santé, au sein du CES, ont voulu améliorer et moderniser ces recommandations pour établir un nouveau consensus sur les méthodes et les perspectives des études médico-économiques. Et surtout, ils ont voulu affirmer les bases scientifiques de celles-ci.

C'est pourquoi les Recommandations, qu'on trouvera dans ce nouveau numéro de la Lettre du Collège, trouvent des justifications très explicites dans des textes qui les précèdent et qui sont réunis dans un Guide Méthodologique. Indispensable complément des "guidelines", cet ouvrage, augmenté d'annexes et de références bibliographiques, montre bien que le courant évaluatif en ce domaine reste très vivant et parvient peu à peu à imposer un format standard

d'études sur des bases plus exigeantes.

Pour ce qui concerne les seules recommandations reproduites ci-après, on pourra déjà mesurer le chemin parcouru en 6 ans.

Certes on trouvera dans les formulations nouvelles de certaines propositions, une version seulement plus explicite des anciennes, mais d'autres abordent des problèmes qui étaient alors insuffisamment explorés (transposition des données étrangères, coûts directs non médicaux, problèmes d'équité sous jacents... et de façon plus générale interprétation des résultats d'une étude pour constituer une aide à la décision).

Quant aux questions qui restent encore en débat depuis 1997 (pertes de production, actualisation des "bénéfices", expression des résultats en termes d'utilités et notamment les Qalys...), l'analyse des problèmes et des oppositions doctrinales qui les caractérisent, exprime notre neutralité scientifique et justifie la prudence de nos formulations.

Sur un certain nombre de points, les nouvelles Recommandations démontrent les avancées acquises, notamment sous leurs aspects techniques et méthodologiques (utilisation des modèles, analyses de sensibilité, traitement de l'incertitude...).

Mais plus fondamentalement, le texte présenté ici procède d'une réflexion approfondie sur les fondements théoriques, voire éthiques, des méthodes proposées pour éclairer les décisions publiques dans le domaine de la santé.

**Émile LÉVY**  
Professeur émérite  
Université Paris IX Dauphine

## Guide méthodologique pour l'évaluation économique des stratégies de santé

*Travail réalisé par les Membres du Collège des Économistes de la Santé  
Sous la coordination d'Émile Lévy et de Gérard de Pouvourville*

*Le résumé des Recommandations présenté ci-après est extrait du Guide méthodologique pour l'évaluation économique des stratégies de santé réalisé par les membres du Collège des Économistes de la Santé entre septembre 2001 et avril 2003. Ce guide est disponible en version papier (commande à effectuer auprès du collège) et en version électronique (téléchargeable gratuitement sur le site du Collège : <http://perso.wanadoo.fr/ces/>). Ce guide comprend une centaine de pages, organisé en 16 chapitres complétés par 8 annexes.*

### Contributeurs :

AUQUIER Pascal (Université Aix-Marseille)  
 AURAY Jean-Paul (CNRS – Université Lyon 1)  
 BERDEAUX Gilles (ALCON France)  
 BERESNIAK Ariel (ARES-SERONO Suisse)  
 BRUN-STRANG Catherine (Novartis France)  
 CARRERE Marie-Odile (GRESAC-Université Lyon 1)  
 CHARVET-PROTAT Suzanne (AFM)  
 CORCAUD Sylvaine (Servier)  
 COUDEVILLE Laurent (CRESGE – Lille)  
 d'ALCHE-GAUTIER Marie-José (CHU Caen)  
 de POUVOURVILLE Gérard (CREGAS-INSERM U537)  
 DERVAUX Benoît (CRESGE-LABORES, Lille)  
 DURU Gérard (CNRS – Université Lyon 1)  
 EECKHOUDT Louis (Université de Mons - Belgique)  
 FAGNANI Francis (CEMKA-EVAL)

GABRIEL Sylvie (Sanofi-Synthelabo Groupe)  
 GUIGNARD Eric (GlaxoSmithKline)  
 LAUNOIS Robert (Université Paris Nord)  
 LEBRUN Thérèse (CRESGE – Lille)  
 LELEU Hervé (CRESGE-LABORES, Lille)  
 LENNE Xavier (CRESGE – Lille)  
 LE PEN Claude (Université Paris Dauphine)  
 LÉVY Emile (Université Paris Dauphine)  
 LILLIU Hervé (CLP Santé)  
 MARISSAL Jean-Pierre (CRESGE – Lille)  
 MIDY Fabienne (CREDES)  
 SAILLY Jean-Claude (CRESGE-LABORES, Lille)  
 SELKE Bernard (CRESGE – Lille)

### Rapporteurs :

BOULENGER Stéphanie (CES)

ULMANN Philippe (CES – CNAM)

## Résumé des Recommandations

### I) POINT DE VUE DES ÉTUDES ET PERSPECTIVE

#### Recommandation n°1

Les études d'évaluation économique des actions de soins doivent adopter une perspective la plus large possible de façon à inclure toutes les conséquences pertinentes de chaque action évaluée. Le choix de l'espace d'observation doit être argumenté.

Compte tenu du fait que, dans de nombreux cas, les études économiques sont réalisées dans la perspective d'un seul agent (l'Assurance Maladie, l'hôpital, etc.), il est recommandé, dans la mesure du possible et lorsque cela est pertinent, que les impacts des stratégies thérapeutiques étudiées soient aussi explicitement étudiés pour les autres agents concernés (la médecine de ville pour les études hospitalières, les autres acteurs pour les études d'impact budgétaire sur l'Assurance Maladie, etc).

Enfin, la perspective de santé publique suppose que les effets des politiques de santé sur le plan épidémiologique, le long terme et en matière d'inégalité d'accès aux soins ou d'effets de redistribution soient explicités chaque fois que ces dimensions sont jugées pertinentes.

### II) PLACE DES ÉTUDES DANS L'ÉVOLUTION DES STRATÉGIES DE SANTÉ

#### Recommandation n°2

Des études économiques peuvent être réalisées à tout moment dans la vie d'une stratégie de santé. Les questions posées diffèrent en fonction du moment choisi, ainsi que des méthodes retenues, du degré d'incertitude sur les dimensions étudiées et des données disponibles. Il convient donc de préciser le stade de développement de la stratégie de santé au cours duquel l'étude est réalisée. Par ailleurs, les données requises pour une étude économique n'étant pas les mêmes que pour une étude clinique, il est souhaitable qu'un économiste soit associé le plus en amont possible à la conception des essais cliniques pour vérifier la pertinence éventuelle de recueillir, en même temps que les données cliniques, des données de coût et d'efficacité appropriées au cadre de l'analyse économique.

### III) CADRE FORMEL SOUS-JACENT

#### Recommandation n°3

Les études économiques sont à inscrire dans le cadre d'une analyse décisionnelle pouvant faire appel à des critères multiples et à des méthodologies empruntées à diverses disciplines. Différents cadres théoriques peuvent donc être utilisés, sous la responsabilité des auteurs, empruntant aux méthodes de l'optimisation, de l'aide à la décision multicritère et à l'économie du bien-être, c'est-à-dire dans les champs des sciences de la gestion et de la théorie économique.

Dans certains cas (étude coût-conséquences), les études se bornent à présenter les différents critères de choix, laissant les utilisateurs opérer leur propre pondération ou les agrégations de critères qu'ils jugeront pertinents.

### IV) ÉTUDES D'ENVIRONNEMENT

#### Recommandation n°4

Il est recommandé qu'une évaluation économique en santé comporte une partie descriptive préliminaire fournissant la synthèse des principaux éléments de connaissance (épidémiologie descriptive et modalités de prise en charge) de la pathologie concernée en termes de santé publique et de dépenses de santé. Cette partie peut être plus ou moins développée selon les besoins.

### V) POPULATION-CIBLE

#### Recommandation n°5

Il convient de préciser la population visée par l'évaluation effectuée. Dans le cas d'une étude économique associée à un essai clinique, cette population-cible est celle de l'essai. Si plusieurs études sont utilisées pour estimer l'efficacité, le choix d'une population-cible et des estimations de résultats doit être exposé clairement. Une évaluation économique par sous-groupe de la population-cible peut être pertinente, dans la mesure où une analyse statistique par sous-groupe le justifie.

### VI) CHOIX DU COMPAREUR ET MÉTHODES DE COMPARAISON

#### Recommandation n°6

Lorsque plusieurs stratégies (y compris stratégies non médicamenteuses et absence de traitement) existent dans la pratique, il convient d'en faire l'inventaire et, parmi celles-ci, de choisir (en argumentant) celles que l'on va prendre en compte. Les stratégies thérapeutiques de comparaison seront choisies parmi celles qui sont les plus fréquemment utilisées (y compris le non-traitement), ou celles, plus nouvelles, dont il est légitime de penser qu'elles deviendront rapidement des stratégies de référence.

#### Recommandation n°7

Lorsqu'on procède à une évaluation économique, c'est la confrontation directe entre deux stratégies qui pré-

sente la plus grande pertinence scientifique. Cependant, on peut être obligé d'effectuer une comparaison indirecte à partir de données publiées, ce qui est acceptable provisoirement en l'absence d'études originales permettant une confrontation directe.

### VII) TYPES D'ÉTUDES

#### Recommandation n°8

Chacune de ces méthodes d'analyse possède son champ d'application et ses limites propres. Le type d'étude choisi doit être clairement énoncé et justifié en fonction du problème posé et doit être précisé en tête de l'étude. Il est de surcroît souhaitable que l'auteur donne sa définition du type d'étude qu'il a retenu.

### VIII) HORIZON TEMPOREL ET VALIDITÉ SPATIALE

#### Recommandation n°9

L'horizon temporel de l'évaluation économique en santé doit être justifié en fonction de l'histoire naturelle de la maladie et de la disponibilité des données.

Il est recommandé que cet horizon temporel soit choisi de façon à ce que l'ensemble des conséquences, positives ou négatives, des traitements mis en œuvre et évalués, soit saisi dans l'analyse. Il est possible que, dans certains cas, et en particulier pour les effets à très long terme, une telle recommandation soit difficile à appliquer du fait notamment des incertitudes importantes ou des apports des innovations intercurrentes. Dans ces cas, il convient de signaler explicitement les raisons des choix effectués sur l'horizon temporel et de discuter les conséquences de la non-prise en compte des événements non évalués.

#### Recommandation n°10

Il n'est pas possible de transférer des données épidémiologiques et économiques d'un pays à l'autre sans vérification préalable. Lorsque l'analyse économique utilise des données internationales, ou des données nationales relatives à un autre pays que la France, il convient de justifier que ces données (cliniques, épidémiologiques ou économiques) sont utilisables avec une plausibilité suffisante dans le contexte français. En cas d'absence d'éléments de justification, il convient de signaler que les données transférées sont sujettes à caution.

### IX) DÉFINITIONS ET MESURE DES COÛTS

#### Recommandation n°11 :

Les bases de données de référence permettant le calcul du coût d'un séjour hospitalier en court séjour sont les bases issues du PMSI, qui permettent d'identifier de la façon la plus précise les caractéristiques cliniques et les traitements des patients. Une enquête observationnelle ad hoc est possible, mais on doit alors s'assurer, par comparaison avec les données nationales, de la représentativité des résultats obtenus sur un échantillon d'établissements.

#### Recommandation n°12

Le développement du PMSI pour les Services de Suite et de Réadaptation (SSR) apporte des informations utiles à la connaissance épidémiologique du moyen séjour, mais il ne permet pas encore la valorisation de son coût, en raison d'un manque de données sur les coûts unitaires. L'échelle provisoire de coûts n'est pas considérée comme fiable. On peut appliquer au nombre de journées par pathologie issu du PMSI-SSR, les prix de journée établis par la CNAMTS pour les disciplines repos-convalescence, rééducation fonctionnelle et réadaptation ou utiliser des enquêtes ad hoc sur des établissements spécialisés.

#### Recommandation n° 13

En matière hospitalière, toute étude portant sur le coût des transports doit tenir compte de la distinction transports primaire (domicile-hôpital) / secondaire (entre établissements) et du régime de financement de l'établissement (dotation globale/prix de journée). Le cas échéant, une enquête devra être réalisée auprès des établissements en complément de l'interrogation des systèmes d'information de l'Assurance Maladie. Une étude sur le coût des transports devra également prendre en compte les caractéristiques de l'activité (urgence, par exemple) ou des pathologies (chroniques, notamment) étudiées.

#### Recommandation n°14

Il est recommandé d'utiliser les tarifs conventionnels et les dernières données publiées par les caisses d'Assurance Maladie comme base de valorisation des coûts en médecine de ville, en leur ajoutant, si une perspective sociétale est choisie, les parts non remboursées et les dépassements d'honoraires. On pourra utiliser une nouvelle nomenclature : la classification commune des Actes Médicaux (CCAM) qui se substitue à celle du catalogue des Actes Médicaux (CDAM) et à la Nomenclature Générale des Actes Professionnels (NGAP).

#### Recommandation n° 15

La maladie et son traitement peuvent induire des coûts directs non médicaux supportés par les patients et leurs familles. Ces coûts peuvent correspondre soit à des dépenses pour l'acquisition de biens, ou s'assimiler à du temps. La mesure de ces coûts directs doit se faire par des enquêtes ad hoc dont il faut s'assurer de la rigueur, compte tenu notamment de potentiels effets revenus. La prise en compte du temps hors travail peut se faire de trois façons : Soit un bilan temps est effectué, mais n'est pas intégré dans le ratio coût-résultats. Soit il est valorisé au coût horaire correspondant au coût d'une ressource équivalente sur le marché. Soit, dans une approche coût-bénéfice, il est pris en compte par la propension à payer des patients. A titre subsidiaire, on pourra valoriser le nombre d'heures de travail auxquelles l'aidant doit renoncer.

#### Recommandation n° 16

L'impact de la maladie et de son traitement sur le fonctionnement de l'économie doit être pris en compte

dans l'évaluation d'une action de soins, lorsqu'il y a de bonnes raisons de penser que cet impact est important, soit par le nombre de personnes concernées, soit par la durée des conséquences de la maladie dans la vie des patients. La mesure du volume des journées de travail perdues se fait par des enquêtes ad hoc. La valorisation par l'approche dite du capital humain est simple à mettre en œuvre, mais peu réaliste. Les fondements de l'approche dite des coûts de friction est plus réaliste, mais doit donner lieu à un travail empirique important avant son application en France. L'une et l'autre de ces approches ne permettent pas de valoriser le temps perdu des personnes qui ne travaillent pas. Enfin, la théorie du bien-être recommande de prendre en compte la valeur du temps perdu dans l'évaluation des résultats d'une action de soins, et pas dans les coûts. En tout état de cause, la prise en compte des coûts indirects doit donner lieu à une analyse spécifique avec étude de son impact sur les résultats de l'évaluation, en fonction de la méthode retenue.

#### Recommandation n° 17

La valeur de la vie humaine peut se mesurer de deux façons : selon l'approche dite du capital humain, par le calcul du revenu per capita actualisé sur l'espérance de vie de la population française, et selon l'approche de la théorie du bien-être, par la valorisation faite par les individus des années de vie gagnées.

#### Recommandation n°18

La valorisation des coûts (bénéfices) intangibles ne se justifie pas dans la mesure où l'impact humain et psychologique de la prise en charge peut être étudié au travers des indicateurs de qualité de vie, de mesures d'utilité ou par des méthodes d'évaluation contingente.

### X) TYPES DE RÉSULTATS RETENUS ET LEURS MESURES

#### Recommandation n°19

Lorsque l'efficacité s'exprime par un indicateur unique, il est conseillé de justifier cette solution et d'explicitier les dimensions de l'efficacité non retenues. Lorsque plusieurs indicateurs sont combinés, les modalités de leur combinaison seront exposées. Si l'indicateur exprime un nombre d'événements évités, il convient de préciser la durée sur laquelle ce résultat est obtenu.

L'efficacité en pratique courante (effectiveness) doit être privilégiée par rapport à l'évaluation de l'efficacité expérimentale (efficacy). Néanmoins, si l'efficacité expérimentale est la seule donnée disponible, on s'efforcera de la transformer en efficacité en pratique courante par des ajustements appropriés.

#### Recommandation n°20

Dans l'idéal, une action de soin devrait être évaluée en fonction de son efficacité finale (exprimée soit directement ou à travers un indicateur de substitution). Si on ne dispose que d'indicateurs d'efficacité intermédiaire, il est nécessaire d'estimer la relation existant entre ceux-ci et l'efficacité finale en s'appuyant notamment sur la littérature publiée.

#### Recommandation n°21

L'évaluation de la qualité de vie offre un potentiel descriptif et informatif réel ; la réalisation de telles études est donc pertinente.

En matière d'aide à la décision en santé publique, l'évaluation de la qualité de la vie est ainsi complémentaire de l'évaluation de l'efficacité.

#### Recommandation n°22

Il est recommandé d'utiliser uniquement des instruments d'évaluation de la qualité de vie ayant fait l'objet d'un processus de validation (linguistique, culturelle et psychométrique).

Un instrument de mesure de la qualité de vie étant composé de conditions d'utilisation, d'un questionnaire et d'une fonction de scoring, ceux-ci ne peuvent être modifiés, sous peine de perdre le bénéfice du processus de validation.

#### Recommandation n°23

Compte tenu de la très grande variété d'outils disponibles pour évaluer la qualité de vie, il est important de s'assurer de l'adaptation de l'outil à l'objectif de l'étude. Les avantages et inconvénients des outils généraux et spécifiques étant complémentaires, il est recommandé de combiner les deux outils lorsque cela est possible. Sinon :

- il est recommandé d'utiliser un instrument spécifique quand l'objet de l'étude est de comparer plusieurs stratégies pour une pathologie donnée ;
- il est recommandé d'utiliser un instrument générique quand l'objet de l'étude est de pouvoir comparer plusieurs pathologies, modalités de prise en charge, etc., ou quand aucun instrument spécifique n'est disponible pour la population considérée.

#### Recommandation n°24

L'approche économique de la qualité de vie se réfère à la fonction d'utilité qui consiste à associer une valeur numérique à chacun des états sur lesquels s'exerce une préférence. Si A est préféré à B, alors l'utilité de A est un nombre supérieur ou égal à l'utilité de B.

Les méthodes de révélation des préférences les plus utilisées sont les méthodes de loteries (standard gamble), du marchandage-temps (time trade-off) et les échelles graduées (rating scale).

Ces méthodes permettent de faire exprimer des préférences individuelles dans le cadre d'une axiomatique stricte. L'utilisation de ces méthodes doit donc tenir compte de leurs caractéristiques théoriques et empiriques.

De nombreux problèmes théoriques se posent dès qu'il s'agit de passer des préférences individuelles à une préférence collective. Ceux-ci n'étant pas résolus, il n'est pas recommandé d'utiliser les résultats d'éventuelles préférences collectives comme unique critère pour fonder des décisions de santé publique.

#### Recommandation n°25

L'approche QALYs consiste à agréger en une dimension unique les deux dimensions qui décrivent les résultats d'une action de santé en terme d'années de vie gagnées et de qualité de vie.

La règle d'agrégation proposée pose de nombreux problèmes tant au niveau méthodologique qu'au niveau philosophique. La faible robustesse de cette approche permet la manipulation des conclusions d'une étude.

Ce constat conduit à recommander aux lecteurs ou utilisateurs d'une étude présentant des résultats en termes de QALY de s'intéresser aux conditions suivantes :

- a) Pour chaque étude il est indispensable de vérifier si ont été présentés le référentiel utilisé pour mesurer la qualité de vie, la méthode de mesure utilisée et de présenter la validation de la spécification de la fonction d'agrégation sous la forme multiplicative dans ce référentiel.
- b) Il paraît nécessaire de s'interroger sur l'origine des mesures de la qualité de vie, notamment sur le point de savoir si ces mesures sont " psychométriques " ou issues de techniques de révélation des préférences de type TTO ou loterie.
- c) Dans le cas du recours à des versions du QALY s'appuyant sur la théorie de l'utilité ou de l'utilité espérée, le lecteur doit s'interroger sur l'éventuelle vérification des hypothèses comportementales, les choix méthodologiques et épistémologiques et chercher les biais que ces choix engendrent.
- d) Dans tous les cas, il importe de considérer avec une extrême prudence les tentatives de comparaisons inter-études et inter-pathologies (exemple des league tables) : Il convient par exemple de vérifier que les mêmes systèmes de référence ont été utilisés dans les différents cas. Il n'est pas non plus recommandé d'utiliser pour une étude donnée la valorisation d'états de santé provenant d'une autre étude, sans avoir soigneusement validé l'équivalence des états de santé.
- e) Par ailleurs, il convient d'être attentif au risque d'effets distributifs pervers, dès lors que serait comparées des populations aux caractéristiques socio-démographiques très différentes ou dont les préférences vis-à-vis des traitements analysés pourraient être très hétérogènes.
- f) Dans l'état actuel des résultats de la recherche, il n'est pas recommandé de fonder une décision publique sur des résultats d'étude exprimés en termes de QALY, si les conditions a) à e) exprimées ci-dessus ne sont pas vérifiées et/ou validées, de par la possibilité de pouvoir générer des résultats divergents avec les mêmes données observées.

#### Recommandation n°26

L'utilisation de l'évaluation contingente dans le domaine de la santé se situe encore à l'état expérimental, ce qui exige d'être très explicite sur les limites de la technique choisie et d'en discuter les biais.



## XI) ACTUALISATION DES COÛTS ET DES BÉNÉFICES

### Recommandation n°27

Dans le cadre d'un choix collectif, il convient d'actualiser :

- les coûts
- les effets de santé, si la méthode de mesure des bénéfices ne tient pas déjà compte de la préférence pour le présent.

Il est recommandé d'actualiser les coûts et les résultats au même taux, sauf si on dispose d'études laissant penser que la préférence pour le présent des effets de santé et des coûts est différente.

Dans une perspective de comparaison internationale, il convient d'utiliser les taux 0, 3 et 5%. Il faut systématiquement réaliser une analyse de sensibilité sur le taux d'actualisation afin de tester la robustesse des conclusions tirées (en incluant un taux de 0%, c'est à dire l'évaluation sans actualisation).

## XII) MODÉLISATION

### Recommandation n°28

La modélisation recouvre un ensemble de techniques bien définies dont l'application à l'évaluation économique des stratégies thérapeutiques est validée. Elle permet d'effectuer tant l'évaluation des coûts que celle des résultats.

Un modèle est un outil d'aide à la décision permettant d'agrèger des données de sources diverses. Il permet de systématiser les éléments de la prise de décision notamment en permettant des estimations à long terme, des comparaisons indirectes, l'évaluation de l'impact budgétaire d'une stratégie de santé sur la prise en charge d'une pathologie, l'extrapolation des résultats d'une étude à la population générale.

Le choix du type de modèle à retenir doit être justifié et adapté à la problématique étudiée.

### Recommandation n°29

L'interprétation des résultats d'une modélisation doit rester liée aux hypothèses qui ont présidé à sa construction (population donnée...). Ainsi, toutes les données et hypothèses du modèle doivent être explicitées, documentées et validées.

La fiabilité des modèles est sous-tendue par un double processus de validation interne et externe.

La robustesse des résultats doit être testée par une analyse de sensibilité. Le choix des paramètres à faire varier doit être argumenté/justifié, de même que l'intervalle de variation testé.

## XIII) VÉRIFICATION DE LA ROBUSTESSE DES CONCLUSIONS DE L'ÉTUDE

### Recommandation n°30

Dans le cadre d'analyses utilisant des données issues de différentes sources, il convient d'effectuer une analyse de sensibilité sur les variables et les hypothèses

retenues. Celles-ci doivent être clairement identifiées et justifiées ainsi que leur intervalle de variation.

En cas de modèle complexe, une analyse en termes de scénarios correspondant aux situations la plus et la moins favorables peut être effectuée.

### Recommandation n°31

Dans le cadre d'analyses stochastiques où les données de coût et d'effet des traitements de chaque patient sont disponibles, il convient de recourir aux intervalles de confiance du ratio coût-résultat pour prendre en compte l'erreur d'échantillonnage. On privilégiera la méthode paramétrique fondée sur le théorème de Fieller et l'approche non-paramétrique par le bootstrap. On étudiera préalablement la représentativité des données utilisées. Une approche alternative et plus informative pour prendre en compte l'incertitude consiste à représenter la courbe d'acceptabilité des stratégies. Celle-ci représente la probabilité que la stratégie étudiée soit coût-efficace en fonction de différentes valeurs-plafond du ratio coût-résultat, ces dernières variant entre 0 et l'infini.

## XIV) PRÉSENTATION DES RÉSULTATS

### Recommandation n°32

De manière générale, le rapport d'une étude d'évaluation économique doit être effectué de manière à permettre un examen ou une évaluation par des pairs. Le rapport doit comporter tous les éléments permettant à un lecteur averti de comprendre la démarche méthodologique, de contrôler les sources, de vérifier la pertinence et la justesse des calculs. L'ensemble des données, des références et des procédures de calcul ayant été utilisé dans l'étude doit pouvoir être fourni à toute personne intéressée sur simple demande, à défaut de figurer explicitement dans le rapport. La seule limite à ce principe est le respect de la confidentialité des données relatives à des personnes identifiables. Bien qu'en conclusion ou en section " discussion ", il soit légitime que les auteurs commentent librement leurs résultats, il faut veiller à éviter une interprétation de ceux-ci qui puisse paraître exagérément sollicitée par rapport à la réalité de ceux-ci.

### Recommandation n°33

La publication des résultats d'une évaluation économique en santé peut revêtir une importance particulière sur le plan économique ou réglementaire. Elle peut influencer sur une décision publique, en revendiquant la qualité d'étude scientifique. Il importe donc que le processus de publication et de diffusion réponde aux critères d'intégrité qui sont ceux de la communauté scientifique. Il importe, par exemple, que tous les signataires aient pris une part effective à la partie scientifique de l'étude. La responsabilité personnelle de chacun d'eux est engagée en ce qui concerne la véracité de l'étude et la conformité entre la démarche méthodologique décrite et la démarche effectivement suivie. L'affiliation institutionnelle des auteurs doit être mentionnée et il est impératif que la ou les sources de financement soient mentionnées, qu'il s'agisse de ressources publiques ou privées.

#### Recommandation n°34

Les ratios coût-efficacité (ou coût-utilité) devront être exprimés sous forme différentielle pour constituer un critère d'aide à la décision. Les variations quant à l'utilisation des ressources devront figurer au numérateur et celles qui affectent l'état de santé au dénominateur en prenant soin d'éviter les doubles comptages. Les éléments de ces ratios (coûts et résultats) seront par ailleurs présentés avec leur distribution statistique (moyenne, médiane, intervalle de confiance, etc...).

### XV) INTERPRÉTATION DES RÉSULTATS

#### Recommandation n°35

Au terme d'une évaluation, il faut se préoccuper des aspects distributifs du résultat en le différenciant par autant de facteurs qui paraissent pertinents (notamment les facteurs socio-démographiques) et peuvent soulever des problèmes d'équité, en favorisant certains groupes ou agents au détriment des autres.

#### Recommandation n°36

1. Si les études débouchent sur des recommandations de politique publique, il importe de rappeler qu'il ne s'agit que d'études d'aide à la décision qui ne peuvent en aucun cas revêtir un caractère impératif.

2. Il importe de veiller à ce que le type de recommandations soit accordé au type d'étude. Par exemple, éviter de formuler des jugements de type coût-bénéfice (maximisation du bien-être collectif) dans le cadre d'une étude coût-efficacité.

3. Les résultats des études coût-efficacité, notamment celles portant sur des programmes mutuellement exclusifs qui sont les plus fréquentes, doivent faire res-

sortir que le choix entre les options non dominées relève, pour une large part, d'un jugement de valeur, que le décideur peut légitimement exercer.

4. La référence à des comparateurs externes (" le programme analysé est aussi coût-efficace qu'un autre qui est couramment mis en œuvre "), n'a qu'une valeur indicative et non prescriptive.

#### Recommandation n°37

La possibilité de disposer de valeurs de référence reconnues pour les études de type coût-efficacité s'appuyant sur des critères de type coût/année de vie gagnée, ajustée ou non par des considérations de handicap ou de qualité de vie doit passer par un effort important de standardisation des méthodes et des paramètres, notamment en matière de calcul des coûts. En l'absence de telles règles, il faut rester très prudent dans toutes les comparaisons de résultats provenant d'études différentes. Il est recommandé en tout état de cause de limiter ces comparaisons au même domaine thérapeutique et de justifier autant qu'il est possible la comparabilité des méthodes utilisées.

### XVI) IMPACT BUDGÉTAIRE

#### Recommandation n°38

En complément des évaluations économiques en santé qui se situent à un niveau micro économique, il peut être utile de faire une extrapolation des résultats obtenus, afin d'estimer l'incidence budgétaire des traitements étudiés pour les principaux agents concernés, à court et moyen termes, en cas de généralisation du traitement. De telles estimations, qui peuvent être plus ou moins développées selon les cas devront détailler les hypothèses sur lesquelles elles sont fondées.

## LA VIE DU COLLÈGE

### L'annuaire du Collège 2003

L'annuaire 2003 des Membres du Collège vient de sortir. Selon la règle adoptée il y a quelques années, l'annuaire édité les années impaires correspond à la version synthétique. Vous trouverez donc les principales informations sur les 182 membres individuels (soit 17 de plus que l'an dernier), les 11 membres institutionnels et les 27 membres entreprises (effectifs stables pour les institutions et les entreprises). Comme l'an passé, vous trouverez en plus un index des membres individuels par mots-clés. Pour ceux qui souhaitent obtenir l'annuaire 2003 des membres, contacter le Collège à partir du 1er juillet 2003.

### La Base CODECS et le Projet EURO NHEED

Au cours de ce premier semestre la base CODECS a été significativement augmentée avec plus de 200 études supplémentaires référencées. Ainsi, au 15 juin 2003, la base contient 780 références, contre 550 fin décembre 2002, avec désormais 265 fiches analytiques sur des études d'évaluation complète.

Dans le même temps, le projet EURO NHEED, coordonné par le Collège, est entré dans la phase active de son développement depuis le mois de mars. Différents documents ont déjà été produits et les participants du projet se retrouveront en juillet à York et en septembre à Paris.



COLLÈGE DES ÉCONOMISTES DE LA SANTÉ

#### Les Coordonnées du Collège

Si vous souhaitez joindre le Collège des Économistes de la Santé,  
adressez votre courrier au :

CES – 7, rue de Citeaux, 75012 Paris.

Tél: 01-43-45-75-65, Fax : 01-43-45-75-67,

E-mail : [CES2@wanadoo.fr](mailto:CES2@wanadoo.fr)

Site internet : <http://perso.wanadoo.fr/ces/>

#### La Lettre du Collège :

Directeur de rédaction : Gérard de Pouvourville,  
Secrétariat de rédaction : Julie Cardi, Philippe Ulmann.  
Réalisation : Louyot.  
Tirage : 600 exemplaires.