



# Enjeux distributionnels autour de l'utilisation de valeurs seuil

Clémence Thébaut

MCF, Inserm U1094 IRD U270 EpiMaCT, Université de Limoges  
Chercheure associée au LEDa-Legos, Université Paris-Dauphine, PSL  
[clemence.thebaut@unilim.fr](mailto:clemence.thebaut@unilim.fr)



# Contexte

- L'utilisation d'une valeur seuil coût-efficacité pour interpréter les résultats de l'évaluation économique de type coût/QALY suppose un modèle de justice de type utilitariste
  - L'objectif est de maximiser la somme des QALY produits sous contraintes budgétaire ; la santé comme proxy du bien-être.
  - « 1 QALY = 1 QALY = 1 QALY », « chacun compte pour un et personne pour plus d'un ».
- En pratique, le critère d'efficience est articulé avec d'autres critères de décision : sévérité de la maladie, âge, situation de handicap, fin de vie, inégalités sociales, etc. (Sabik et Lie, 2008 ; Raftery, 2009; Golan *et al.*, 2011 ; Norheim et al. 2014)
  - HAS, *Valeurs de référence pour l'évaluation économique des technologies de santé*, 2014
  - Terminologie variée pour désigner ces autres critères : valeurs sociales, critère de dérogation, critères de priorité.
- Plusieurs façons d'articuler le critère d'efficience avec ces autres critères :
  - Utiliser une valeur seuil et définir les contextes dans lesquels il est permis d'y déroger ;
  - Définir différentes valeurs seuil en fonction des circonstances ou introduire des mécanismes de pondérations ;
  - Refuser de définir une valeur seuil et apprécier le niveau du RDCR au cas par cas en explicitant ou non des critères de priorisation.



# Contexte

- Publication *Social value judgement*, NICE (2008)
  - Explication d'une valeur seuil £20 000-£30 000
  - Dérogations possibles : maladie orpheline
- Publication *End-of-life treatment*, Citizen Council, NICE (2009)
- Positions des autres agences (ex. IQWiG, KCE, HAS 2012, 2014, 2018)
- Série d'enquêtes sur les préférences sociales (Wailoo et al., 2009 ; Brazier et al., 2013 ; Cleenput, 2014 ; Shah, et al. 2018)
- Proposition de révision des critères de décision par le NICE dans le cadre de discussions sur le *Value-based pricing* (2014) : deux notions envisagées : « proportional shortfall » et « absolute shortfall » (Towse et Barnsley, 2013), notions également mobilisées aux Pays-Bas (Kusel, 2015).
  - Aux Pays-Bas, le critère de fardeau de la maladie serait pris en compte de façon croissante dans les décisions de remboursement des produits de santé (Reckers-Droog, van Exel, Brouwer, 2018).
  - En Norvège, il est envisagé que la valeur seuil coût-efficacité dépend du nombre d'années de vie perdues par le patient, en l'absence d'intervention, par rapport à l'espérance de vie moyenne de la population (Ottersen et al., 2016).
- Révision de guide d'évaluation des technologies de santé par le NICE et introduction de « severity modifier » ou « decision modifier » (2022)
- « *A QALY = A QALY = A QALY ... isn't?* »

EQUITY

---

# INTERGENERATIONAL EQUITY: AN EXPLORATION OF THE 'FAIR INNINGS' ARGUMENT

ALAN WILLIAMS\*

*Centre for Health Economics, University of York, UK*

## SUMMARY

Many different equity principles may need to be traded off against efficiency when prioritizing health care. This paper explores one of them: the concept of a 'fair innings'. It reflects the feeling that everyone is entitled to some 'normal' span of health (usually expressed in life years, e.g. 'three score years and ten') and anyone failing to achieve this has been cheated, whilst anyone getting more than this is 'living on borrowed time'. Four important characteristics of the 'fair innings' notion are worth noting: firstly, it is *outcome based*, not process-based or resource-based; secondly, it is about a person's *whole life-time experience*, not about their state at any particular point in time; thirdly, it reflects an *aversion to inequality*, and fourthly, it is *quantifiable*. Even in common parlance it is usually expressed in numerical terms: death at 25 is viewed very differently from death at 85. But age at death should be no more than a first approximation, because the *quality* of a person's life is important as well as its length. The analysis suggests that this notion of intergenerational equity requires *greater* discrimination against the elderly than would be dictated simply by efficiency objectives. © 1997 by John Wiley & Sons, Ltd.

*Health Econ.* 6: 117–132 (1997)

No. of Figures: 10. No. of Tables: 4. No. of References: 28.

KEY WORDS — equity; priority-setting; QALYS



# « Severity modifier » ou fardeau de la maladie

- **Absolute shortfall**

*Espérance de QALY dans la pop gén. – Espérance de QALY avec la maladie avec le traitement standard  
(âge et sexe égal)*

- **Porportional shortfall**

*Absolute shortfall*

*Nombre d'espérance de QALY moyen en population général du même âge*

Ex. Une personne a une espérance de 10 QALY avec le traitement standard. Son espérance QALY aurait été de 30 QALY sans la maladie :

- AS :  $30 - 10 = 20$
- PS :  $\frac{20}{30} = 0,66$

Table 6.1 QALY weightings for severity

QALY weight	Proportional QALY shortfall	Absolute QALY shortfall
1	Less than 0.85	Less than 12
x1.2	0.85 to 0.95	12 to 18
x1.7	At least 0.95	At least 18

Ex. Une personne a une espérance de 10 QALY avec le traitement standard. Son espérance QALY aurait été de 12 QALY sans la maladie :

- AS :  $12 - 10 = 2$
- PS :  $\frac{2}{12} = 0,16$

## Decision modifiers: size of benefit for highly specialised technologies

- 6.2.23 For highly specialised technologies, the committee will consider the size of the incremental QALY gain in relation to the additional weight that would need to be assigned to the QALY benefits for the cost effectiveness of the technology to fall within the highly specialised technologies £100,000 cost per QALY level.
- 6.2.24 For this weight to be applied, there will need to be compelling evidence that the treatment offers significant QALY gains. Depending on the number of QALYs gained over the lifetime of patients, when comparing the new technology with its relevant comparator(s), the committee will apply a weight between 1 and 3, using equal increments, for a range between 10 and 30 QALYs gained.
- 6.2.25 The weighting is applied as described in table 6.2 below.

**Table 6.2: QALY weightings for size of benefit for highly specialised technologies**

<b>Incremental QALYs gained (per patient using lifetime horizon)</b>	<b>Weight</b>
Less than or equal to 10	1
11 to 29	Between 1 and 3 (using equal increments)
Greater than or equal to 30	3



# Enjeux normatifs sous-jacents

- Il est habituel de distinguer les modèles de justice en fonction (Sen, 1987 ; Van Parijs, 1991 ; Fleurbaey, 1996) :
  - Objet que l'on choisit de répartir équitablement (*distribuendum* ou *outcome*) : *Equality of what?* (Sen, 1979)
  - Critère de répartition de ce *distribuendum*
  - Modalité d'évaluation du *distribuendum*

Utilitarisme

Théories libérales égalitaristes (depuis Rawls 1971) : capacité (Sen), Luck egalitarianism (Dworkin), Revenu équivalent (Fleurbaey), Arneson, Cohen, etc.



# Enjeux normatifs sous-jacents

- Juxtaposer le critère d'efficience avec ces autres critères peut être interprété comme la volonté de trouver un compromis entre des principes de justice utilitariste et des principes de justice égalitaristes (Wagland, 2012 ; Thébaut et Wittwer, 2017) → « *M. Tout-le-monde est "post-welfariste"* » (Schokkaert, 1999)
  - Le critère *proportional shortfall* implique un critère de sévérité de la maladie : Plus l'état de santé de départ d'un individu est dégradé, plus son amélioration a de la valeur pour la collectivité → **objectif d'égalisation des états de santé**
  - Le critère *absolute shortfall* implique un critère d'âge (ou fardeau) : Améliorer en priorité la situation des individus dont l'espérance de vie (ajustée ou non sur la qualité de vie) est la plus réduite par rapport à l'espérance de vie moyenne → **objectif d'égalisation des durées de vie**
  - Poursuivre un objectif d'égalisation n'implique pas que l'on cherche à égaliser strictement la répartition du distribuendum (égalité absolue), mais que l'on prend en compte une aversion aux inégalités sur le distribuendum, d'intensité variable.
- Comment justifier le choix d'un ou plusieurs de ces modèles de justice particulier?



# Enjeux normatifs sous-jacents

- Le critère d'absolute shortfall est le plus souvent justifié par l'argument du *fair innings* de Harris (*The Value of Life*, 1985) (Miners, Cairns et Wailoo, 2013).
  - Tout individu qui décède avant d'avoir bénéficié d'une durée de vie « raisonnable » subit une injustice que la collectivité est justifiée de prévenir.
- Deux variantes du *fair innings* :
  - Harris (1985) : les individus sont tout autant pénalisés lorsqu'ils décèdent avant cet « âge raisonnable », sachant que celui-ci n'est pas précisé ;
  - Williams (1997) : l'injustice que subit l'individu qui décède prématurément croît en fonction de l'écart entre l'âge du décès et l'espérance de vie moyenne de la population + qualité de vie
- Une littérature importante en économie de la santé et en éthique médicale (Tsuchiya, 1999, McMahan 2002; Wagland 2012; Bognar 2014; Menzel 2015; Solberg and Gamlund 2016; Nagel and Lauerer 2016), mais quasiment pas de discussions dans la littérature en justice sociale.
- Trois arguments en faveur du fair innings (Thébaud, Weil-Dubuc et Wittwer, 2021) :
  - Egaliser les durées de vie au nom d'un objectif d'égalisation des opportunités de bien-être
  - Egaliser les durées de vie au nom d'un objectif d'égalisation du temps offert aux individus pour réaliser leur plan de vie
  - Egaliser les durées de vie au nom d'un objectif d'égalisation du temps offert aux individus pour accepter la mort



# Enjeux normatifs sous-jacents

- Le critère de fair innings a longtemps fait l'objet d'un tabou, y compris chez les économistes de la santé
  - ex. GT organisé par l'OMS (GPS-Health) en vue de la définition des critères de priorité dans l'allocation des ressources en santé (Norheim et al. 2014)
- Décalage entre les discussions formelles et les pratiques :
  - Dispositifs permettant de financer des traitements coûteux, jugés inefficients (ex. le *Cancer Drug Fund* en GB) souvent dans des contextes où l'espérance de vie est réduite (Chamberlain et al. 2015)
  - Des discussions exacerbées dans le contexte de l'épidémie de Covid-19
- Après avoir hésité entre l'absolute et le proportional shortfall, le NICE a finalement retenu... les deux.



# Conclusion

- En France, des discussions sur la fixation d'une valeur de référence semblent bloquées.
  - Position paper, Blog CES : *Valeurs de référence pour l'évaluation économique des technologies de santé en France : en finir avec un tabou*, Bertrand TÉHARD, Fabienne MIDY, Cléa SAMBUC, Julie CHEVALIER, Stéphane ROZE, 2023
- L'absence de valeur tutélaire fragilise la place de l'évaluation économique dans le processus décisionnel en santé.
- L'utilisation de valeurs tutélaires de la vie et de l'année de vie se développent dans les autres secteurs (transport, environnement) et pourrait finir par importée dans le secteur de la santé.
- Intérêt à mener un travail d'analyse sur chacun des critères de priorité envisagés
  - Pour identifier les modèles de justice auxquels ils peuvent être rattachés
  - Pour évaluer la cohérence entre chaque critère
  - Pour envisager la possibilité d'intégrer ces critères de priorité, directement dans l'évaluation économique en santé
    - Distributional Cost-Effectiveness Analyses, (DCEA), ICECAP, Revenu équivalent santé

> [Int J Technol Assess Health Care](#). 2006 Winter;22(1):1-9.  
doi: [10.1017/s026646230605077x](#).

## Equity-efficiency trade-offs in health technology assessment

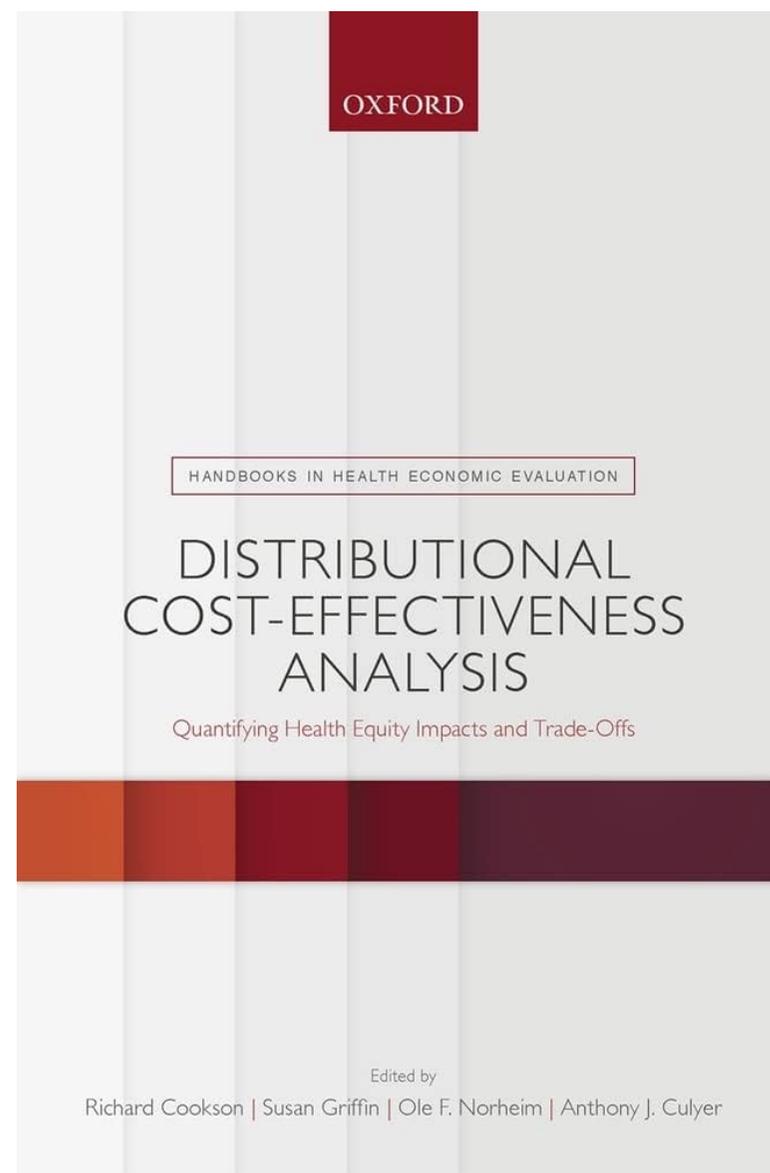
[Alan H Williams](#) <sup>1</sup>, [Richard A Cookson](#)

Affiliations + expand

PMID: 16673674 DOI: [10.1017/s026646230605077x](#)

### Abstract

Health technology assessment (HTA) currently focuses on efficiency, rather than equity, on the basis that its primary objective is to maximize population health. Yet a strict cost-effectiveness approach sometimes conflicts with important equity concerns, such as the reduction of socioeconomic health inequalities. Managing such equity-efficiency trade-offs on the basis of intuition is unsatisfactory in a democracy, as it arouses suspicions of special pleading and favoritism toward vested interests. Over the next few decades, therefore, decision making may progress through up to three further stages of development observed historically in other areas of resource allocation. Stage two involves case law, limited to principles distilled from precedent. Stage three involves codification, seeking to generalize these principles without specifying their relative weights. Finally, at stage four, quantitative trade-offs are incorporated into a formula. At stage four, deliberation centers on adjustments to the formula, which would then be applied impartially, transparently, and fair-mindedly to all future decisions. Methods already exist for valuing equity-efficiency trade-offs, based on established methodological principles for valuing trade-offs between different dimensions of health. Early findings indicate that the general public thinks that social class inequalities are more inequitable than those by smoking status, with inequalities between the sexes somewhere in between. Relative weights can be calculated from these data, although the data are not yet comprehensive enough to do this credibly for current policy purposes. In the mean time, the equity-efficiency trade-offs suggested by current decisions can be estimated using standard cost-effectiveness analysis. This is because every departure from a strict cost-effectiveness approach has an opportunity cost. The size of that opportunity cost is a test of how much weight a particular equity concern is deemed to merit.





# Conclusion

- Mener des enquêtes en population générale pour révéler les préférences de la population.
  - Deux articles discutés lors des JESF 2023, menés dans la population française
    - Public preference for funding innovative drugs: A discrete choice experiment on a representative sample of the French population, V. CLEMENT, M. GUILLON
    - Social Preferences in healthcare financing: Evidence from the SOPHEA survey, B. LOMIDZE, F. JUSOT, C. THEBAUT, J. WITWER
  - Le statut de ces préférences et leur place dans la décision publique doit être cependant discuté.

Merci pour votre attention