

# ***Panorama des travaux d'évaluation économique en France : Pratiques, usages et perspectives***

**Session 2.** Retours d'expérience des producteurs d'évaluations économiques : apports et défis

***Evaluation économique des produits de santé***  
*Sandrine Baffert, CEMKA*

Journée de l'Évaluation Économique en Santé  
17 juin 2026

Collège  
des  
Economistes  
de la  
Santé

en partenariat avec

**GSK**

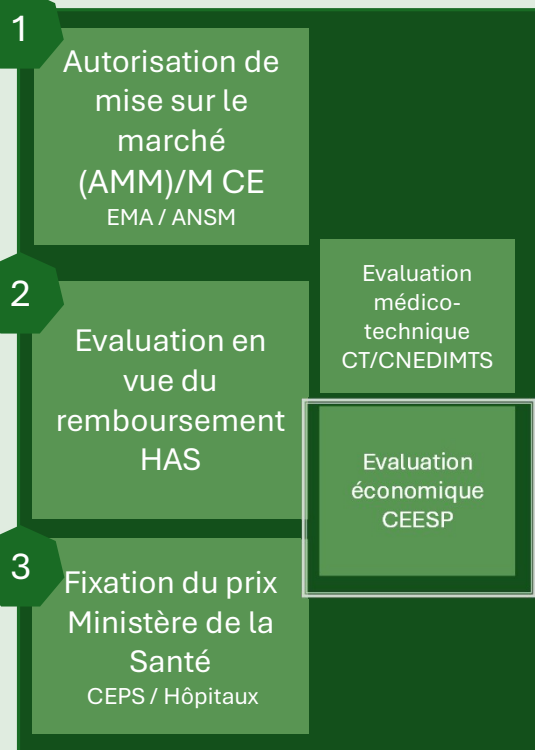
# L'évaluation économique des produits de santé

## *relativement récente*

- Evaluation économique dans missions HAS (LFSS 2007) : « dans le cadre de ses missions, la HAS émet des recommandations et des avis médico-économiques sur les stratégies de soins, de prescription ou de prise en charge les plus efficaces »
- **Création de la Commission EESP** (pluridisciplinaire, indépendante)
- Avis de la CEESP sur les études économiques des industriels du médicament et du dispositif médical (LFSS 2012)
  - Complète l'évaluation clinique
  - Fondé sur l'analyse critique du dossier déposé par l'industriel
  - Fournit un cadre général explicitant la gradation des réserves méthodologiques, les prises de position de la commission, les messages pour le décideur
  - Transmis au CEPS pour informer la négociation de prix avec l'industriel

# Quel est le cadre actuel de ces évaluations ?

## Produits de santé innovants et couteux



Evaluation  
efficience

Impact  
budgétaire

- **Demande ASA/ASMR I, II, III**
- **Impact significatif sur les dépenses de l'Assurance maladie**
  - Impact sur l'organisation des soins, les pratiques professionnelles, les conditions de prise en charge OU
  - Chiffre d'affaires hors taxes pour l'indication concernée > 20 M€ prévu en 2ème année de commercialisation,
  - Médicament de thérapie innovante

- **CA prévisionnel en 2ème année de commercialisation est > 50 M€ hors taxes**

- L'évaluation économique **soutient une demande d'inscription** sur la liste des spécialités pharmaceutiques agréées à l'usage des collectivités et sur la liste des spécialités pharmaceutiques remboursables aux assurés sociaux
- Le résultat de l'étude d'évaluation économique présenté par l'**industriel n'a pas d'impact sur l'accès au remboursement**

Journée de l'Évaluation Économique en Santé

17 juin 2026

Collège  
des  
Economistes  
de la  
Santé

en partenariat avec

GSK

# Cadre actuel des évaluations CEESP

## *un référentiel principal - Guide méthodologique HAS*

Evaluation efficience comparative	
<b>Modèle</b>	Modèle d'efficience dont la structure respecte l'histoire naturelle de la pathologie et sa prise en charge
<b>Critères de résultats</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Nombre d'années de vie gagnées : analyse coût-efficacité, RDCR en €/LY</li> <li>• QALYs : analyse coût-utilité, RDCR en €/QALY</li> </ul>
<b>Coûts</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Coûts directs</li> </ul>
<b>Perspective</b>	Collective (Assurance Maladie, complémentaires et reste à charge du patient)
<b>Population simulée</b>	Cohortes représentatives ou des simulations individuelles Analyse de référence : Population soumise au remboursement (libellé de AMM) - Sous-groupes de Patients avec comorbidités
<b>Comparateurs</b>	Ensemble des traitements médicamenteux et autres utilisés dans la pratique courante en France



Evaluation impact budgétaire	
<b>Modèle</b>	Modèle multi-cohorte, décrivant l'évolution de la population rejointe par les interventions considérées
<b>Perspective</b>	Assurance Maladie Obligatoire (payeur)
<b>Horizon temporel</b>	3-5 ans Sans taux d'actualisation
<b>Coûts</b>	Coûts directs (Tarifs)
<b>Population</b>	Approche populationnelle (nombre de patients attendus et traités en pratique)
<b>Comparateurs</b>	Compare des ensembles d'interventions (scénarios), scénario AVEC et SANS

Journée de l'Évaluation Économique en Santé

17 juin 2026

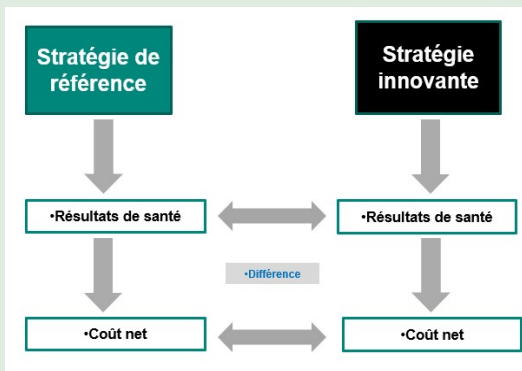
Collège  
des  
Économistes  
de la  
Santé

en partenariat avec

GSK

# Cadre actuel des évaluations CEESP

*modèles de simulation du devenir des patients, au-delà des résultats des essais cliniques*



$$\text{RDCR} = \frac{\text{Coûts}_1 - \text{Coûts}_2}{\text{Efficacité}_1 - \text{Efficacité}_2}$$

« X € supplémentaires par année de vie gagnée ou QALY gagné »

## Permet de palier à la situation d'information imparfaite

- Extrapolation au-delà des données de suivi de l'essai pivot
- Transposition des résultats de l'essai dans la vraie vie
- Projection du devenir d'un «patient moyen de l'indication» (efficacité et coûts), pour chaque stratégie thérapeutique.

## Hierarchise les stratégies sur le plan économique et médical

- Comparaison des stratégies deux-à-deux à partir d'un indicateur (ratio différentiel coûts résultats – RDCR)
- Comparaison par l'intermédiaire d'une **comparaison multiple** et de la frontière d'efficience selon le principe de la dominance stricte et étendue (courbe d'acceptabilité multiple) au delà de deux traitements à comparer

Journée de l'Évaluation Économique en Santé

17 juin 2026

Collège  
des  
Economistes  
de la  
Santé

en partenariat avec

GSK

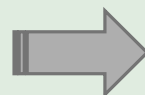
# Quels sont les défis de la réalisation de l'évaluation économique ? *adaptation au contexte français*

- **Adaptation de modèles** conçus par les sociétés mères des filiales françaises, avec comme cadre méthodologique de base les exigences du NICE
  - Confronté aux process internes des laboratoires (délai, volonté de la maison mère, France qui n'est pas prioritaire)
  - Adaptation des choix méthodologiques fondamentaux aux recommandations de la CEESP & ajustement des paramètres numériques propres au contexte français
    - éviter les réserves majeures et donc de s'écarter le moins possible du guide de la HAS,
    - tenir compte des pratiques françaises et de la représentativité de la population de l'essai
    - intégrer des données de vraie vie
- Travail relevant moins de la théorie économique, que des problématiques de modélisation et d'analyses statistiques.

# Défi 1 : démonstration de la valeur clinique

## Difficultés fréquentes

- Données immatures au moment du dépôt & incertitudes sur la survie à long terme
- Limite de l'effet traitement & de son maintien sur LT
- Absence de comparaisons directes pour tous les traitements pertinents à prendre en compte
- Mobilisation de comparaisons indirectes avec les challenges associés (HR proportionnels, ...)




- Incertitude sur la valeur clinique extrapolée à LT
- Multiplication des analyses de sensibilité & des scénarios
- Manque de robustesse du RDCR

**Jusqu'ou accepter l'incertitude pour des innovations majeures alors qu'une production économique est disponible ?**

## Défi 2 : choix méthodologiques

### Difficultés fréquentes

- Equilibre entre modèle sophistiqué et (in)disponibilité de données (de vraie vie)
- Structures de modèles identiques au NICE (Markov...), nécessité de valider l'histoire naturelle et la prise en charge en France
- Disposer de données suffisantes & transposables à la France pour les probabilités de transitions entre états de santé/matrices de contact pour un modèle dynamique sur la vaccination
- Justification des extrapolations (type de fonctions paramétriques - cure model) et maintien de l'effet traitement dans le temps (tester des hypothèses conservatrices)
- Maintenir un choix conservateur sur l'horizon temporel /espérance de vie, durée de suivi de l'essai (Cut-off) et des données disponibles
- Estimation des utilités (disponibilité de l'EQ-5D/mapping, modèle statistique adapté, homogénéité des sources retenues dans la littérature)

- 
- Incertitudes structurelles des modèles
  - Incertitude sur les résultats et manque de robustesse ICER

## Défi 3 : maladies rares & MTI

### Difficultés fréquentes

- Immaturité des données
- Essai clinique/pivot mono-bras: reconstituer le bras comparateur
- Faible échantillon et donc problématique de quantité d'effet
- Questionnaire EQ-5D - outil courant peu discriminant en dépit de l'importance de la qualité de vie dans ces pathologies/outil ne capture pas nécessairement tous les effets de ces maladies rares



- Incertitude sur l'extrapolation de la quantité d'effet relative
  - Difficultés à capter des dimensions d'intérêt
  - Difficultés à montrer l'amélioration de la qualité de vie par des symptômes spécifiques
- **Faut-il des critères spécifiques ? Faut-il adapter la doctrine pour les MR ?**

# Perspectives

- **Critères d'éligibilités à l'évaluation économique (N=+20?)**
  - Demande ASMR 4 à condition que l'efficacité du produit soit importante (dominant et économisant)
  - Critère organisationnel à développer
- **Apport des données de vie réelle Registre/EDS et chainage SNDS**
  - Réduction des incertitudes
  - Validation des hypothèses
  - Réévaluation post-inscription ? Tester les modèles d'efficacité sur des données de vie réelle (une fois recul sur efficacité, avec les « vrais » prix)
  - Reconstitution des coûts de prise en charge, coût de parcours, reconstruction de cohortes historiques
- **Reconsidérer les QALYs pour certaines pathologies**
  - Discuter de l'utilisation du Subjective Well-Being (SWB) pour identifier des « bolt-on » ?