



GUIDE MÉTHODOLOGIQUE POUR L'ÉVALUATION ÉCONOMIQUE DES STRATÉGIES DE SANTÉ

Recommandations méthodologiques

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

Participants :

AUQUIER Pascal (Univ. De Marseille)	GABRIEL Sylvie (Sanofi-Synthelabo Groupe)
AURAY Jean-Paul (CNRS – Université Lyon 1)	GUIGNARD Eric (GlaxoSmithKline France)
BERDEAUX Gilles (ALCON France)	LAUNOIS Robert (Université Paris Nord)
BERESNIAK Ariel (ARES-SERONO Suisse)	LEBRUN Thérèse (CRESGE – Lille)
BRUN-STRANG Catherine (Novartis France)	LELEU Hervé (CRESGE-LABORES, Lille)
CARRERE Marie-Odile (GRESAC-Université Lyon 1)	LENNE Xavier (CRESGE – Lille)
CHARVET-PROTAT Suzanne (AFM)	LE PEN Claude (Université Paris Dauphine)
CORCAUD Sylvaine (Servier)	LEVY Emile (Université Paris Dauphine)
COUDEVILLE Laurent (CRESGE – Lille)	LILLIU Hervé (CLP Santé)
d'ALCHE-GAUTIER Marie-José (CHU Caen)	MARISSAL Jean-Pierre (CRESGE – Lille)
de POUVOURVILLE Gérard (CREGAS–INSERM U537)	MIDY Fabienne (CREDES)
DERVAUX Benoît (CRESGE-LABORES, Lille)	SAILLY Jean-Claude (CRESGE-LABORES, Lille)
DURU Gérard (CNRS – Université Lyon 1)	SELKE Bernard (CRESGE – Lille)
EECKHOUDT Louis (Université de Mons - Belgique)	
FAGNANI Francis (CEMKA-EVAL)	

Rapporteurs :

BOULENGER Stéphanie (CES)
ULMANN Philippe (CES)

RESUME 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) Etudes 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 comparateur 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 présente 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 (voir section 10.4).

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 génériques 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 méthodologiques 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 seraient 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'agréger 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 ressortir 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.

TABLE DES MATIERES

Introduction	11
I) POINT DE VUE DES ÉTUDES ET PERSPECTIVE	13
II) PLACE DES ÉTUDES DANS L'ÉVOLUTION DES STRATEGIES DE SANTE	14
III) CADRE FORMEL SOUS-JACENT	15
IV) ÉTUDES D'ENVIRONNEMENT	16
V) POPULATION-CIBLE	17
VI) CHOIX DU COMPARETEUR ET METHODES DE COMPARAISON	18
6.1) Choix du comparateur.....	18
6.2) Méthodes de comparaison	18
VII) TYPES D'ÉTUDES	19
7.1) Les études de minimisation des coûts.....	19
7.2) Les études coût-efficacité	19
7.3) Les études coût-utilité.....	19
7.4) Les études coût-bénéfice	19
7.5) Les études coûts-conséquences.....	19
VIII) HORIZON TEMPOREL ET VALIDITÉ SPATIALE	21
8.1) Horizon temporel.....	21
8.2) Validité Spatiale	21
IX) DÉFINITIONS ET MESURE DES COÛTS	22
9.1) Les coûts directs médicaux.....	22
9.1.1) Hospitalisation	22
9.1.2) Soins de ville.....	24
9.2) Les coûts directs non médicaux.....	25
9.3) Les coûts indirects	26
9.3.1) Pertes de production, pertes de productivité.....	26
9.3.2) Le coût de la vie humaine.	27
9.4) Les coûts et les bénéfices intangibles	28
X) TYPES DE RÉSULTATS RETENUS ET LEURS MESURES	29
10.1) L'efficacité.....	29
10.1.1) Définition de l'efficacité : efficacité expérimentale (efficacy) et efficacité en pratique courante (effectiveness).....	29
10.1.2) Indicateurs d'efficacité : efficacité finale (final endpoint), efficacité intermédiaire (intermediate endpoint) et efficacité de substitution (surrogate endpoint)	29
10.2) La qualité de vie	30
10.2.1) Définition de la qualité de vie liée à la santé.....	30
10.2.2) Mesure de la qualité de vie : l'approche psychométrique	30
10.2.3) L'utilité	32
10.3) QALY (Quality Adjusted Life Years)	33
10.3.1) Pour ou contre les QALYs	34
10.3.2) Les problèmes méthodologiques	35
10.3.3) Les problèmes conceptuels.....	36
10.4) L'évaluation contingente (Willingness to pay).....	39
XI) ACTUALISATION DES COÛTS ET DES BÉNÉFICES	40
11.1) Le principe de l'actualisation	40
11.2) Faut-il actualiser les résultats de santé ?.....	40
11.3) Faut-il retenir le même taux d'actualisation pour les coûts et les résultats de santé ?.....	40
11.4) Quel(s) taux d'actualisation faut-il retenir ?.....	41
XII) MODELISATION	42
12.1) Domaines d'applications	42
12.2) Techniques de modélisation	42
12.3) Conditions d'utilisation.....	43
XIII) VÉRIFICATION DE LA ROBUSTESSE DES CONCLUSIONS DE L'ÉTUDE	44
13.1) Les analyses de sensibilité dans le cas des modèles	44
13.2) Le traitement de l'incertitude dans le cas d'analyses stochastiques.....	45
XIV) PRÉSENTATION DES RESULTATS	46
14.1) Un format standard pour une meilleure transparence.....	46
14.2) Intégrité scientifique et conflit d'intérêt	46
14.3) Les ratios.....	46
XV) INTERPRÉTATION DES RÉSULTATS	48
15.1) Aspects distributifs et problèmes d'équité.....	48
15.2) Principes théoriques d'une décision fondée sur une évaluation économique	48
15.3) L'interprétation des études coût-efficacité et coût-utilité : les « League tables »	50

XVI) IMPACT BUDGÉTAIRE.....	52
ANNEXES TECHNIQUES	53
ANNEXE I : Notions et mesures de coûts en fonction de la perspective adoptée	54
ANNEXE II : Programme de médicalisation du système d'information (PMSI)	63
ANNEXE III : Catalogue des Actes Médicaux (CdAM) et Indice de Coût Relatif (ICR)	70
ANNEXE IV : Méthodologie pour l'évaluation des charges professionnelles des médecins en vue de la tarification des actes techniques.....	71
ANNEXE V : Arrêté du 29 JUIL. 1998 relatif au recueil, au traitement et à la transmission des données d'activité médicale.....	79
ANNEXE VI : Les coûts de transport.....	82
ANNEXE VII : Utilité et utilite esperee	83
ANNEXE VIII : Actualisation.....	84
BIBLIOGRAPHIE.....	85

Introduction

Compte tenu du nombre croissant de Recommandations de bonne pratique des études d'évaluation économique dans le domaine de la Santé, et de l'existence dans notre pays de recommandations émises en 1997¹, il paraît nécessaire de situer celles de l'année 2003 qui vont suivre, tant par rapport à ces dernières, que par rapport aux Guidelines internationales et notamment dans leurs versions les plus récentes.

En France, le contexte, le mode d'élaboration, le niveau d'exigence scientifique et donc le contenu ont changé depuis 1997.

Le contexte, notamment institutionnel, permettait de réunir une commission tripartite de 18 membres représentant l'Industrie, les Pouvoirs Publics et les Experts économistes. Ses débats pendant une année lui ont permis de passer en revue les principaux problèmes méthodologiques et d'élaborer des réponses dans un esprit consensuel.

Le niveau d'exigence scientifique qu'exprimaient ces règles de bonne pratique était celui qui était en vigueur dans la plupart des pays. Depuis cette date, il s'est sensiblement élevé dans le domaine de l'administration de la preuve (chiffres plus documentés, méthodes statistiques plus fines dans les analyses de sensibilité et le traitement de l'incertitude ou de l'actualisation, modèles plus diversifiés pour la projection des coûts et des effets).

Enfin le contenu s'est enrichi de types d'études et de problèmes qui apparaissent peu ou pas du tout au milieu des années 90 : les études coûts-conséquences ont acquis (timidement) droit de cité, on a cherché à valoriser l'apport des bénévoles ; l'évaluation contingente a (un peu) progressé ; le problème de la transposabilité des études internationales a été, si non trait du moins posé.

Par ailleurs, le nombre d'experts français a beaucoup augmenté en 5 ans et leur cohésion s'est renforcée dans des Associations comme le Collège des Economistes de la Santé.

C'est donc lui qui a pris l'initiative de cette révision de nos recommandations, en organisant des sous-groupes de travail, largement ouverts sur divers sujets pour parvenir au Guide Méthodologique qui est aujourd'hui présenté à la discussion par l'Industrie et les Pouvoirs Publics, faute d'avoir pu élaborer en cours de route avec eux des lignes directrices qui auraient, parallèlement au Guide Méthodologique, représenté un Consensus sur les principales orientations des études d'évaluation économique des stratégies sanitaires et thérapeutiques.

Comment ces recommandations se situent-elles par rapport à celles qui ont été présentées dans d'autres pays ? Le CES s'est efforcé de situer son travail au front de taille de la réflexion en économie de la santé, et il existe de nombreux points de convergence avec les travaux scientifiques et les recommandations publiées. Nous devons signaler une dette très forte à nos collègues canadiens, car nous nous sommes inspirés de la forme de leur travail : accompagner chaque recommandation, formulée de façon aussi brève et claire que possible, d'un texte explicatif et assorti des références les plus pertinentes pour aider le lecteur à approfondir sa réflexion. Nous avons aussi comme eux, tenté d'adopter la plus grande neutralité possible dès lors qu'il y avait controverse scientifique active sur un certain nombre de points. Néanmoins, le lecteur observera que nous avons pris parti sur certains points importants, pour lesquels il nous semblait que le consensus apparent de la communauté scientifique n'était pas complètement justifié. Enfin, en ce qui concerne la mesure des coûts, il était évident qu'il fallait tenir compte des spécificités des modes de financement des soins dans notre pays ainsi que des bases de données existantes pour proposer des recommandations adaptées.

Sur quels points y-a-t-il une forte convergence avec les travaux étrangers ? Sur tous les points portant sur la conception générale des études, l'utilisation des données médicales et leurs extrapolations, les règles de décision issues de l'analyse économique. Un exemple parmi d'autres : les recommandations 30 et 31 donnent avec beaucoup de détails les précautions à prendre dans les analyses de sensibilité des résultats aux hypothèses des modèles et à l'incertitude liée aux données cliniques et économiques. Il y a eu un progrès indéniable des méthodes sur ces deux points depuis la précédente version des recommandations, et la crédibilité des études que nous faisons en France ne peut que s'améliorer si nous les adoptons. Il importe en effet de donner au décideur l'information la plus complète possible sur la robustesse des résultats des évaluations économiques en santé.

En revanche, le lecteur nous trouvera plus prudents, ou au contraire plus audacieux, sur l'utilisation des méthodes de révélation des préférences ou d'évaluation contingente pour mesurer les résultats des actions de soins. Nous avons voulu souligner qu'elles reposent sur des cadres théoriques normatifs qui peuvent être contestés et que les méthodes empiriques qu'elles utilisent, aussi ingénieuses soient-elles, ne permettent pas encore d'en faire un élément décisif de la décision. Deux points nous paraissent importants.

Nous ne sommes pas entièrement convaincus (mais le débat a été très vif) que les méthodes actuelles de mesure des résultats des actions de soins reposant soit sur des mesures d'utilité, soit sur la mesure de la propension à payer, soient suffisamment robustes pour fonder une règle de décision publique. On peut certes se contenter d'apporter le caveat habituel et rappeler modestement que les études réalisées ne sont qu'un des éléments de cette décision, mais il nous a

¹ Publiées dans la Lettre du Collège d'avril 1997 et reprises dans le Journal d'Économie Médicale, 1998, T.16, n°4-5, pp. 353-372.

semblé plus utile de dire pourquoi. En particulier, il nous a semblé qu'il y avait risque de dérive sur la mesure des QALYs, de plus en plus de travaux utilisant de façon non contrôlée des valeurs d'utilité publiées pour d'autres actions de soins, et calculées avec des méthodes différentes. Cette hétérogénéité des méthodes ne peut plus garantir la comparabilité des résultats d'une action de soins à l'autre, remettant ainsi en cause le principe des « League Tables », au sein desquels les programmes sont classés les uns par rapport aux autres par ordre croissant ou décroissant de coût par QALY.

Le deuxième point est relatif à la théorie du bien-être, qui postule que la situation de tous est améliorée quand l'addition de tous les bénéfices individuels l'est, quelle que soit la distribution de ces bénéfices. Si d'aucuns gagnent alors que d'autres gagnent moins ou perdent, peu importe si le solde est positif, le fonctionnement de l'économie permettra d'organiser les compensations nécessaires. Or, ce n'est pas parce que tout le monde va mieux en moyenne, que chacun va mieux, et le débat démocratique consiste précisément à s'assurer que des compensations s'organisent réellement.

La critique est utile, l'art est difficile. Il nous appartient donc de relever le gant, et de participer aux progrès des méthodes d'évaluation économique des actions de soins. Nous espérons, avec ces recommandations, contribuer de la sorte à l'amélioration de la qualité des études réalisées dans le contexte français. Mais le travail de réflexion doit continuer.

I) POINT DE VUE DES ETUDES ET PERSPECTIVE

Selon la perspective choisie, il existe différentes méthodes de mesure des coûts et des résultats ; il importe donc que pour une étude donnée soit(ent) précisé(s) le ou les point(s) de vue adopté(s) : incidence ou prévision budgétaire pour l'Assurance Maladie, l'hôpital ... ou impact sur la consommation totale de biens et soins médicaux, quel qu'en soit le financeur, et sur la santé publique (perspective sociétale).

Toutefois, la vocation générale des études économiques étant de fournir une aide à la décision en matière de politique de santé publique, il serait souhaitable qu'une perspective « sociétale » globale soit présentée en tout état de cause. Cette notion de perspective « sociétale » ne recouvre pas encore actuellement en France de définition précise. Elle renvoie selon les cas à un concept d'intérêt collectif issu de la théorie économique du bien-être, à une perspective générale de santé publique ou à la prise en compte de considérations d'équité entre les groupes et entre les générations. Elle renvoie également à une notion élargie d'impact budgétaire pour la société par opposition à une simple mesure d'impact budgétaire pour un agent pris isolément (Voir Annexe I).

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 ETUDES DANS L'EVOLUTION DES STRATEGIES DE SANTE

L'étude économique d'une stratégie de santé peut être réalisée à chaque étape de son cycle de vie. A chacune de ces étapes, il est possible d'associer une/des décision(s) à prendre et la méthode doit être choisie en fonction de la décision que l'étude doit éclairer.

Pendant les phases de recherche et de développement, l'étude économique peut éclairer le promoteur d'une innovation sur l'intérêt potentiel de celle-ci, par l'identification des populations-cibles, par la recherche des produits ou des stratégies de soins concurrentes et par une première estimation de sa valeur relative par rapport aux concurrents.

A l'heure actuelle, beaucoup d'études sont réalisées avant la diffusion d'une stratégie de santé pour les négociations avec les principaux payeurs des soins. Ces études *ex ante* s'appuient en règle générale sur des données d'efficacité clinique provenant d'études expérimentales et quasi-expérimentales, qui ne peuvent refléter les conditions réelles futures d'utilisation d'une stratégie de santé. De plus en plus souvent, ces essais cliniques incluent des mesures de l'effet des stratégies de santé sur la qualité de vie des patients, mais ils intègrent plus rarement une mesure de leur utilité. L'intérêt d'une mesure des coûts en accompagnement d'un essai clinique est discutable. En effet, il faudra savoir faire la part des coûts imputables au protocole expérimental lui-même. En revanche, il est des cas où l'intervention précoce de l'économiste dans la conception de l'essai clinique est utile : quand le choix du résultat final pertinent n'est pas le même pour le clinicien et l'économiste (par exemple, la mortalité à court ou à moyen terme), ou quand il faut s'assurer du devenir des patients perdus de vue ou en échec de traitement dans les deux branches de l'essai.

Il existe une pression grandissante de la part des payeurs pour obtenir des études permettant d'évaluer les effets des stratégies de santé en conditions réelles, une fois le produit mis sur le marché. Ces études peuvent servir de base à une renégociation des indications d'utilisation et des prix. Elles permettent de vérifier si les hypothèses émises dans les études *ex ante* sont confirmées ou non. Ces études présentent l'avantage sur les essais cliniques randomisés d'être plus proches des pratiques réelles d'utilisation de la stratégie de santé. Ces études requièrent des méthodes différentes de celles utilisées pour les essais cliniques.

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

Les évaluations économiques se définissent par une prise en compte conjointe de critères médicaux, faisant appel à l'épidémiologie clinique, et de critères de coût. Mais, cette association peut se faire : soit dans le cadre formel qui est celui de la théorie économique du bien-être et de l'utilité, soit dans le cadre méthodologique multidisciplinaire parfois qualifié d'analyse de la décision. Dans le premier cas, l'expression de l'utilité sociale doit obéir à des conditions très rigoureuses, souvent difficiles à satisfaire ; dans le deuxième cas, on recherche avant tout l'opérationnalité du modèle décisionnel et on accepte que ces contraintes soient relâchées.

La finalité des évaluations économiques étant d'aider le décideur à faire des choix, c'est cette deuxième approche, celle du processus décisionnel, qui semble la plus pertinente.

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) ETUDES D'ENVIRONNEMENT

Les études d'évaluation économique des stratégies thérapeutiques peuvent être complétées par diverses approches complémentaires comme le coût de la maladie et la prévision budgétaire. Cette dernière approche est traitée dans la section 16.

Les études de type coût de la maladie se situent en amont de l'évaluation économique. Elles fournissent des éléments descriptifs généraux sur la pathologie concernée par le traitement étudié. Elles font généralement une synthèse des informations disponibles sur l'épidémiologie descriptive (incidence, prévalence, histoire naturelle, conséquences en termes de morbidité, handicap et mortalité), les modes usuels de prise en charge dans le système de santé et les coûts associés (directs et indirects). L'analyse du retentissement peut inclure des études de qualité de vie (voir paragraphe 10.2).

La mesure des coûts dans ces études soulève le même type de difficultés que celles qui apparaissent dans les analyses d'évaluation proprement dites (voir Chapitre 9 : Définitions et mesure des coûts).

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

L'étude économique d'une stratégie de santé doit préciser la population qui est la bénéficiaire potentielle de ses effets. Cette population peut être décrite par des caractéristiques démographiques (âge, sexe), par la nature de la maladie prise en charge, par le stade de développement ou de gravité de la maladie, par l'existence de maladies associées, par l'exposition à certains facteurs de risques, etc. Dans le cas d'une étude économique associée à un essai clinique, la population-cible est généralement la population répondant aux critères d'inclusion dans l'essai. Cette population-cible va différer de la population qui sera bénéficiaire du traitement dans la pratique courante.

Quand les données d'efficacité sont tirées de sources multiples portant sur des populations différentes, il convient de décrire avec précision la méthode utilisée pour aboutir à la définition d'une population-cible et les estimations d'efficacité sur cette population.

Il se peut qu'une étude d'efficacité mette en évidence des différences de résultats pour des sous-groupes de patients. Cependant, pour exploiter ces différences, il faut s'assurer que la conception initiale de l'étude permette un contrôle et une puissance statistiques suffisants. Le même raisonnement s'applique à une étude coût-efficacité, dont l'extension à certains sous-groupes n'est valable que si la démonstration de l'efficacité pour des sous-groupes a été établie.

Cependant, une analyse multivariée *ex post* est acceptable pour évaluer l'efficacité d'un traitement en fonction des caractéristiques des patients traités. Il s'agira alors d'estimer les résultats cliniques pour chaque sous-groupe à partir de ses caractéristiques.

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 METHODES DE COMPARAISON

6.1) CHOIX DU COMPAREUR

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.

6.2) METHODES DE COMPARAISON

L'évaluation économique est souvent contrainte, pour le choix du ou des comparateurs, par les stratégies thérapeutiques de comparaison disponibles à travers les essais cliniques. Celles-ci sont souvent, soit un traitement par placebo, soit des stratégies médicales de référence – mais souvent anciennes, et parfois obsolètes au moment de l'introduction de la stratégie thérapeutique faisant l'objet de l'évaluation économique.

NB : La stratégie de comparaison utilisant les résultats du placebo est souvent assimilée au « non traitement ». Cette approximation conduit le plus souvent à sous-estimer la différence d'efficacité entre la stratégie évaluée et le non-traitement, puisqu'un effet placebo existe dans la quasi-totalité des pathologies. On peut admettre cet inconvénient dans la mesure où il conduit à une démonstration « par défaut » relative à la stratégie évaluée.

Recommandation n°7

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

Différents types d'études sont concevables : les unes cherchant à établir un lien – sous forme de ratio par exemple – entre les coûts et les résultats d'une action thérapeutique (étude coût-résultat), les autres se contentant de mettre en parallèle les coûts et diverses conséquences (ou critères d'appréciation) de cette action sans chercher à formaliser leur lien (étude coût-conséquences).

Ces deux types d'études se différencient également par le caractère synthétique des premières et par l'aspect multi-critères des secondes (études coût-conséquences). Dans ce dernier cas, on considérera que la multidimensionnalité des critères rend problématique toute tentative de les agréger.

Par contre, toute étude de type coût-résultat implique nécessairement qu'une stratégie de référence ait été définie, stratégie par rapport à laquelle seront évaluées toutes les autres stratégies.

7.1) LES ETUDES DE MINIMISATION DES COUTS

Les études de minimisation des coûts sont utilisées dans les cas où les stratégies comparées diffèrent uniquement par les coûts qu'elles mettent en oeuvre. Lorsque deux stratégies ont la même efficacité thérapeutique, les mêmes conséquences (médicales et sociales pour le patient), mais des coûts différents, on recherche la stratégie la moins chère. Certains nient l'existence des études de minimisation de coûts, en arguant du fait que les hypothèses qu'elles impliquent (même efficacité, même utilité, etc.) ne sont jamais réunies dans la réalité.

7.2) LES ETUDES COUT-EFFICACITE

Les études coût-efficacité sont utilisées quand on cherche à déterminer la stratégie qui dégagera une efficacité maximale pour un coût donné ou inversement, lorsque l'on cherche à atteindre un objectif médical donné, au moindre coût. L'efficacité est mesurée par un indicateur de résultat clinique ou un indicateur objectif d'état de santé. Elles permettent également d'apporter une information au décideur sur le supplément d'efficacité obtenu au travers d'un supplément de coût.

7.3) LES ETUDES COUT-UTILITE

Les études coût-utilité constituent une généralisation des études du type coût-efficacité concernant le résultat obtenu. Son intérêt théorique est de pouvoir disposer d'un indicateur synthétique de résultat. Cette analyse nécessite de connaître les préférences des patients. L'analyse coût-utilité est particulièrement utilisée lorsque les impacts sur la survie et/ou la qualité de vie sont des critères importants pour juger des résultats des effets des stratégies de santé.

7.4) LES ETUDES COUT-BENEFICE

Les études coût-bénéfice doivent permettre de déterminer si une nouvelle stratégie de santé dégage un bénéfice net pour la société. L'analyse coût-bénéfice se distingue donc de l'analyse coût-efficacité en ce qu'elle implique que tous les coûts et toutes les conséquences de la stratégie évaluée soient exprimés en termes monétaires. Cependant, la valorisation monétaire des résultats de santé pose de nombreux problèmes, surtout s'agissant des effets non marchands.

7.5) LES ETUDES COUTS-CONSEQUENCES

Les études coûts-conséquences se proposent de faire un inventaire de tous les coûts engagés par une action et de toutes les conséquences positives ou négatives qu'elle peut entraîner. C'est dire qu'il est dans leur nature de considérer des phénomènes qui s'expriment de façon très hétérogène, du point de vue aussi bien qualitatif que quantitatif. A ce titre, les études de qualité de vie peuvent être intégrées aux études coûts-conséquences. Ces dernières peuvent aussi constituer une bonne base de défrichage pour une future évaluation économique.

Lorsque ces études ne mettent pas en relation les moyens et les résultats au travers d'un critère explicite, ces études ne sont pas considérées comme de véritables évaluations économiques. Ce sont des outils d'aide à la décision qui laissent une marge de liberté au décideur encore plus grande que les précédentes. En effet, elles consistent, pour un thème donné, à identifier toute l'information pertinente et utile à la prise de décision, à la collecter et à la classer sous deux aspects d'une action : d'un côté tous les coûts impliqués par elle, quelles qu'en soit leur nature et la méthode de

mesure et d'un autre côté toutes les conséquences économiques ou non, que l'action va entraîner (en excluant les coûts pour éviter les doubles emplois).

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 VALIDITE SPATIALE

8.1) HORIZON TEMPOREL

Plusieurs horizons temporels peuvent être envisagés. On peut s'attacher à mesurer l'impact du traitement pendant toute la vie de l'individu (notamment dans le cas de maladies chroniques) ou au contraire se limiter à une période de temps plus restreinte.

Quoique déterminé par l'histoire naturelle de la pathologie, le choix de l'horizon temporel de l'étude est souvent restreint par les données disponibles (notamment celles provenant des essais cliniques).

Néanmoins, une modélisation peut permettre d'estimer les conséquences à long terme tant au niveau des coûts que des résultats de santé (voir section 12).

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.

8.2) VALIDITE SPATIALE

Les évaluations économiques de stratégies thérapeutiques reposent souvent, en l'absence de données nationales, sur l'utilisation de données internationales, principalement dans les domaines de l'épidémiologie et de la clinique.

Il est communément admis que les résultats cliniques sont transférables d'un pays à l'autre, ou d'un groupe de pays à un seul pays, à condition de respecter les critères définissant la population concernée et le mode d'organisation des soins. Les données épidémiologiques peuvent être sujettes à plus ample variabilité.

Enfin, les données économiques ne sont généralement pas transférables d'un pays à l'autre, ceci résultant à la fois de différences entre les modes de prise en charge, donc de consommations de ressources, et de différences de prix/tarifs des biens et services utilisés.

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) DEFINITIONS ET MESURE DES COÛTS

9.1) LES COÛTS DIRECTS MEDICAUX

D'un point de vue purement logique, devraient être considérés comme coûts directs, seuls ceux qui sont directement imputables à la pathologie, pour ce qui est de son traitement et/ou de sa prévention, primaire ou secondaire.

Dans les faits, on a pris l'habitude, par une sorte de convention tacite, de réduire ces coûts directs aux coûts médicaux, en excluant ainsi la valeur du temps passé par le malade ou son entourage, que l'on renvoie (à tort), vers les coûts indirects, même s'ils sont directement imputables à la pathologie.

9.1.1) Hospitalisation

9.1.1.1) *Court séjour*

L'estimation des coûts des séjours en section Médecine Chirurgie Obstétrique (soins aigus) des établissements publics, privés sans but lucratif et privés commerciaux peut se faire de deux façons. Soit une enquête *ad hoc* est menée au cours d'une étude sur un échantillon d'établissements, en recensant les ressources utilisées et en les valorisant sur la base des coûts unitaires fournis par les établissements. Cette méthode a l'avantage de fournir une estimation fine des ressources utilisées, mais l'inconvénient de limiter la représentativité des résultats à l'échantillon sélectionné. Soit on utilise les bases de données issues du PMSI. Trois bases de données sont disponibles, avec des conditions d'accès qui doivent être discutées au cas par cas par les propriétaires des bases.

La première base est la base nationale des Résumés de Sortie Standardisés, qui couvre l'ensemble des hospitalisations de court séjour en France. Elle ne contient pas de données de coûts, mais on peut disposer de la durée de séjour pour des séjours identifiés par leur diagnostic ou leur acte.

La deuxième base est celle de l'Etude Nationale de Coûts, qui est construite sur un échantillon d'établissements publics et privés à but non lucratif. Elle permet d'avoir accès à des coûts par séjour éclatés en quatre grandes classes : coût médical, coût médico-technique, coût logistique et coût de structure. On peut alors disposer d'estimations de coûts pour des séjours sélectionnés sur la base du diagnostic principal et de diagnostics associés, ou d'actes.

La troisième base est celle développée pour l'hospitalisation privée à but lucratif par l'ADHIMEP, structure fédérative émanant de la Fédération Hospitalière Privée. Elle comporte deux sous-bases. La première permet de calculer des frais facturés par séjour : il s'agit donc d'une base tarifaire. La seconde utilise la méthodologie de l'Etude Nationale de Coûts pour calculer des coûts par séjour.

Dans les évaluations médico-économiques, il est recommandé d'utiliser les données les plus spécifiques, c'est-à-dire celles qui permettent d'identifier le coût d'un séjour pour un patient identifié par ses codes diagnostiques et/ou les actes dont le patient bénéficie au cours du séjour. L'annexe II précise les recommandations techniques permettant l'utilisation de ces données, notamment pour s'assurer de leur représentativité au niveau national.

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.

9.1.1.2) *Moyen et long séjour*

1) *Hôpitaux publics (y compris PSPH)*

Disons d'emblée que les informations recueillies en 1999 sur une base exhaustive du secteur public (y compris PSPH) ne permet absolument pas, compte tenu de la conception du PMSI-SSR (Services de Suite et de Réadaptation), de faire des recoupements avec les années antérieures. Le dénombrement des patients et des séjours n'est pas opéré — ou en tout cas affiché — et seul le décompte des journées d'hospitalisation (complètes ou en hospitalisation de jour ou de suite, ainsi que le nombre de séances) consacrées à des patients pour une cause morbide peut être tenté, à travers un système complexe de données fondées sur la CIM 10 et impliquant déjà la solution du problème de correspondance des codes CIM 9 – CIM10 rencontré pour le court séjour.

Les données SSR sont classées :

- 1- par CMC (catégorie majeure clinique) ;
- 2- par GHJ (groupes homogènes de journées).

Elles sont établies au moyen de RHA (résumés hebdomadaires anonymisés) qui sont des données de situation recensant, pour chaque semaine, les journées de présence du patient. Mais le nombre de RHA, par CMC ou par GHJ, ne peut pas tenir lieu de nombre de séjours effectués dans une de ces catégories.

Une liste en clair de ces GHJ montre que leur différenciation se fait à partir du diagnostic principal, de l'importance de la dépendance, de la lourdeur de la prise en charge et de la complexité de la rééducation-réadaptation.

Pour chacun de ces GHJ, nous disposons d'informations globales (nombre d'établissements où ils ont été repérés, nombre de journées, âge moyen, sex-ratio, délai post-opératoire, etc.), de renseignements sur la morbidité traitée (en codes CIM 10), sur l'étiologie lorsque celle-ci se différencie de la morbidité, et enfin sur les actes effectués.

Mais il n'existe pas encore de base de coût concernant le moyen séjour dans les hôpitaux publics et PSPH. En revanche, la CNAMTS a ventilé par grands groupes (8) de disciplines pour l'année 2000 les tarifs de 1 073 établissements en calculant pour chacun le tarif maximal, le tarif minimal et l'écart-type.

2) *Hôpitaux privés*

A l'heure actuelle, seuls des documents méthodologiques ont été élaborés pour les soins de suite et de réadaptation et aucun chiffre n'a été publié.

Néanmoins, la CNAMTS calcule pour 450 établissements (établissements en convention CRAM et les établissements en prix de journée préfectorale), 6 classes de disciplines et les taux d'occupation, la durée moyenne de séjour, le nombre de journées, le nombre de lits et les tarifs moyens.

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.

9.1.1.3) *Coûts de transport²*

Les dépenses de transport font l'objet d'un suivi par l'Assurance Maladie et peuvent être connues à partir de requêtes, de type SIAM (Système d'Information de l'Assurance Maladie), réalisées sur les systèmes d'information des caisses.

Cependant, la totalité des coûts de transport reste difficile à apprécier dans le secteur hospitalier :

² Voir aussi Annexe VI

- Dans les établissements sous dotation globale (publics et privés PSPH), une partie des dépenses de transport étant prise en charge par ladite dotation, du fait de la différenciation entre transports « primaires (domicile-hôpital) » et transports « secondaires (entre établissements) », toute étude de coût portant sur les transports doit donc donner lieu à enquête auprès des établissements concernés. En principe, l'Etude Nationale des Coûts par Activité Médicale permet de calculer le coût de la demi-heure de transport SMUR sur l'échantillon des établissements participant à l'enquête. En effet, dans les fichiers de coûts décomposés par unité fonctionnelle, il existe une unité fonctionnelle « SMUR » recensant les charges directes (salaires, amortissement des véhicules et entretien, carburant, amortissement en entretien de l'équipement médical, consommables médicaux divers) et les rapportant à l'unité d'œuvre « ½ heure de SMUR ». La communication des fichiers d'unité fonctionnelle SMUR fait l'objet d'une demande spéciale au CTIP³.
- Le moyen de transport doit être pris en compte : hélicoptère, voie ferrée ou véhicule automobile. Le premier (hélicoptère) constitue l'une des composantes importantes du coût de transport en matière d' « urgence », domaine en cours de réorganisation (constitution d'un groupe de réflexion ministériel sur la question) et pour lequel des études existent. Cependant, pour ce qui est du transport automobile, il convient d'établir une distinction entre le recours à un véhicule « sanitaire » (VSL ou ambulance) et l'utilisation d'un véhicule personnel.
Pour ce qui est de l'utilisation d'un véhicule sanitaire, toute comparaison (géographique par exemple) devra prendre en compte les niveaux et la structure (locale) de l'offre en matière de transport (le rapport VSL/ambulances, par exemple).
Quant à l'utilisation des véhicules personnels, elle s'avère revêtir une importance particulière dès lors qu'il s'agit d'étudier le coût des transports pour les patients atteints de maladie chronique (insuffisance rénale chronique, par exemple), sachant que l'indemnisation est assurée sur la base d'un barème fixé au plan national.
- Il convient enfin de rappeler qu'en matière d'hospitalisation existe une règle dite de « l'établissement le plus proche » susceptible d'influer sur l'appréciation des dépenses de transport, une partie de ces derniers pouvant ne pas être pris en charge par l'Assurance Maladie.

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.

9.1.2) Soins de ville

Lorsque la perspective retenue est celle de l'Assurance Maladie, la valorisation des coûts en médecine de ville ne présente pas de difficultés particulières, compte tenu de l'existence de tarifs de remboursement. Il est par ailleurs tout à fait justifié d'intégrer les dépassements d'honoraires, lorsque leur montant est connu, aux estimations de charges non remboursées par l'Assurance Maladie.

Si on se situe dans une perspective sociétale, il est toutefois légitime de regarder si les tarifs de remboursement constituent des estimations satisfaisantes des coûts d'opportunité correspondants. On sait que ces tarifs recouvrent principalement, en ce qui concerne tout au moins les consultations de médecins de ville, la rémunération d'un temps médical. En effet, les frais professionnels ne constituent généralement qu'une fraction minoritaire des honoraires perçus. La détermination des tarifs de remboursement des actes de ville résulte de négociations entre les autorités de santé et les représentants des professionnels, et il n'est pas assuré que les tarifs pratiqués soient au niveau de ce qu'ils pourraient être dans le cadre d'un marché libre. Toutefois, il est clair également que la prise en charge socialisée des dépenses de santé modifie considérablement l'accès aux services et entraîne une augmentation des volumes de recours aux soins. Par ailleurs, les professionnels de santé sont amenés à pratiquer des ajustements des temps consacrés aux actes qu'ils réalisent qui leur permettent, dans une certaine mesure, de maintenir leur tarif horaire à des niveaux acceptables. Ces considérations suggèrent que la recherche d'un coût d'opportunité estimé sur d'autres bases que les tarifs de remboursement pratiqués, soulèverait de multiples questions au plan méthodologique et de la faisabilité et qu'il semble difficile de trouver des solutions satisfaisantes.

³ Centre de traitement de l'information du PMSI, Université Paris VI, 12 rue Cuvier, 75 005 Paris

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).

9.2) LES COÛTS DIRECTS NON MÉDICAUX

L'état de santé d'un individu et les traitements qu'il requière ont un impact direct sur sa vie quotidienne et celle de son entourage, se traduisant soit par du temps « perdu », soit par des débours monétaires. Des exemples de tels coûts sont le temps et le coût d'accès aux services de santé, le temps de garde d'enfants pendant l'indisponibilité des parents, de conjoints ou d'apparentés (personnes âgées), les temps de visite de la famille au cours d'une hospitalisation, le temps d'une assistance ménagère pour compenser la perte de travail domestique, mais aussi les dépenses requises pour le réaménagement d'un domicile pour faire face à un handicap (par exemple pour la polyarthrite rhumatoïde), les dépenses de matériel de suppléance qui ne sont pas considérés comme des produits médicaux (un postiche dans le cas d'une calvitie induite par la chimiothérapie). Dans le premier cas, la ressource essentielle est le temps. Dans le second cas, il s'agit de l'acquisition de biens.

Dans le cas de l'acquisition de biens, leur valorisation se fait par le repérage de la dépense correspondante. Ce repérage est effectué par la réalisation d'enquêtes *ad hoc*, ce qui suppose la sélection d'une population représentative. La mise en place de tels travaux doit être subordonnée aux hypothèses *a priori* que l'on peut faire sur leur importance relative par rapport aux autres coûts, et sur l'impact différentiel d'une action de soins par rapport à une autre dans le cas d'une étude comparative.

Lorsque la ressource utilisée est assimilable à du temps, la mesure de leur importance se fait aussi par des enquêtes *ad hoc*. *A priori*, on peut penser que ces coûts seront faibles et peuvent s'assimiler à des coûts transitoires d'ajustement dans le cas d'épisodes de soins aigus, de courte durée, et se traduisant par le rétablissement rapide (moins d'un mois) des patients. Dans ce cas, on pourra faire l'hypothèse explicite qu'ils ne vont pas modifier de façon significative ni la valeur des ratios coût-résultat, ni le sens des conclusions. Mais cette hypothèse devra être argumentée. A contrario, plus la maladie et le traitement seront de longue durée et potentiellement invalidant à long terme, plus il sera pertinent de les prendre en compte. Cependant, il convient d'être prudent lorsque l'on compare des actions de soins, même de courte durée, qui changent significativement la prise en charge du patient, par exemple en passant d'une hospitalisation complète à des hospitalisations d'un jour. Il se peut en effet dans ces cas qu'une modalité moins coûteuse en soins médicaux se traduise par un transfert de charge important sur les familles. Le bilan complet des coûts doit alors prendre en compte ces transferts de charge.

Leur valorisation monétaire est controversée. Dans un grand nombre de cas, ce temps est pris sur le temps de loisir, correspond à de l'entraide familiale ou amicale et n'entraîne pas de dépenses. Le choix de recourir à une aide rémunérée est fonction du revenu du ménage et de la valeur accordée aux utilisations du temps hors travail. Dans ce cas, on peut soutenir que ce temps perdu n'a pas de coût d'opportunité pour la société. On comptabilisera alors ce temps perdu à part, il ne sera pas inclus dans le ratio incrémental coût-résultat, et il figurera comme un argument supplémentaire dans la comparaison de deux actions de soins.

Cependant, ce raisonnement peut atteindre ses limites quand un nombre important de patients est atteint d'une pathologie ou que les traitements mis en œuvre mobilisent beaucoup de temps, par exemple dans le cas de pathologies chroniques invalidantes (sclérose en plaque, myopathies, maladie d'Alzheimer, etc) : si toute la société était malade au point de requérir une aide permanente de leur entourage, ce temps bénévole consacré à la prise en charge des conséquences de la maladie ne serait pas disponible ni pour d'autres activités domestiques pour les biens portants (par exemple l'éducation des enfants), ni pour la consommation et aurait donc un impact sur le potentiel de création de richesse. Il convient également d'être prudent lorsque l'on compare des actions de soins, même de courte durée, qui changent significativement la prise en charge du patient, par exemple en passant d'une hospitalisation complète à des hospitalisations d'un jour. Il se peut en effet dans ces cas qu'une modalité moins coûteuse en soins médicaux se traduise par un transfert de charge important sur les familles. Le bilan complet des coûts doit alors prendre en compte ces transferts de charge. C'est à nouveau l'importance attendue de ces coûts qui doit guider le choix d'une valorisation monétaire ou non.

On peut alors procéder à une valorisation monétaire (par exemple, de garde d'enfants ou d'aide ménagère) au coût d'une ressource équivalente sur le marché (coût de remplacement). Cette approche reflète le point de vue d'un décideur collectif rationnel qui choisirait la solution de compensation la plus efficiente, sans tenir compte des

préférences individuelles. Dans une approche coût-bénéfice, on peut soutenir l'idée que les patients intègrent ces conséquences par la mesure de la propension à payer, dès lors qu'elles sont incluses dans la description des états de santé. Mais cela requière que la méthode de description des états de santé sur laquelle sera fondée la mesure de la propension à payer intègre clairement ces conséquences.

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.

9.3) LES COUTS INDIRECTS

Ils se composent essentiellement des pertes de production, des pertes de productivité et des pertes de vies humaines.

9.3.1) Pertes de production, pertes de productivité

La maladie et les traitements peuvent avoir un impact sur la productivité des patients actifs, et, partant, sur la production de richesse au niveau national.

La valorisation de la perte de productivité se fait par la mesure du nombre d'heures ou de journées de travail perdues à cause de la maladie et de sa prise en charge. La mesure de ce nombre doit, comme pour le temps hors travail, se faire grâce à des enquêtes *ad hoc*, dont la réalisation pose cependant des problèmes importants d'échantillonnage et de redressement, compte tenu des biais potentiels liés à l'activité professionnelle des personnes malades et aux mécanismes d'attribution d'arrêts maladie par les systèmes d'indemnisation (par exemple, la différence en France entre salariés et travailleurs indépendants).

Trois méthodes coexistent pour la valorisation monétaire de ces pertes. La première, dite du capital humain, conduit à valoriser l'impact de la maladie par les pertes de production qu'elle induit, en multipliant le nombre de journées de travail perdues par la valeur de cette production. Dans cette approche, on ne distingue pas l'impact de la maladie selon les entreprises ou les secteurs où elle se produit. La mesure choisie de la valeur de cette production est le PIB par personne active, rapportée à la journée de travail. Cependant, cette approche a été critiquée pour son manque de réalisme. En effet, elle repose sur l'hypothèse d'une économie de plein emploi, au sein de laquelle la perte d'une journée de travail a un impact proportionnel et mécanique sur la production. Elle ignore aussi le fait qu'il y a une flexibilité certaine sur le lieu de travail, que l'absentéisme peut être compensé dans le court terme par l'augmentation de productivité des autres employés, sans augmentation de la masse salariale (voire avec une diminution de la masse salariale si le personnel absent n'est pas indemnisé ni remplacé). Compte tenu de ces limites, elle est d'une acceptabilité limitée pour les décideurs publics, car elle ne repose pas sur une identification réaliste de flux de ressources et de flux financiers.

L'école, dite des « friction costs »⁴, propose de pallier le manque de réalisme de l'approche précédente en étudiant de façon empirique la façon dont les employeurs s'ajustent aux arrêts maladie. Les auteurs font remarquer qu'une absence au travail ne va pas se traduire nécessairement par une baisse de la production, soit que l'absence soit compensée par une augmentation de la productivité des autres employés, soit que l'employé rattrape son travail après son arrêt maladie. Eventuellement, il va s'écouler une période, dite de friction ou d'ajustement, au cours de laquelle l'employé ne sera pas remplacé. Ensuite, l'employeur procédera à un remplacement et supportera le coût d'une agence d'intérim et le coût de formation du remplaçant. Ces coûts seront d'autant plus élevés (et la période d'ajustement longue) que le marché du travail sera tendu (resp. abondant). L'hypothèse de base de la méthode est que l'élasticité de la production au temps de travail n'est pas de 1. Une élasticité de 0.8 a été retenue en Hollande, où cette approche a été développée. Par ailleurs, la méthode se propose de mesurer l'impact à moyen terme des arrêts maladie sur le marché du travail, et notamment des congés pour incapacité. En France, cela conduirait à étudier l'impact à moyen terme sur les cotisations sociales de l'absentéisme pour maladie, avec deux effets contradictoires. En période de chômage, l'augmentation des arrêts maladie peut améliorer à terme la situation de l'emploi, mais se traduit également par une augmentation des cotisations sociales, donc un renchérissement du coût du travail ou une baisse du revenu net des travailleurs, donc une baisse du pouvoir d'achat. Pour résumer, l'approche dit des coûts de friction

⁴ Koopmanshap M.A. et al., 1995.

considère que la perte de production n'est pas exactement proportionnelle au nombre de journées de travail, d'une part ; d'autre part, elle propose une modélisation macro-économique de l'impact des arrêts maladie sur le marché du travail, et partant, sur le coût du travail et la compétitivité des entreprises. Elle requière donc une étude spécifique et réactualisée de façon permanente pour être appliquée.

La troisième approche est celle dérivée de la théorie du bien-être, et s'applique dans le cadre d'études coût par QALYS ou coût-bénéfice avec mesure de la propension à payer. Dans cette approche, les inconvénients liés aux arrêts de travail sont évalués en les intégrant dans l'évaluation qui est faite par les patients de leur état de santé suite à un traitement donné. Les coûts dits indirects sont donc inclus au dénominateur du ratio coût-résultat, et n'apparaissent pas de façon explicite.

Les deux premières approches de la mesure des pertes de productivité et de production ne permettent de prendre en compte le travail non rémunéré, en particulier le travail domestique, ou le temps des personnes inactives, comme les personnes retraitées ou en dehors du marché du travail suite à un handicap. Une approche pragmatique classique est celle de la valorisation du « temps perdu », telle qu'elle a été décrite plus haut. Or, on pourrait faire l'hypothèse que les personnes retraitées en bonne santé ont des activités domestiques ou bénévoles qui contribuent à la richesse nationale. De même, on peut faire l'hypothèse qu'elles produisent des externalités de consommation, en utilisant le pouvoir d'achat de leurs retraites, qui est soit un revenu différé, soit une épargne forcée. Une approche pragmatique classique serait celle du comptage du temps perdu, telle qu'elle a été décrite pour les coûts directs non médicaux. L'approche welfariste permet en revanche d'intégrer cette évaluation du temps perdu par les patients eux-mêmes.

Enfin, il existe dans les pays développés des mécanismes de compensation des pertes de revenus dus à la maladie. En France, la Sécurité Sociale compense une partie des pertes de revenus par le versement d'indemnités journalières. Ces indemnités sont financées par des cotisations sociales. Par définition, les débours correspondant aux indemnités journalières perçues sont égales aux cotisations sociales versées. Si l'on se place du point de vue de l'analyse économique, ces flux ne correspondent pas à l'utilisation supplémentaire de ressources, mais à des redistributions de revenus entre acteurs. Ils ne sont donc pas comptabilisés. Mais si l'on se place du point de vue de la Sécurité Sociale, une baisse du nombre d'arrêts de travail se traduit par des économies, et il peut être pertinent de les mesurer. A long terme, si le nombre d'arrêts de travail diminue significativement, les cotisations sociales pourraient baisser, se traduisant donc par du revenu disponible supplémentaire à partager entre les employeurs et les salariés, avec un impact positif sur la richesse nationale.

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.

9.3.2) Le coût de la vie humaine.

La valorisation économique des pertes de vies humaines repose non seulement sur la valeur accordée dans les sociétés développées à la vie en tant que telle, mais également sur le constat du lien entre longévité et richesse. Une société dont la population est en mauvais état de santé, avec une forte mortalité précoce (par rapport aux standards actuels des sociétés développées) est une société au sein de laquelle les enfants commencent à travailler tôt et n'accumulent pas de capital éducatif, les adultes ne développent pas d'épargne et ne constituent donc pas de bases pour l'accumulation du capital qui crée la richesse future. Il y a donc un lien entre le capital humain accumulé grâce à l'éducation et la santé, et la richesse d'une société. Dans un tel modèle, la mort prive la société d'une richesse à venir. Le calcul d'un ratio coût par année de vie gagnée sur la mort découle de cette analyse du lien entre capital humain et richesse. Le coût de la perte d'une vie humaine se mesure alors par la perte d'un revenu potentiel lié à la survie. Ce coût par an peut se calculer comme la somme actualisée des revenus sur une durée de vie égale à l'espérance de vie de la population, divisé par cette espérance de vie. Les revenus doivent s'entendre comme revenus bruts, après cotisations sociales mais avant impôt. Ce coût par année a l'avantage d'être le même quel que soit l'âge auquel le décès survient, la différence se faisant uniquement sur le nombre d'années de vie restant à vivre, moins grand pour les personnes âgées que pour les plus jeunes.

A l'heure actuelle, un débat est ouvert sur le point suivant : ne faut-il pas déduire des revenus attendus d'une survie les dépenses futures de santé des survivants ? Cette proposition paraît logique. Pour autant, dans un système d'assurance maladie universelle au sein duquel il existe une solidarité intergénérationnelle, on peut faire l'hypothèse que la somme actualisée des cotisations tout au long de la vie est égale à la somme actualisée des dépenses de santé. La prise en compte des dépenses futures de santé des survivants ne se ferait alors que si cette hypothèse n'était pas vérifiée.

Si le revenu annuel actualisé est rapporté à l'ensemble de la population, on peut faire l'hypothèse que cette valeur mesure la perte d'une vie humaine, que la personne ait été active ou non. Cela revient à dire que les personnes inactives contribuent, par l'utilisation de leur temps, à la possibilité de production de richesse par les personnes actives.

Une alternative à l'approche du capital humain est celle qui dérive de la théorie du bien-être. Les bénéfices de la survie sont alors valorisés par la propension à payer des individus pour une année de vie supplémentaire, et cette valorisation intègre leur état de santé. Dans cette approche, il convient de ne pas compter dans le bilan coût-bénéfice les revenus potentiels futurs liés à la survie, puisque leur valeur est prise en compte par la propension à payer des individus.

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.

9.4) LES COUTS ET LES BENEFICES INTANGIBLES

Les coûts intangibles traduisent la perte de bien-être du patient et de son entourage, liée à la maladie, ce qui est susceptible de représenter un coût humain et psychologique (souffrance, douleur, perte de vie, etc.).

Il est unanimement admis que ces éléments négatifs ne doivent pas être comptabilisés dans les coûts, mais dans les résultats, soit dans les études intégrant des notions de qualité de vie, soit dans les études coûts-bénéfices.

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 (voir section 10.4).

X) TYPES DE RESULTATS RETENUS ET LEURS MESURES

10.1) L'EFFICACITE

10.1.1) Définition de l'efficacité : efficacité expérimentale (efficacy) et efficacité en pratique courante (effectiveness)

Les études explicatives mesurent une efficacité expérimentale, au sens où leurs résultats sont obtenus dans des protocoles expérimentaux ou dans des situations de prise en charge contrôlée. Ces résultats ne peuvent donc être tenus pour complètement équivalents à une mesure d'efficacité réelle. Or, c'est évidemment cette efficacité en pratique courante qui intéresse le patient, le médecin et le décideur.

A partir du modèle idéal de l'efficacité théorique ou expérimentale (efficacy) qui implique une sélection de patients, régie par des règles précises d'inclusion et d'exclusion, ainsi que leur randomisation et le respect du double-aveugle, différentes déviations peuvent se produire qui affecteront la mesure de l'efficacité. Les dosages des produits prescrits peuvent ne pas correspondre à la pratique courante des médecins dans différents pays; la randomisation des patients et le principe du double aveugle ont pu ne pas être rigoureusement suivis ; et surtout l'observance n'est pas respectée à 100% par ces patients dans les conditions réelles.

Peut-on redresser ces biais ? A supposer que cela soit possible, obtient-on pour autant une efficacité en conditions réelles (effectiveness) ? Et cette « effectiveness » mesure-t-elle l'efficacité de traitements en population non sélectionnée dans une perspective de santé publique ?

Ainsi, la notion d'efficacité relève davantage d'un continuum de situations que de la simple opposition efficacy/effectiveness ne la laisse présager : elle présente une géométrie variable, en fonction de l'objectif poursuivi, des conditions de sa mesure et des possibilités de redresser certains biais pour se rapprocher de la réalité sans nuire à la cohérence de l'indicateur.

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.

10.1.2) Indicateurs d'efficacité : efficacité finale (final endpoint), efficacité intermédiaire (intermediate endpoint) et efficacité de substitution (surrogate endpoint)

On distingue dans l'évaluation médicale les critères finaux (espérance de vie, vie sauvée, amélioration fonctionnelle, événements cliniques évités) et les critères de substitution, qui sont des critères dont il a été démontré que leur amélioration conduit in fine à l'amélioration des critères de santé (par exemple : réduction du niveau tensionnel ou du taux de cholestérol). A défaut de critères de substitution, on utilisera des critères intermédiaires, pour lesquels ce lien n'a pas été démontré.

L'utilisation d'indicateurs d'efficacité intermédiaire dans une évaluation économique soulève deux sortes de difficultés :

- une difficulté de comparaison : seuls les traitements ayant un impact sur le critère intermédiaire choisi pourront être comparés entre eux, ce qui exclut les traitements qui agissent sur d'autres paramètres mais qui ont néanmoins des effets sur la survenue des événements finaux ;
- une difficulté d'interprétation économique d'une variation d'efficacité sur le critère intermédiaire : il est difficile de savoir ce que signifie en termes d'efficacité la valeur d'un abaissement de 20% de l'un de ces paramètres.

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.

10.2) LA QUALITE DE VIE

10.2.1) Définition de la qualité de vie liée à la santé

« La qualité de la vie se définit comme la *perception par les individus* de leur état de vie, dans le contexte culturel et dans le système de valeurs dans lequel ils vivent, relativement à leurs espérances, standards et intérêts »⁵.

Il est préférable cependant dans le domaine de la santé de se restreindre à l'analyse de la *qualité de vie liée à la santé* (*health related quality of life*) ; on ne retient que les éléments qui sont associés à la santé et à la prise en charge du patient.

L'intérêt pour l'évaluation de la qualité de la vie liée à la santé s'est fortement accru, tant auprès des chercheurs, que des professionnels de santé ou des décideurs publics. Elle permet d'ajouter aux critères d'évaluation purement médicaux (souvent intermédiaires) des critères subjectifs sur les plans physique, social, affectif, etc. Elle fournit donc une appréciation du patient (ou d'un membre de la société) sur les diverses conséquences de la maladie et de sa prise en charge. La qualité de la vie est un critère de résultat légitime dans une évaluation économique.

L'évaluation de la qualité de vie renvoie à une vision de la santé moins restrictive que celle de l'« absence de maladie », ce qui fait qu'elle est particulièrement adaptée dans le cas des pathologies chroniques ou récurrentes.

Deux approches proposent des méthodes qui intègrent la qualité de vie :

- l'approche psychométrique qui produit des mesures de qualité de vie à partir de questionnaires (recommandations 22 et 23) ;
- l'approche économique qui produit des mesures d'utilité à partir de méthodes de révélation des préférences (recommandations 24 et 25).

L'évaluation de la qualité de la vie offre une approche pertinente et validée pour la plupart des pathologies ou processus de soins alors que les méthodes de révélation des préférences font encore l'objet de nombreux débats théoriques.

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.

10.2.2) Mesure de la qualité de vie : l'approche psychométrique

10.2.2.1) Conditions d'utilisation

Un outil d'évaluation de la qualité de vie est constitué d'un support permettant de décrire les états de santé et d'une procédure de calcul permettant d'associer une valeur numérique qualitative à l'état de santé. Lorsqu'un outil est choisi, les conditions d'utilisation doivent être respectées, particulièrement : la population-cible, la pathologie, le mode d'administration, les règles de calcul du score et les règles d'interprétation des résultats.

L'intérêt croissant porté à la mesure de la qualité de vie liée à la santé a engendré le développement d'un nombre très important d'outils, dont la qualité et la documentation peuvent être très variables. Une recherche bibliographique approfondie⁶ sur la population ou la pathologie considérée doit être systématique.

⁵ Définition de l'O.M.S., citée par J. Orley, Paris, 1996.

⁶ Les trois principales bases de données bibliographiques répertoriant la grande majorité des publications traitant de qualité de vie sont Medline, Pascal et Embase. Mots clés: Health Quality / Quality of Life / pathologie ou sous-population considérée.

Pour juger véritablement de la qualité d'un outil, il est nécessaire de disposer des publications originales, bien que celles-ci soient souvent incomplètes. Dans ce cas, il est vivement recommandé de contacter les développeurs de l'instrument pour leur demander dans quelles circonstances il a été élaboré⁷, s'il a déjà été utilisé, s'il est libre de droit, mais surtout, si l'instrument a déjà été testé et s'il s'est avéré valide (*validity*), fiable (*reliability*) et sensible (*sensitivity*).

Validité : une mesure est dite valide lorsque la part du biais (l'erreur systématique de mesure) est faible. La validité interne traduit que l'on mesure effectivement ce que l'on est sensé mesurer (validité de contenu, validité de critère, validité de construit). La validité externe indique dans quelle mesure les conclusions d'une étude peuvent être généralisées à d'autres populations.

Fiabilité : une mesure est dite fiable, si l'erreur aléatoire de mesure est faible ; la variabilité de la mesure s'explique alors bien par la variabilité du critère. On distingue généralement plusieurs propriétés minimales à remplir.

- Cohérence interne : propriété selon laquelle les items mesurant le même attribut produisent des scores fortement corrélés (indice alpha de Cronbach).
- Reproductibilité : l'outil est testé sur un échantillon identique à deux périodes différentes, pour voir si les résultats sont stables dans le temps (méthode du test/retest).
- Fiabilité inter-observateur : les questionnaires non auto-administrés sont testés sur un échantillon identique par deux interrogateurs différents, pour voir s'il est sensible à l'interviewer.

Sensibilité : capacité d'un instrument à détecter des variations de la qualité de vie sur une période donnée.

Lorsqu'une version française d'un instrument développé à l'étranger est utilisée, elle doit avoir été transposée non seulement au sens linguistique, mais aussi au sens culturel. Ainsi, un instrument francophone développé au Québec ne sera peut-être pas directement adapté à la culture française.

On distingue parmi les différents instruments les index, qui permettent de calculer un score global, et les profils, qui fournissent un score pour chacune des différentes dimensions explorées de la qualité de vie, sans les combiner en un score unique. Il est indispensable de se conformer strictement à la procédure de scoring décrite dans le manuel d'utilisation de l'instrument, en particulier il ne faut pas chercher à agréger un profil.

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.

10.2.2.2) Mesure de la qualité de vie : les instruments générique et spécifique

On a l'habitude de distinguer les instruments d'évaluation selon leur caractère générique ou spécifique.

Les questionnaires génériques de qualité de vie sont des instruments élaborés pour correspondre à un large spectre de traitements ou de pathologies avec des degrés de sévérité différents, au contraire des instruments spécifiques qui sont réservés à une pathologie particulière.

Chaque approche possède ses avantages et inconvénients, entre lesquels il faut arbitrer.

Approches	Forces	Faiblesses
Générique	Détecte les effets différentiels d'une intervention sur les différentes dimensions de la vie. Comparaisons entre différents états de santé ou populations.	Peut masquer un élément clé Faible sensibilité (nécessite un gros échantillon)
Spécifique	Sensibilité clinique Sensibilité temporelle	Suivant la nature de la spécificité, ne permet pas la confrontation de : <ul style="list-style-type: none"> - dimensions différentes ; - populations différentes ; - d'états de santé différents

D'après Guyatt, 1995

⁷ Généralement, l'acceptabilité d'un questionnaire est plus importante s'il a été généré par des entretiens auprès des patients que s'il a été généré sur avis d'experts.

Dans la mesure où ils ont des forces complémentaires, il est préférable d'associer un instrument spécifique et un instrument générique, par exemple pour étudier des aspects non explorés d'une échelle par rapport à l'autre.

Cependant, leur association systématique n'est pas toujours possible d'un point de vue pratique car elle peut compromettre l'acceptabilité globale de l'étude en la rendant plus lourde. Le choix définitif du type de questionnaire dépend alors directement de l'objectif de l'étude.

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 génériques 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.

10.2.3) L'utilité

En économie, la modélisation des préférences d'un agent s'effectue par une relation binaire définie sur les objets proposés à l'agent ; cette relation du type « est préféré ou indifférent à » est appelée relation de préférence. Dans certains cas définis par une axiomatique, il est possible de représenter cette relation de préférence par une fonction d'utilité.

Dans le domaine de la santé, l'utilité⁸ exprime donc les préférences des individus (patients, population générale) à l'égard des différents états de santé. Les méthodes développées par les économistes de la santé permettent de révéler ces préférences au travers de choix individuels⁹.

10.2.3.1) Définition de l'utilité

Il existe 3 types d'utilité :

- **L'utilité cardinale** (ou de ratio) est censée mesurer des intensités absolues de satisfaction (si l'utilité de A est égale à 3 fois l'utilité de B, l'état A est « 3 fois meilleur » que l'état B) ;
- **L'utilité d'intervalle** (ou neumannienne) est censée mesurer des intensités relatives, c'est-à-dire des variations de satisfaction (on pourra juste dire que l'écart entre l'utilité associée à l'état A et l'utilité associée à l'état B est trois fois supérieur à l'écart entre les utilités respectivement associées à l'état B et à l'état C) ;
- **L'utilité ordinale** n'autorise que l'utilisation de la relation d'ordre des nombres réels.

10.2.3.2) Mesure de l'utilité : les méthodes de révélation des préférences

1 - Les méthodes de loteries (standard gamble)

Cette méthode consiste à demander à un sujet s'il préfère le contrat n°1 suivant : « vivre avec certitude le reste de sa vie avec un handicap donné » ou le contrat n° 2 suivant : « subir une intervention qui lui permettra de vivre le reste de sa vie sans handicap en acceptant un risque 1-p de décéder ». On demande alors au sujet de déterminer la valeur p pour laquelle les contrats 1 et 2 lui paraissent équivalents. Cette valeur est supposée être l'utilité d'intervalle associée au handicap considéré. Pour cela, il est nécessaire d'admettre trois conditions :

1. l'utilité de vivre sans handicap est égale à 1 et l'utilité de la mort est égale à 0 ;
2. les préférences de l'individu sur ces contrats peuvent être représentées par une fonction d'utilité d'intervalle (existence d'une structure neumannienne sur l'ensemble des contrats et neutralité au risque en probabilité) ;
3. l'utilité du handicap, dans un contexte où l'incertitude est absente, est égale à l'utilité du contrat n°1, alors que celle-ci est déterminée dans un contexte d'incertitude (cf neutralité au risque en probabilité).

En particulier, la condition de neutralité de l'individu au risque en probabilité n'étant que rarement vérifiée, elle compromet la validité de cette technique de mesure.

⁸ Il s'agit ici de l'utilité au sens économique du terme. L'utilité économique se distingue du concept d'utilité médicale qui apprécie le bien fondé d'un traitement pour un patient dans des circonstances données.

⁹ Les méthodes de scoring additives des échelles psychométriques peuvent aussi être considérées comme une forme de révélation des préférences du concepteur de l'outil par la sélection des items et de la pondération (une fonction de scoring est, stricto sensu, une fonction d'utilité). L'analyse factorielle elle-même peut être interprétée comme une forme de préférence de l'auteur s'il choisit d'adopter l'échelle produite par cette analyse.

2 - Le marchandage temps (*time trade-off*)

Il s'agit de demander à un individu, dont l'espérance de vie est de t années, s'il préfère vivre ce temps t avec un handicap ou avoir une durée de vie inférieure mais en bonne santé. On cherche ainsi à révéler la durée t^* telle que : vivre un temps t^* en bonne santé est équivalente pour l'individu à vivre un temps t avec le handicap considéré.

Le quotient $\frac{t^*}{t}$ est alors supposé être la valeur de l'utilité d'intervalle attribuée au handicap considéré. Comme dans

le cas de la méthode des loteries, la méthode du marchandage temps repose sur une axiomatique stricte qui requiert que la fonction d'utilité sur les couples (durée ; état de santé) soit égale au produit de la durée par l'utilité de l'état de santé. On pose par ailleurs, la stabilité des préférences dans le temps et la constance des taux de substitution des durées¹⁰.

3 - Les échelles graduées (*visual analog scale*).

Cette méthode consiste à faire choisir directement au sujet l'état de santé où il se trouve sur une échelle normée. D'utilisation facile, aucune propriété métrique autre qu'ordinaire ne peut être cependant supposée.

4 - Les systèmes de classification des états de santé

Ils proposent de calculer l'utilité attachée à un état de santé à partir des utilités attachées aux dimensions composant cet état de santé ; ces utilités sont issues d'enquêtes en population générale grâce aux méthodes de révélation des préférences. L'utilité calculée est alors une évaluation de l'indice de préférence moyen qui serait attribué à cet état de santé par un échantillon aléatoire du grand public.

Les principales méthodes sont le QWB (*Quality of Well-Being*), le HUI (*Health Utility Index*) et l'Euroqol ; des validations des versions françaises sont proposées pour ces deux dernières. Ces méthodes cumulent les hypothèses des techniques qui ont servi à déterminer les scores d'utilité en population générale (les loteries ou le marchandage-temps) et les hypothèses de l'utilité multi-attribut, mais elles ont l'avantage de la simplicité dans la mesure où elles évitent les enquêtes en population.

Au delà de la révélation des préférences individuelles, et de sa soumission à une axiomatique stricte, ces quatre approches posent le problème de l'agrégation des préférences individuelles en une préférence collective, puisque aucune procédure permettant de le faire n'existe. Les auteurs se contentent dans leurs travaux de réaliser des moyennes ou des médianes d'utilité. En dehors de tout fondement, celles-ci ne peuvent dès lors pas asseoir une décision publique.

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.

10.3) QALY (QUALITY ADJUSTED LIFE YEARS)

Le résultat d'une stratégie thérapeutique peut être décrit selon plusieurs dimensions : économique, efficacité thérapeutique, impact sur la qualité de vie, sont les dimensions les plus utilisées. L'efficacité économique d'une stratégie thérapeutique est, comme il est d'usage, mesurée par le quotient de la valeur des moyens qu'elle a mobilisée par une mesure du résultat qu'elle a permis d'atteindre. Lorsque le résultat est décrit par plus d'une dimension, le calcul de ce quotient n'est envisageable que lorsqu'il est possible de réaliser une agrégation pertinente de ces dimensions en un critère numérique unique. L'approche QALYs (Quality Adjusted Life Years) propose une procédure qui vise à agréger un critère d'efficacité, en général le nombre d'années de vie gagnées, avec un critère mesurant la qualité de vie dans laquelle ces années seront vécues.

¹⁰ Ce dernier axiome implique que le pourcentage d'années de vie que l'on est prêt à sacrifier pour passer d'un état de santé à un autre de meilleure qualité est indépendant de l'espérance de vie.

Par définition, et dans sa forme la plus simple, la spécification de la fonction d'agrégation proposée par l'approche QALYs, pour agréger un gain de t années de vie, dans un état de vie dont la qualité est mesurée par le nombre q , est égale au produit de la durée t par la qualité de vie q .

Cette spécification a l'avantage de permettre une interprétation simple du résultat obtenu. En effet si nous convenons que l'état de vie « bonne santé » a pour mesure de qualité l'unité, il est aisé de constater que une année vécue dans une qualité mesurée par le nombre q et que q années vécues en « bonne santé » conduisent à un même résultat agrégé. On énonce alors que vivre une année dans un état de vie dont la qualité est mesurée par le nombre q , est équivalent à vivre q années en bonne santé. Il est d'usage de dire que vivre une année dans une qualité mesurée par le nombre q procure $1 \times q = q$ QALYs.

Dans sa forme la plus élaborée la fonction d'agrégation utilisée par l'approche « QALYs » pour agréger une chronique « durées-qualités de vie » décrite par la suite $S=(q_1, \dots, q_t, \dots, q_s)$, où q_t est la mesure de la qualité de vie durant l'année

t , est définie par :
$$Q(S) = \sum_{t=1}^{t=s} \frac{q_t}{(1+r)^t}$$
 où r est le taux d'actualisation des années de vie.

10.3.1) Pour ou contre les QALYs

L'approche QALYs est très largement utilisée dans la littérature internationale et elle constitue même, dans certains pays comme le Royaume-Uni ou le Canada, l'outil de référence exigé par les instances publiques en matière d'évaluation économique des technologies médicales. Des valeurs seuils ont été définies. Le NICE britannique considère ainsi qu'une valeur de £ 30.000 par QALY constitue une limite d'acceptabilité pour l'utilisation des nouveaux traitements.

Plusieurs facteurs expliquent le succès international des QALYs. Il se présente comme une extension simple et intuitive du nombre d'années de vie gagnées qui intègre une appréciation subjective de la qualité des années de vie sauvées. Il prend ainsi en compte (au moins potentiellement !) le point de vue des patients. Face au coût, mesure unidimensionnelle de la rareté des ressources mobilisées par une technologie médicale, le gain en QALYs se présente comme une mesure unidimensionnelle de son efficacité médicale. Il s'agit d'un critère d'efficacité « finale » (par opposition aux critères intermédiaires) qui tend à mesurer comment les traitements affectent concrètement la vie des patients dans ses deux dimensions quantitative et qualitative. Enfin, le QALY se veut universel. Toute nouvelle technologie, quel que soit son domaine d'application, est *a priori* susceptible de donner lieu à un calcul de QALYs dans la mesure où elle touche nécessairement à la quantité et/ou à la qualité de vie. Le QALY permet ainsi l'ordonnement sur un axe unique d'efficacité (leur rapport coût – QALYs gagnés) de toutes les techniques médicales, quel que soit leur domaine d'application, orientant ainsi les priorités de santé publiques d'une manière qui se veut rationnelle et transparente.

Pourtant, en dépit de ces avantages, les QALYs ont suscité, dès l'origine, des débats passionnés et passionnels dans la communauté des économistes de la santé, certains allant même jusqu'à y voir un « non-sens obscène » (selon le jeu de mot de Roy CARR-HILL, « This « sQualyd » Nonsense »¹¹) !

Le débat sur les QALYs est complexe parce qu'il articule différents registres empirique, théorique, éthique, qui tous mériteraient une attention particulière. Certaines critiques, bien qu'adressées spécifiquement aux QALYs, portent en réalité sur un objet beaucoup plus large et visent, au-delà des QALYs, la philosophie même du calcul économique ou des aspects généraux de la théorie économique qui sont parfois mobilisés dans la construction des QALYs. C'est le cas par exemple de la théorie de l'utilité ou de la théorie de « l'utilité espérée » de von Neuman-Morgerstern (vNM).

Si l'on en critique les fondements philosophiques et théoriques, le QALY n'a évidemment pas lieu d'être.

Clairement, le recours aux QALYs présuppose l'adhésion à des principes philosophiques et méthodologiques qui peuvent tout à fait être légitimement contestés, que ce soit dans le cadre d'options philosophiques ou dans celui d'un débat scientifique interne à la science économique.

Le succès des QALYs au Royaume-Uni s'explique sans doute par la domination quasi-culturelle d'options philosophiques et méthodologiques considérées ailleurs (et notamment en France) avec plus de méfiance¹².

Pour commode que ce soit, renvoyer ainsi le débat sur les QALYs vers un référentiel épistémologique extérieur n'est pas satisfaisant.

Il convient donc de résumer aussi brièvement et, espérons-le, aussi clairement que possible les termes du débat – à l'exception de la question de l'actualisation traitée dans une autre recommandation – dans le seul but d'éviter un usage naïf et potentiellement dangereux des QALYs.

¹¹ Carr Hill R., 1993.

¹² Moatti J.-P., et al., 1995.

10.3.2) Les problèmes méthodologiques

10.3.2.1) La spécification de la fonction d'agrégation : forme multiplicative, référentiel

Ces problèmes portent tout d'abord sur la pertinence de la spécification de la fonction d'agrégation qui est utilisée. Par souci de simplicité nous les illustrerons par deux exemples.

Le premier illustre la non robustesse de la spécification de la fonction d'agrégation par un produit.

Supposons que nous souhaitions comparer les deux résultats suivants : « gagner 10 années de vie à passer dans un état dont la qualité est évaluée à 0,3 » et « gagner 20 années de vie à passer dans un état dont la qualité est évaluée à 0,1 »
Le premier résultat procure $10 \times 0,3 = 3$ QALYs, le second $20 \times 0,1 = 2$ QALYs donc « gagner 10 années de vie à passer dans un état dont la qualité est évaluée à 0,3 » est meilleur en terme de QALYs que « gagner 20 années de vie à passer dans un état dont la qualité est évaluée à 0,1 »

Changeons l'origine de la mesure de la qualité de vie par une simple translation d'amplitude 0,4, les mesures de qualités de vie précédentes sont maintenant égales à 0,7 et 0,5. Le nombre de QALYs calculé pour le premier résultat est alors égal à 7 et celui du second résultat à 10. On obtient un classement opposé au précédent alors que les résultats qui sont comparés sont exactement les mêmes !

Il est clair que la spécification multiplicative est extrêmement sensible aux changements affines du repère dans lequel sont mesurés ses arguments. Si le classement pertinent des résultats est le premier obtenu, il est nécessaire, pour conserver ce classement après translation, de modifier la spécification de la fonction d'agrégation et d'utiliser la fonction durée x qualité – 0,4x durée qui elle n'est pas multiplicative.

Mais quel est le classement pertinent ?

Cet exemple très simple montre une manipulation possible des conclusions fournies par les QALYs.

Le second exemple illustre la prudence avec laquelle les pouvoirs publics doivent énoncer des normes.

Le NICE britannique considère ainsi qu'une valeur de £ 30.000 par QALY constitue une limite d'acceptabilité pour l'utilisation des nouveaux traitements.

Imaginons qu'un traitement coûte 270 000 £ et qu'il permette à un patient une espérance de vie de 10 années dans l'état de santé « Importante limitation de l'activité professionnelle ...et douleur morale moyenne » de la grille de Rachel ROSSER et Paul KIND¹³.

Si nous nous référons à cette grille et si nous utilisons celle construite à partir d'un échantillon d'infirmières, cet état de santé a pour score 0,963 d'où un coût par QALY de 28 037,38 £, le traitement est donc acceptable par NICE.

Si nous nous référons à la grille construite à partir d'un échantillon de médecins, cet état de santé a pour score 0,760 d'où un coût par QALY de 35 526,32 £, le même traitement n'est donc plus acceptable par NICE.

On notera que pour ces deux grilles l'état équivalent à la mort, qui a pour score 0 et celui équivalent à la bonne santé, qui a pour score 1, sont les mêmes.

Le bon sens conduit à la conclusion suivante :

Tout résultat ou norme présenté sous la forme d'un coût par QALY doit impérativement donner la définition du référentiel dans lequel il a été calculé et dans lequel la spécification de la fonction d'agrégation sous forme d'un produit a été validée.

Les résultats présentés sans définition du référentiel et sans validation de la spécification de la fonction d'agrégation sous forme de produit ne peuvent donc servir de base à une décision publique.

Dans l'hypothèse où cette validation a été présentée, toute tentative de comparaison des résultats d'une étude présentée sous forme de coût par QALYs avec ceux d'une autre étude utilisant ce même type de ratio doit être effectué dans le même référentiel et avec le même instrument de mesure de la qualité de vie.

10.3.2.2 - Les instruments de mesure de la qualité de vie utilisés dans les QALYs

1) La grille de Rosser

La question de savoir d'où viennent les coefficients de qualité de vie q_t qui pondèrent chaque année de vie gagnée est essentielle. Les travaux initiaux de Allan WILLIAMS utilisaient des poids dérivés d'une échelle bi-dimensionnelle due à Rachel ROSSER et Paul KIND¹⁴, qui affectait un coefficient défini par deux valeurs de référence (0 pour la mort et 1 pour la bonne santé) à des états de santé décrits sur une double dimension handicap-douleur. Les coefficients provenaient eux-mêmes d'une enquête psychométrique menée en milieu hospitalier auprès de médecins, d'infirmières et de patients. Les auteurs ayant publié leurs sous-échelles par types d'interviewés, il est facile de constater les grandes différences dans l'évaluation des coefficients selon la position dans le système de soins : les évaluations menées avec les poids des médecins, des infirmières ou des patients ne coïncident pas¹⁵. Il convient donc d'être averti que des

¹³ Gudex C., Kind P.

¹⁴ Williams A., 1998.

¹⁵ Soit un état de santé défini de la manière suivante: 3 ans avec un léger dysfonctionnement social et aucune douleur morale, suivi de 2 ans avec une importante limitation de l'activité et une douleur morale moyenne, suivi de 2 ans avec une importante limitation de l'activité et une douleur

divergences de point de vue peuvent conduire à de graves distorsions dans le classement des états de santé, dès lors que les échelles utilisées sont hétérogènes et proviennent de sources différentes. Ceci est une limite importante à la prétention à l'universalité des QALYs.

2) Loteries et TTO

Des versions ultérieures et plus sophistiquées des QALYs ont utilisé des méthodes fondées sur la théorie du choix rationnel pour dériver les poids, et notamment la méthode des loteries ou celle du Time-Trade-Off (TTO). Les QALYs sont même parfois identifiés avec ces méthodes. C'est en fait abusif car on peut en effet parfaitement calculer des QALYs à l'aide de « poids psychométriques ». Le recours à des méthodes fondées sur les techniques de révélation des préférences se justifie néanmoins par le souci de compatibilité avec les principes de la théorie économique du bien-être et du choix rationnel. Les coefficients qu'elles produisent sont en effet des « utilités » au sens de la théorie économique¹⁶ et les QALYs s'écrivent alors comme la somme actualisée des utilités attachées aux états de santé

successifs sur la survie du patient, soit $Q(S) = \sum_{t=1}^{t=e} \frac{u(q_t)}{(1+r)^t}$, où $u(q_t)$ est l'utilité attachée à l'état de santé de l'année

t.

La méthode des loteries et celle du TTO ne sont pas équivalentes et peuvent donner des résultats différents pour les mêmes états de santé. La méthode des loteries est directement dérivée de la théorie de l'utilité espérée de vNM¹⁷. Son utilisation est donc dépendante de l'acceptation des postulats de cette dernière. Elle repose en effet sur une axiomatique du « comportement rationnel » face au risque dont on a contesté la validité sur la base de l'observation expérimentale des comportements réels. Cette discussion est au cœur de la recherche théorique, tout un courant – notamment les auteurs travaillant sur l'utilité « dépendant du rang » des conséquences –, tentant de concilier des règles normatives d'expression de la rationalité face au risque avec la réalité du comportement des agents.

Même si on accepte l'axiomatique « neumanienne », il faut encore veiller à ce que les utilités que l'on compare aient bien été dérivées dans un même système de référence. Comme elles sont définies à une transformation linéaire (affine) près, les comparaisons d'utilité n'ont guère de sens si les définitions des états correspondants aux 0 et au 1 diffèrent¹⁸. Contrairement aux loteries, la méthode TTO ne se situe pas dans le cadre du choix dans l'incertain¹⁹. Elle est par ailleurs plus simple à mettre en œuvre et c'est sans doute la raison pour laquelle elle apparaît comme la méthode recommandée par certains des défenseurs des QALYs, notamment les économistes de l'université McMaster au Canada. Elle suppose néanmoins l'adhésion aux principes du comportement rationnel en général et comporte des faiblesses méthodologiques certaines. En effet, cette méthode de mesure de l'utilité d'un état de santé repose sur l'hypothèse que pour un individu l'utilité du couple t années de vie gagnées dans l'état de santé s est égal au produit de la durée par l'utilité $v(s)$ de l'état de vie s (c'est la spécification des QALYs) sans jamais préciser dans quel référentiel cette utilité est mesurée et sans avoir validé le choix de cette spécification en terme multiplicatif.

10.3.3) Les problèmes conceptuels

10.3.3.1 - Le QALY comme utilité

Une ultime conception des QALYs consiste à les considérer eux-mêmes comme des utilités et à postuler qu'un agent préfère un état de santé S à un autre S' si et seulement si le nombre de QALYs associé à S est supérieur à celui associé à S'²⁰. Cette promotion du QALY au rang d'utilité « à part entière » en change la nature et la signification. D'un indicateur sophistiqué d'état de santé, le QALY devient une mesure du bien-être du patient relatif à sa santé. On peut alors considérer que la maximisation du nombre de QALYs est l'objectif ultime des systèmes de santé ! Le QALY comme utilité rencontre deux types de difficultés, pratiques et théoriques. Sur le plan empirique, il est possible de trouver des contre-exemples montrant qu'un individu rationnel peut parfaitement préférer un état de santé qui « procure » moins de QALYs qu'un autre. MEHREZ et GAFNI en ont donné des exemples²¹. Ils concluent à la

morale importante. Si on évalue cet état de santé en retenant les coefficients des médecins donnés par l'échelle de ROSSER, on aura : $v(\text{QALYs}(\text{Médecins})) = 3 * 0,981 + 2 * 0,760 + 2 * 0,187 = 4,837$. Si on adopte maintenant le point de vue des infirmières, on aura pour le même état : $\text{QALYs}(\text{Infirmières}) = 3 * 0,992 + 2 * 0,963 + 2 * 0,911 = 6,724$.

¹⁶ Voir Annexe VII

¹⁷ Voir Annexe VII

¹⁸ Si on note u est une fonction d'utilité vNM, on a vu que toute utilité v définie par $v = au + b$, où a est un nombre réel strictement positif et b est un réel quelconque, est une représentation de la même préférence. Il est alors facile de montrer que pour 2 couples (t, s) et (t', s') tels que $t.u(s) > t'.u(s')$, c'est-à-dire que le couple (t, s) est strictement préféré au couple (t', s') , on peut trouver b tel que : $t.v(s) < t'.v(s')$. Le couple (t', s') est alors strictement préféré au couple (t, s) .

¹⁹ Pour ne pas entraîner de confusion, certains auteurs proposent de réserver le mot d' « utilité » aux coefficients dérivés selon la méthode des loteries et celui de « valeur » aux coefficients dérivés dans le cadre de choix « dans le certain »

²⁰ Pour une présentation plus technique de cette question, cf. Le Pen C, Théorie de l'utilité et mesure des états de santé, Analyse et Prévision, 129-130 : 37-54, 1997.

²¹ Considérons les deux perspectives de vie sur 5 ans suivantes $S = (0,8 ; 0,8 ; 0,8 ; 0,8 ; 0,8)$ et $S' = (0,1 ; 1 ; 1 ; 1 ; 1)$. Dans le cas S, le patient souffre d'un handicap qui diminue sa qualité de vie de 20% et le nombre de QALYs (non actualisé) est de 4. Ce patient peut subir une opération très douloureuse qui lui réduira très fortement la qualité de vie l'année de l'opération, mais qui restaurera une qualité de vie normale sur les 4 années suivantes. Le nombre de QALYs associé à cette situation S' est 4,1. Théoriquement, si le QALY est une utilité, le patient devrait choisir S' qui est censé lui donner un plus grand bien-être. En fait il est tout à fait possible qu'un patient informé et rationnel choisisse S pour éviter le

nécessité de rejeter les QALYs en tant que mesure d'utilité au profit des Healthy Years Equivalents (HYE). Nous y reviendrons. Sur le plan théorique, la question est de savoir à quel système d'axiomes doivent obéir les préférences des agents pour qu'elles puissent être correctement représentées par des QALYs. Cette question, complexe, a été traitée par PLISKIN et al. dès 1980²². On peut la résumer ainsi. Supposons pour simplifier que les états de santé soient décrits par deux paramètres, la durée de vie t et la qualité de vie q , qui est supposée uniforme sur toute la période. Supposons que l'on se situe « dans l'incertain », c'est-à-dire qu'une distribution de probabilité soit définie sur les différents états de santé. Supposons qu'un agent soit capable d'exprimer des préférences sur ces états de santé, c'est-à-dire qu'il possède une fonction d'utilité qui lui donne le bien-être associé à chaque état de santé $U(t,q)$. Cette fonction d'utilité est particulière : il s'agit en effet d'une fonction d'utilité de type vNM avec deux paramètres, t et q (au lieu d'un seul comme les fonctions de vNM vues précédemment). Dans la littérature on appelle ce type de fonction des « fonctions d'utilité multiattributs » et la théorie en a été faite par des auteurs comme KEENEY, LUCE, RAIFFA, etc. dans les années 60-70²³. La question qui se pose alors est de savoir dans quelle mesure : 1°) une telle fonction existe ; 2°) elle peut s'écrire sous la forme habituelle des QALYs, c'est-à-dire dans quelle mesure on a $U(t,q)=t.u(q)$, soit le produit d'une durée de vie par l'utilité (vNM) de la qualité de vie. PLISKIN et al. montrent que ce résultat nécessite de poser toute une série d'axiomes : que les préférences sur les loteries définies sur les états de santé sont « neumanniennes », qu'il existe une « mutuelle indépendance en utilité » entre les deux arguments, que le taux de substitution durée-qualité est constant et que l'agent est neutre au risque par rapport à la longévité. Ces axiomes sont très restrictifs et récemment DURU et al. ont produit des données expérimentales montrant que des agents supposés rationnels n'y obéissent pas nécessairement²⁴.

10.3.3.2 - QALYs et HYE

Les difficultés pratiques et théoriques de la construction des QALYs comme utilités ont conduit des auteurs canadiens, BIRCH, MERHEZ et GAFNI, à proposer une mesure alternative des états de santé, les Healthy Years Equivalents (HYE)²⁵. Ces auteurs admettent l'existence d'une fonction d'utilité multiattribut sur les états de santé $U(t,q)$, mais ils ne cherchent pas à lui donner une forme fonctionnelle bien définie. Ils cherchent au contraire à résumer l'information contenue dans la fonction $U(.)$ par un indicateur unique, les HYE, qu'ils définissent de la manière suivante : si h mesure les HYE associés à l'état de santé (t,q) , h est tel que $U(h,1)=U(t,q)$. En d'autres termes, les HYE sont le nombre d'années de vie en bonne santé ($q=1$) qui donnent la même utilité que l'état de santé S , de durée de vie t et de qualité uniforme q . Attention : quoique la ressemblance formelle soit forte, il ne s'agit pas d'un résultat analogue à celui d'un TTO. On se situe en effet dans le cadre théorique de la fonction d'utilité multiattribut en situation d'incertitude et non dans le cadre du choix « certain ». L'avantage de cette formule, aux yeux de ces promoteurs, est de ne pas entraîner d'inversion de préférences. Si un agent préfère un état de santé (t,q) à un autre (t',q') , donc si $U(t,q) > U(t',q')$, alors on aura nécessairement $h > h'$, compte tenu des propriétés de la fonction U . On a vu que ce n'était pas nécessairement le cas avec les QALYs. Mais d'une part, la mesure empirique des HYE est difficile et nécessite un mécanisme très complexe de double loterie²⁶. D'autre part, la fonction d'utilité requiert toujours l'adhésion aux hypothèses « neumanniennes » dont on a vu qu'elles n'allaient pas de soi.

10.3.3.3 - QALY et agrégation des préférences

Un point délicat – quoique souvent négligé – est l'agrégation des QALYs. Dans les travaux empiriques, le résultat d'un traitement est présenté le plus souvent sous la forme d'un gain total de QALYs sur une population de patients ou, ce qui revient au même, sous la forme d'un gain moyen par patient. Peut-on ajouter les QALYs de différents individus ? Quelle est la légitimité de l'agrégation ? Le QALY d'un individu est-il comparable et additionnable au QALY d'un autre individu ? L'addition semble poser *a priori* peu de problèmes : il semble légitime d'additionner des QALYs, comme il est légitime d'additionner des années de vies (deux individus survivant l'un 5 ans et l'autre 10 ans « produisent » 15 années de survie, soit 7,5 ans en moyenne). En tant qu'ils intègrent une dimension subjective, l'addition des QALYs ne va cependant pas de soi. La subjectivité d'un individu est-elle additionnable à celle d'un autre individu ? On connaît les difficultés des comparaisons interpersonnelles d'utilité en économie. En pratique, l'addition des QALYs n'est légitime que si l'on admet l'hypothèse additionnelle de l'existence d'un « individu représentatif » dont les préférences sont identiques à celles de la collectivité. Cette hypothèse n'est rigoureusement admissible que si tous les individus de la collectivité sont identiques ! Cela conduit à un *caveat* important : il est dangereux – et pas très rigoureux – d'utiliser des QALYs agrégés dans des populations dont on ne s'est pas assuré au préalable qu'elles étaient homogènes quant à leurs préférences vis-à-vis des états de santé.

10.3.3.4) La dimension distributive des QALYs

désagrément du traitement douloureux. Voir sur ce point : Mehrez A., Gafni A., 1989.

²² Pliskin J. et al, 1980.

²³ Keeney R.L., Raiffa H., 1976.

²⁴ Duru G. et al, 2002.

²⁵ Mehrez A., Gafni A., 1989.

²⁶ Mehrez A., Gafni A., 1991.

Les QALYs posent également un problème redistributif qui tient d'ailleurs moins au QALY en tant que tel qu'à son usage dans le calcul coût-efficacité. Le coût par QALY sera toujours inférieur, à coût égal, pour un patient jeune (dont l'espérance de vie est grande) à celui d'un patient âgé ; il sera inférieur pour un patient en bonne santé (dont la qualité de vie est grande) à celui d'un patient handicapé. Des programmes de santé visant des populations jeunes en bonne santé seront donc favorisés par rapport à des programmes de coût sensiblement égal visant des populations âgées et/ou en mauvaise santé²⁷. Certains auteurs ont suggéré de pondérer les QALYs par un coefficient destiné à neutraliser ces effets discriminatoires : un QALY d'une personne âgée ou défavorisée vaudrait par exemple davantage que celui d'une personne jeune ou favorisée. Cette option est contraire à ce qu'on appelle parfois le « principe de WILLIAMS » (Allan) selon lequel « *a QALY is a QALY, no matter who gets it* »²⁸. L'adhésion à ce principe d'éthique distributive égalitariste ne signifie pas que l'on ignore la dimension potentiellement discriminatoire du calcul de coût par QALY. Il traduit simplement, au moins dans l'esprit de WILLIAMS, l'absence de directives sociétales claires sur les priorités de santé²⁹. La morale égalitariste relève d'un certain point de vue de l'application du « principe de la raison insuffisante » à la distribution des bénéfices de santé. Il importe toutefois de garder en mémoire les possibles effets redistributifs dès lors que l'on compare des programmes portant sur des populations aux caractéristiques sociodémographiques différentes.

10.3.3.5) QALYs et utilitarisme

Un dernier point, qui, si on devait le traiter complètement, nous entraînerait très loin du cadre de ces recommandations, concerne le débat éthique sur l'utilisation des QALYs. L'usage des QALYs ne relève-t-il pas d'une démarche utilitariste contraire à la morale déontologique qui sous-tend l'éthique médicale ? La réduction d'une vie humaine à un nombre n'est-elle pas moralement inacceptable ? C'est la position soutenue par certains opposants aux QALYs, dont le plus célèbre est le philosophe John HARRIS³⁰. Selon ce dernier, plutôt que le recours à un immoral calcul de QALYs, seule une procédure de sélection aléatoire serait compatible avec la déontologie médicale s'il s'avérait qu'une ressource rare devait être allouée à certains patients plutôt qu'à d'autres. Mais comme le remarque à juste titre Allan WILLIAMS³¹, plus que le QALY, cette critique fondamentaliste condamne en fait toute démarche visant à l'établissement de priorités collectives dans les choix de santé. La solution de la loterie ne fait que déplacer le problème du choix des patients à traiter vers le choix de la procédure devant décider quels patients doivent être traités ! Et peu de personnes dans la société considéreraient que le tirage au sort est une procédure moralement « juste ». Finalement, il semble qu'il y ait danger à « sur-interpréter » les QALYs en en faisant une mesure du bien-être collectif en santé. Si, pour paraphraser WILLIAMS, le recours aux QALYs est clairement « conséquentialiste » (en ce sens qu'il met l'accent sur l'impact des soins sur la santé des patients mesurée en quantité et qualité de vie), il ne s'inscrit pas pour autant nécessairement dans une philosophie utilitariste, dont l'objectif serait la simple maximisation des gains de santé. Le recours au QALY comme critère local d'allocation des ressources en santé n'est sans doute incompatible avec d'autres options philosophiques que l'utilitarisme pour la définition de la justice sociale en santé, par exemple des options qui, au niveau global, mettraient l'accent sur l'équité du système. Si la critique des QALYs est légitime, il importe qu'elle porte sur ce qu'ils sont (un indicateur d'allocation des ressources à la construction théorique fragile et aux aspects distributionnels localement contestables) plutôt que sur ce qu'ils ne peuvent prétendre être (une mesure utilitariste de justice sociale en santé).

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 méthodologiques 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.

²⁷ On a cependant un effet discriminatoire du même ordre si on utilise un indicateur moins controversé comme le « coût par année de vie sauvée ».

²⁸ Williams A., 1992.

²⁹ « At present I am sticking uneasily to a QALY is a QALY is a QALY, pending further clarification of just how much extra weight is to be given to the favoured categories over the unfavoured ones », A. Williams, op. cit., 1992.

³⁰ Harris J., 1987.

³¹ Williams A., 1996.

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 seraient 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.

10.4) L'ÉVALUATION CONTINGENTE (WILLINGNESS TO PAY)

L'évaluation contingente permet de déterminer la disposition à payer (*willingness to pay*) d'un individu pour un bien sanitaire, en le plaçant dans la situation hypothétique d'un marché de la santé. C'est la méthode la plus cohérente avec les hypothèses de la théorie du bien-être. En répondant à des questions précises (cf ci-dessous), l'individu révèle le montant maximal qu'il est prêt à payer pour obtenir un certain bénéfice. Cette approche autorise l'intégration des préférences individuelles dans des analyses de type coût-bénéfice et permet d'exprimer en termes monétaires un jugement global sur l'état de santé, y compris en termes de qualité de vie¹¹.

Diverses méthodes sont possibles, par exemple le système des enchères et le système de la carte bancaire.

Le système des enchères fonctionne de la manière suivante : on propose à l'individu d'acheter le droit de profiter d'un bien à un prix fixé arbitrairement. S'il accepte, on augmente le prix progressivement jusqu'à ce qu'il refuse. Plus coûteuse que le système qui consiste à demander directement à l'individu de choisir entre plusieurs montants (système de la carte bancaire), elle est cependant probablement moins biaisée.

Les biais possibles sont liés à la conception du scénario qui présente les états de santé, à la non neutralité des valeurs monétaires proposées comme point de référence et, surtout, au non réalisme de la situation de marché que le répondant doit supposer.

Les méthodes de l'évaluation contingente dans le domaine de l'évaluation économique des interventions de santé en sont encore à un stade de développement expérimental, ce qui ne permet pas de les utiliser comme des instruments d'aide à la décision publique.

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 COUTS ET DES BENEFICES

11.1) LE PRINCIPE DE L'ACTUALISATION

Les effets et les coûts des protocoles d'intervention dans le domaine de la santé s'échelonnent parfois dans le temps sur un horizon donné plus ou moins long. La question de l'actualisation consiste à se demander ce que représente un effet ou un coût à une date t_1 relativement au même effet (en termes physiques ou en euros constants) ou au même coût (en termes physiques ou en euros constants) aujourd'hui en t_0 . Si l'on répond à cette question en considérant qu'il y a équivalence entre ces éléments quelle que soit leur date de survenance, l'actualisation n'est pas nécessaire (ou si l'on préfère le taux d'actualisation est égal à zéro). En économie, notamment quand il s'agit de comparer des coûts ou des résultats exprimés en monnaie, il est habituel d'actualiser en considérant que les décideurs accordent une préférence aux situations présentes (i.e. taux d'actualisation positif).

Ainsi, un revenu de S euros à la date t_1 (période annuelle suivant immédiatement la période t_0) aura une « valeur actuelle » $VA = S/(1+a)$ si a est le taux d'actualisation. Plus généralement, si le revenu S est obtenu seulement k années plus tard (période t_k) la valeur actuelle devient : $VA = S/(1+a)^k$.

Evidemment, cette procédure d'actualisation permet ensuite de comparer plus facilement les effets et les coûts échelonnés dans le temps et permet d'en faire l'agrégation. Inversement, l'agrégation sans précautions particulières d'effets ou de coûts de même nature dans le temps revient à adopter un taux d'actualisation nul.

11.2) FAUT-IL ACTUALISER LES RESULTATS DE SANTE ?

La question de l'actualisation des coûts et des bénéfices en santé est au cœur d'un débat soutenu qui n'a pas été – et ne sera peut-être jamais – tranché entre les économistes arguant que coûts et bénéfices (exprimés en termes monétaires ou physiques) doivent être actualisés pour tenir compte de la préférence pour le présent et ceux considérant qu'il n'est pas possible d'actualiser des bénéfices exprimés en termes non monétaires du fait de la non-transférabilité des résultats dans des actions de soin qui ont des effets irréversibles (mortalité).

En effet, l'actualisation des résultats n'a de sens que si le décideur peut réellement renoncer à une situation x à la date t pour choisir la situation y à la date $t + dt$. Ainsi, dans le cas de la santé, il devrait être en mesure, par exemple, de renoncer à l'objet « une année de vie immédiate » pour lui préférer « une année de vie dans cinq ans ». Cela n'a évidemment aucun sens au niveau individuel.

D'un point de vue collectif, le postulat de la transférabilité peut être justifié, y compris dans le cas d'effets irréversibles. Ceci suppose que le décideur soit en mesure d'évaluer l'état de santé d'une population à partir des états de santé des individus qui la composent. Cette question renvoie au problème plus général de la justification de l'addition « d'unités de résultat ». Ce problème de comparaison interindividuelle des états de santé, ou plus largement des utilités, n'est pas propre à l'actualisation mais il se double de l'introduction de la dimension temporelle dans le raisonnement, pouvant conduire lors de choix portant sur le long terme à des arbitrages intergénérationnels (Cf. Infra). En effet, retenu le principe de l'actualisation des résultats de santé signifie que le décideur est en mesure d'échanger « une certaine quantité d'années de vie pour une population X à une date donnée t » pour « une certaine quantité d'années de vie d'une population X' à une autre date t' ». Il est clair que cette démarche sous-tend des jugements de valeur qui méritent d'être explicités et discutés. Cette difficulté est particulièrement prégnante dans le cadre d'évaluation d'actions de prévention. L'actualisation des résultats a tendance à défavoriser l'évaluation des stratégies de prévention pour lesquelles il faut investir des ressources aujourd'hui pour obtenir des effets dans un avenir lointain. Mais la non-actualisation des résultats peut, à l'inverse, conduire à des résultats (discutables du point de vue de considérations éthiques ou d'équité) lorsque l'horizon temporel des évaluations économiques porte sur le long terme, comme c'est le cas dans les travaux se rapportant à l'intérêt de la vaccination en vue de l'éradication d'une maladie ou lorsqu'il s'agit d'évaluer le coût cumulé des séquelles de handicaps quand l'espérance de vie est élevée.

11.3) FAUT-IL RETENIR LE MEME TAUX D'ACTUALISATION POUR LES COUTS ET LES RESULTATS DE SANTE ?

Si, en se plaçant dans une perspective collective et en acceptant les prémisses de la théorie du bien-être, on envisage d'actualiser des coûts et des bénéfices, il reste à choisir la valeur du taux d'actualisation. Ce taux est-il le même pour les coûts et pour les résultats de santé ? Trois arguments peuvent être avancés pour justifier le choix d'un taux d'actualisation différent :

- la préférence pour le présent du décideur est différente selon qu'il considère les coûts ou les résultats de santé ;
- les outils utilisés pour mesurer l'utilité attachée aux états de santé tiennent compte de la préférence pour le présent du décideur. En règle générale, si les bénéfices sont exprimés en termes d'utilité ou de propension à payer (Willingness to pay), les bénéfices doivent être actualisés à un taux moindre (voire nul) que celui appliqué aux éléments monétaires dans la mesure où les méthodes de révélation des préférences sur une chronique d'états de santé intègrent la préférence pour le présent.
- la préférence pour la santé par rapport aux autres biens économiques évolue au cours du temps (Voir annexe VIII);

11.4) QUEL(S) TAUX D'ACTUALISATION FAUT-IL RETENIR ?

En ce qui concerne le choix de la valeur du taux d'actualisation, la théorie économique permet de mettre en évidence des processus de détermination de ce taux d'actualisation i , en fonction d'hypothèses relatives à la rationalité du décideur et à l'environnement économique de la prise de décision. Il peut arriver qu'il coïncide avec le taux d'intérêt monétaire réel, mais ce n'est pas forcément le cas notamment quand les marchés financiers sont imparfaits. Une référence française possible est celle du taux d'actualisation utilisé par les pouvoirs publics sur le choix des investissements publics³². Pour information, les lignes directrices canadiennes optent pour une actualisation des coûts et des bénéfices (exprimés tant en termes monétaires que physiques) au même taux, soit 5%, tout en laissant toute latitude aux chercheurs pour réaliser une analyse de sensibilité sur le taux appliqué aux bénéfices selon des taux inférieurs à 5% (0% ou 3%). D'autres recommandations internationales retiennent des taux d'actualisation des résultats variant de 1,5% à 6% avec une analyse de sensibilité incluant le taux de 0%.

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).

³² Voir par exemple les rapports du Commissariat Général du Plan, comme : Boiteux M. & Baumstark L. (2001), Transports : choix des investissements et coût des nuisances, Rapport pour le Commissariat Général du Plan, La Documentation Française, juin 2001, 325p. Disponible gratuitement en format électronique sur le site de La Documentation Française

XII) MODELISATION

Un modèle est une représentation idéalisée et formalisée d'un phénomène réel. Il s'agit d'une technique analytique permettant de simuler l'impact d'un ou plusieurs facteurs (« entrées » dans le modèle ou « *inputs* ») sur l'ensemble des résultats attendus (« sorties » du modèle ou « *outputs* »).

Tout modèle, y compris les observations protocolisées (essais cliniques) est une représentation de la réalité.

12.1) DOMAINES D'APPLICATIONS

Les modèles sont utilisés couramment dans des domaines variés tels que la démographie, l'épidémiologie ou encore la finance. Le choix du type de modèle retenu se fait en fonction de la question posée. Pour l'évaluation économique des stratégies thérapeutiques, ils ont plusieurs domaines d'application.

- Les informations fournies par les études cliniques randomisées sont souvent insuffisantes pour fonder un jugement sur les bénéfices cliniques et économiques, en situation réelle, de la stratégie thérapeutique évaluée. La modélisation permet de répondre à certaines de ces limitations, notamment en exploitant d'autres sources de données existantes.
- Le modèle permet d'extrapoler les résultats cliniques et économiques au-delà de l'horizon temporel de l'essai clinique. Il permet également de transposer des résultats d'une étude internationale au contexte français ou de fournir des estimations pour des populations hypothétiques (sous-groupes de patients à risque...).
- Le modèle permet de faire le lien entre les résultats fondés sur des critères intermédiaires ou de substitution (« surrogate endpoints ») fournis par les essais cliniques et les résultats finaux (« final endpoints ») escomptés issus d'études épidémiologiques. Par exemple, la baisse de la tension artérielle (critère de substitution) mesurée lors d'un essai clinique et la réduction de la mortalité cardiovasculaire escomptée (critère final) dans la population susceptible de bénéficier du traitement.
- Le modèle permet de comparer la stratégie à évaluer à d'autres alternatives thérapeutiques que celles choisies dans l'essai clinique, il offre par exemple la possibilité de comparer au sein d'un même modèle, une ou plusieurs stratégies thérapeutiques, sous réserve que des données cliniques soient disponibles sur la population définie.
- La modélisation aide à clarifier les conséquences de processus décisionnels lors de l'introduction d'une nouvelle stratégie thérapeutique. C'est par exemple le cas des études dites d'impact budgétaire (voir chapitre 16).

12.2) TECHNIQUES DE MODELISATION

Il existe de nombreuses techniques de modélisation. Les plus fréquemment rencontrées en santé sont les arbres de décision, en particulier les modèles de Markov utilisés dans les pathologies chroniques nécessitant une évaluation au long terme. On distingue généralement en modélisation les approches déterministes des approches stochastiques.

Dans une approche déterministe, les données servant de base à la modélisation sont des estimations, généralement issues d'études publiées, ou « données secondaires ».

- Un arbre de décision est une représentation graphique des conséquences d'une décision thérapeutique. Les nœuds de probabilité, ou nœuds de chance, permettent d'intégrer la fréquence des événements attendus : taux de succès, d'échec, de guérison, de récurrence, etc. A l'issue de cette série de probabilités, une ou plusieurs valeurs peuvent être attachées au résultat finalement atteint. Il peut s'agir d'une efficacité, d'une utilité et/ou d'un coût monétaire.
- Les modèles de Markov sont d'une construction graphique similaire à celle des arbres de décision, mais ils incorporent la notion de temps sous forme de cycle. Celle-ci est intégrée sous forme d'un processus récursif appelé chaîne de Markov. Ce processus est défini par cinq éléments : un ensemble de dates, des états, des actions, des probabilités de transition et des « récompenses » (ou « *rewards* »). Classiquement, un état absorbant doit être inclus : tout patient rejoignant cet état ne peut le quitter. Schématiquement, un modèle de Markov permet de simuler le cheminement d'individus parmi un nombre fini d'états, et donc d'accumuler les « récompenses » liées à ce cheminement : par exemple des années de vies sauvées, des QALYs, mais également des coûts. Sans entrer dans le détail mathématique de ce type de modèle, leur propriété fondamentale est de se fonder sur des processus « sans mémoire ». Ainsi, le nombre de patients présents dans un état A au temps t dépend uniquement du nombre de patients présents dans l'état A au temps t-1 et de la probabilité d'entrer dans l'état A (ou d'en sortir) au temps t. Cette simplification représente une limite importante quand il s'agit de modéliser des pathologies dont les conséquences, pour un patient donné, peuvent évoluer au cours du temps (par exemple lorsqu'il s'agit d'intégrer l'ancienneté du diagnostic). Il est alors possible d'intégrer une « mémoire » au modèle, et l'on parle dès lors de processus semi-markovien. Qu'il s'agisse d'arbres de décision ou de modèles de Markov, la question de l'intégration de l'incertitude entachant les résultats reste un problème méthodologique majeur.

- La méthode de Monte Carlo consiste à simuler une cohorte théorique de patients dont chacun suit un cheminement parmi les conséquences possibles de l'action thérapeutique. Le cheminement de chaque patient est conditionné par les probabilités associées aux noeuds de chance. Idéalement, les fonctions de distribution de probabilité des noeuds doivent être intégrées dans le modèle ainsi que les possibles corrélations entre les probabilités de différents noeuds

L'approche stochastique se distingue de l'approche déterministe en ce sens qu'elle se fonde sur l'observation de données individuelles, ou données brutes. Il peut s'agir de données issues d'un essai clinique, de dossiers hospitaliers, de fichiers de consommations médicales. Les techniques de modélisation relèvent de l'estimation inférentielle. L'incertitude y est appréhendée de manière totalement différente, à travers l'observation des distributions statistiques des variables des modèles.

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'agréger 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.

12.3) CONDITIONS D'UTILISATION

Les données et les hypothèses ayant servi à l'élaboration du modèle doivent être explicitées, référencées et listées au sein de tableaux. Pour chacune des alternatives étudiées au sein du modèle, les résultats seront présentés séparément pour les coûts et les bénéfices.

Au sein d'un tableau récapitulatif, chaque unité de ressource sera préalablement dénombrée en niveau et en valeur (Euros) avant d'être agrégée. Les coûts directs seront présentés séparément des coûts indirects. Les résultats actualisés et non actualisés seront également présentés séparément.

La fiabilité des modèles est sous-tendue par un double processus de validation interne et externe. La validité interne se fonde sur la pertinence des hypothèses et des données qui doivent être solidement documentées (données publiées et/ou référencées) et sur la cohérence de la structure qui les organise. La validité externe repose sur l'adéquation des dynamiques simulées dans le modèle à celles qui sont observées en situation réelle.

Du fait des nombreuses hypothèses qui sous-tendent la construction des modèles, il est important de s'assurer, par une analyse de sensibilité, de la robustesse des résultats de l'évaluation vis-à-vis de variations des paramètres clé utilisés au sein du modèle. L'analyse de sensibilité peut être univariée ou multivariée. Le choix des paramètres à faire varier doit être argumenté, de même que l'intervalle de variation.

Dans les cas d'actualisation, la robustesse des conclusions à l'application de différents taux d'actualisation peut être testée (en incluant un taux zéro).

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) VERIFICATION DE LA ROBUSTESSE DES CONCLUSIONS DE L'ETUDE

La démarche d'évaluation économique s'effectue en situation d'incertitude. C'est cette dernière qui rend d'ailleurs difficile la prise de décision.

L'origine de cette incertitude est différente selon qu'on se situe dans le cadre d'un modèle reposant sur des hypothèses quant à la valeur de certains paramètres (par exemple le taux d'actualisation) provenant de différentes sources, (analyse dite déterministe) ou qu'on effectue un calcul coût-résultat en utilisant des données individuelles d'efficacité et/ou de consommation de ressources provenant par exemple d'un essai clinique (analyse dite stochastique). Dans le premier cas on a principalement affaire à une incertitude d'hypothèse et dans le second à une incertitude d'échantillonnage. Ces incertitudes peuvent bien sûr se cumuler, par exemple dans le cadre d'un modèle probabiliste reposant sur les données d'un essai clinique. Il convient cependant de les traiter séparément.

13.1) LES ANALYSES DE SENSIBILITE DANS LE CAS DES MODELES

Pour évaluer l'impact de l'incertitude d'hypothèse sur la décision, la procédure la plus couramment utilisée est la mise en œuvre d'une analyse de sensibilité et l'observation de ses répercussions sur le choix des stratégies.

L'analyse de sensibilité comporte trois étapes :

- l'identification des hypothèses et paramètres incertains pour lesquels l'analyse de sensibilité est nécessaire ;
- le choix d'une hypothèse vraisemblable de variation des facteurs incertains ;
- l'énoncé des résultats de l'analyse de sensibilité (la valeur du résultat en fonction de celle des paramètres que l'on fait varier)

On distingue d'une part l'analyse univariée et l'analyse multivariée. D'autre part l'analyse d'ordre un et l'analyse d'ordre deux.

Dans une analyse de sensibilité univariée, on fait varier séparément chaque paramètre incertain, les autres étant maintenus à leur valeur de base. Le but est d'étudier l'influence du paramètre sur le résultat final de manière à déterminer si celui-ci est "sensible" à ses variations. Plus le résultat est sensible, plus il conviendra d'être prudent dans l'interprétation des résultats.

Des analyses de sensibilité univariées successives sur l'ensemble des paramètres incertains - à condition qu'ils soient bien indépendants les uns des autres - peuvent être suffisantes pour bien rendre compte de la robustesse des résultats du modèle.

Une analyse de sensibilité multivariée fait varier deux paramètres (ou plus) simultanément de manière à étudier l'effet combiné de ces variations sur les résultats de l'analyse. Toutefois, il devient de plus en plus difficile de représenter les résultats au fur et à mesure que le nombre de paramètres augmente. Pour atténuer cette difficulté, on peut présenter les analyses multivariées sous forme de scénarios. On explore ainsi l'implication, sur les résultats, de différents états du monde, ces derniers étant définis par les valeurs-pivots des paramètres. Des scénarios extrêmes, correspondant par exemple aux situations la plus et la moins favorables, peuvent ainsi être considérés. Une analyse de sensibilité en termes de seuil peut être alors envisagée. Elle consiste à estimer les valeurs critiques des paramètres en-deçà ou au-delà desquelles les conclusions de l'analyse changent. Cette analyse est particulièrement intéressante lorsque la valeur de base d'un paramètre est inconnue.

Un autre choix est celui du mode de variation des paramètres. Une première possibilité est de prendre différentes valeurs plausibles (par exemple 0%, 3, 5, et 7% pour le taux d'actualisation) et observer l'impact sur le résultat. Une deuxième possibilité est d'introduire, non pas différentes valeurs d'un paramètre, mais la loi de probabilité que suit vraisemblablement ce paramètre (par exemple une loi normale de moyenne m et d'écart-type s).

On utilisera alors les techniques de simulation de Monte-Carlo d'ordre 2 pour engendrer la distribution des résultats, qui dépendra alors de la loi suivie par les paramètres. Plusieurs lois de distribution, correspondant à plusieurs paramètres, peuvent ainsi être étudiées simultanément, la méthode de Monte-Carlo donnant alors les résultats sous une forme probabiliste (par exemple une moyenne et un écart-type pour le ratio coût-efficacité). On pourra alors étudier les propriétés de la distribution statistique des résultats et construire un "intervalle de confiance". De plus, cette analyse de sensibilité probabiliste permet l'estimation de la probabilité relative de certaines situations (par exemple, la probabilité de dominance stricte d'une stratégie par rapport à une autre).

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.

13.2) LE TRAITEMENT DE L'INCERTITUDE DANS LE CAS D'ANALYSES STOCHASTIQUES

Lorsqu'il existe une « incertitude d'échantillonnage », c'est-à-dire quand le calcul économique fait intervenir des données individuelles provenant d'un essai clinique ou d'une étude observationnelle, plutôt que de déterminer les résultats à partir de la moyenne des différentes variables, il est plus intéressant d'utiliser toute l'information contenue dans les données individuelles.

La littérature récente en économie de la santé propose plusieurs méthodes pour estimer l'intervalle de confiance du ratio coût-résultat dans ces conditions :

- les approches paramétriques : la méthode de la « boîte », la méthode des séries de Taylor, la méthode de l'ellipse de confiance, la méthode de Fieller ;
- les approches non paramétriques par le bootstrap naïf avec ses différentes estimations de l'intervalle de confiance (approximation normale, intervalle de confiance par percentile, intervalle percentile, corrigé et/ou accéléré).

Ces méthodes produisent des intervalles très différents. L'examen de leurs propriétés statistiques suggère qu'elles ne peuvent être utilisées que sous certaines hypothèses propres à chacune d'elles. Plusieurs auteurs ont testé les propriétés des estimateurs produits par ces différentes méthodes à l'aide de simulations de Monte Carlo : la méthode paramétrique basée sur le théorème de Fieller et l'approche non-paramétrique par le bootstrap naïf produisent les meilleurs résultats en termes de probabilité de couverture (probabilités que le paramètre de la population soit contenu dans l'intervalle de confiance).

Il est souvent intéressant d'établir la courbe d'acceptabilité, c'est-à-dire la courbe représentant la probabilité que la stratégie étudiée soit coût-efficace en fonction de différentes valeurs-plafond du ratio coût-résultat. Il faut noter que cette courbe ne souffre pas des problèmes que l'on peut rencontrer au niveau des intervalles de confiance, à savoir l'interprétation d'un ratio coût-résultat négatif. Un autre avantage est qu'elle met immédiatement en lumière la probabilité que la stratégie étudiée ne soit pas coût-efficace.

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) PRESENTATION DES RESULTATS

14.1) UN FORMAT STANDARD POUR UNE MEILLEURE TRANSPARENCE

Dans la mesure du possible, un rapport d'étude doit éclairer le lecteur sur les points suivants :

- Les enjeux du problème et les raisons de l'étude;
- Le type d'étude retenu et les raisons de ce choix;
- La population concernée;
- La situation médicale de référence (comparateur(s), par exemple);
- Les données médicales utilisées pour l'évaluation des effets de santé;
- L'origine des données économiques;
- Les différents types de coûts pris en compte;
- La perspective adoptée pour le calcul des coûts;
- La méthodologie de traitement du temps (actualisation);
- La méthodologie de traitement de l'incertitude (analyse de sensibilité);
- La cohérence ou l'incohérence des résultats avec les autres études sur le même sujet;
- Les facteurs dont on doit tenir compte pour apprécier la portée de l'étude (notamment ses limites en termes de temps, de population, d'information, etc.);
- Les dates auxquelles l'étude a été effectuée;
- La période pour laquelle les résultats ont une validité;
- Les références bibliographiques pertinentes;
- L'identité du ou des financeurs;
- Respect de la réglementation en vigueur en matière de confidentialité des données recueillies, de données informatisées et de la réglementation national et européenne sur la recherche biomédicale.

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.

14.2) INTEGRITE SCIENTIFIQUE ET CONFLIT D'INTERET

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.

14.3) LES RATIOS

Les ratios coût-efficacité (ou coût-utilité) ont pour mission d'exprimer de façon synthétique les résultats de l'évaluation comparative des différents traitements. Cette évaluation implique que ces ratios se présentent sous une forme différentielle, la différence de coûts entre deux traitements y étant rapportée à la différence d'effets imputables à ces mêmes traitements. Encore faut-il que soit précisé de façon suffisante le contenu du numérateur et du dénominateur afin, notamment, d'éviter les doubles comptages (le même phénomène étant exprimé à la fois au numérateur et au dénominateur). A cet effet, on évitera par exemple, lorsque le ratio exprime le coût d'une année de vie épargnée, de valoriser au titre des coûts, les années de vie perdues. Il est fortement conseillé, pour l'interprétation de ces ratios, de se reporter au commentaire du paragraphe 15.2.

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) INTERPRETATION DES RESULTATS

15.1) ASPECTS DISTRIBUTIFS ET PROBLEMES D'EQUITE

Le résultat d'une étude coût-efficacité ou coût-utilité ne doit jamais prendre la forme d'un chiffre unique, comme le coût d'une année de vie sauvée, qui résulte d'un ratio moyen ou d'un ratio marginal.

- Si l'on prend l'exemple de l'HTA ou de l'hypercholestérolémie on voit bien qu'il y a autant de « coût » d'une année de vie sauvée que de catégories d'individus différenciés par l'âge, le niveau d'hypertension ou de cholestérol, l'âge du début de la maladie, le sexe, etc. Cette différenciation qui rend nécessaire l'expression du résultat d'une action préventive par plusieurs séries de ratios, provient de la diversité des agents qui composent la société.
- On retrouve cette diversité lorsque, après avoir effectué une étude d'évaluation du point de vue de la société, on se préoccupe des aspects distributifs d'un gain global social entre ses composantes (par exemple les « agents économiques » au sens de la Comptabilité Nationale).

Avec l'exemple fictif ci-après, qui est celui de la vaccination contre une affection aiguë, on peut voir que le gain global de 2000 pour la société se traduit entre autres conséquences, par une perte de 600 pour l'Assurance Maladie, les trois agents étant gagnants.

Exemple : Vaccination de la population de plus de 59 ans contre une maladie aiguë

	Société	Assurance maladie	Patients	Secteur productif (entreprises)	Offreurs de soins
Coût vaccination	0	- 1 260	- 540	0	+ 1 800
Coût des soins évités	0	+ 560	+ 240	0	- 800
Coûts indirects évités	+ 2000	+ 100	+ 400	+ 1 500	0
Total	+ 2000	- 600	+ 100	+ 1 500	+ 1 000

+ = gains

- = pertes

De même il sera nécessaire pour le décideur de prendre en compte la différenciation sociologique du résultat d'un programme (ou d'une action).

Est-il équitable de concentrer les bénéfices de ce programme sur un petit nombre d'individus, ou faut-il en choisir un autre qui pour un ratio coût-efficacité égal, bénéficie à un plus grand nombre de gens (le bénéfice par individu étant alors réduit) ?

On peut illustrer cette interrogation par l'exemple suivant :

	Programme A	Programme B
Coût	2 500 000 F	2 500 000 F
Efficacité	100	100
C/E	25 000 F	25 000 F
Nombre d'individus bénéficiaires	10	50
Nombre d'années de vie gagnées par individu	10	2

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.

15.2) PRINCIPES THEORIQUES D'UNE DECISION FONDEE SUR UNE EVALUATION ECONOMIQUE

Comment formuler en pratique des recommandations de politique publique fondées sur le calcul économique appliqué à la santé ?

1. En premier lieu, il importe de rappeler que les résultats quantitatifs du calcul économique ne peuvent, par eux-mêmes, déterminer mécaniquement la décision publique. Et cela pour trois raisons principales :
 - a. Le calcul économique n'est jamais complet. Si sophistiqué soit-il, il ne peut prétendre à l'exhaustivité dans la prise en compte des éléments de coût et de bénéfice de chacune des alternatives analysées. Par ailleurs, le

calcul économique ne saurait constituer, même si l'en donne parfois l'apparence, une simple opération mécanique de recensement et de valorisation de postes comptables. Il s'agit d'une démarche scientifique, opérant à ce titre des choix méthodologiques raisonnés, dont il faut exiger – c'est l'objet de ces lignes directrices – qu'ils soient clairement identifiés, discutés et portés à la connaissance du décideur. Mais celui-ci reste le juge ultime de leur pertinence.

- b. Les aspects distributionnels sont rarement pris en compte dans le calcul économique, qui s'intéresse plutôt à la dimension allocative de la décision publique. La « bonne » décision, celle que recommandent les résultats du calcul, peut parfaitement bénéficier à certains acteurs du jeu social et en pénaliser d'autres. C'est en général au pouvoir politique qu'il revient d'arbitrer entre ces intérêts divergents, du moins dans les démocraties représentatives. Celui-ci peut parfaitement décider qu'un franc de dépense de l'Assurance Maladie n'est pas équivalent à un franc de recette d'un producteur de soins. Le calcul peut, dans certains cas, introduire des systèmes de pondération pour tenir compte des aspects redistributifs. Ce sont toutefois les pouvoirs publics qui ont la légitimité ultime pour le valider.
- c. Enfin, les calculs sont généralement effectués en dehors des références au contexte institutionnel et politique, même si un « point de vue » particulier est adopté pour le calcul des coûts. A aucun moment, le calcul économique n'est en mesure de transcender les institutions de décision politique. Au contraire, il se trouve structurellement à leur service, que les études aient été commandées par elles, ou qu'elles soient produites par des tiers pour en influencer la décision. Le calcul économique n'est pas une institution : ce n'est qu'un instrument destiné à éclairer la logique des choix, à introduire davantage de rationalité dans des jeux institutionnels parfois complexes.

En dépit de ces réserves, il est néanmoins important de clarifier le sens même des recommandations qu'on peut être amené à formuler sur la base des études coûts-résultats.

2. La première remarque tient au type d'analyse. Seule l'analyse coût-bénéfice, qui mesure les coûts et les bénéfices en termes monétaires, permet de fournir des recommandations dénuées de toute ambiguïté quant à leur interprétation. Une action de santé est recommandée, sous les réserves précédentes, si « *les bénéfices sociaux totaux excèdent les coûts sociaux totaux d'un pourcentage suffisant* »³³. Mais ce critère coût-bénéfice reste, comme chacun sait, d'une application pratique délicate, notamment en raison de l'incertitude affectant la valorisation économique des effets de santé (par exemple les années de vie humaine gagnées) et, plus généralement, des effets qui ne peuvent être évalués monétairement sur un marché (le temps, la douleur, etc.).

3. Le critère coût-efficacité, dont les résultats s'expriment sous la forme d'un rapport de type « *coût par année de vie sauvée* », évite ces difficultés. En contrepartie, il est d'une interprétation plus difficile, dans la mesure où il n'est qu'un rapport technique, mesurant la « productivité » d'une action médicale, qui, en tant que tel, n'implique rien quant à sa « désirabilité » politique et sociale. Il faut insister sur ce point : le rapport coût-efficacité n'est pas un indicateur de préférence collective : c'est un indicateur du rendement technique d'un bien, d'une politique, d'une institution. La collectivité peut « préférer » choisir l'action la plus rentable techniquement. Mais ce n'est nullement une obligation. On trouverait de multiples exemples où la collectivité « préfère » une action de santé qui coûte, par exemple, 12 millions d'Euros mais « rapporte » 1 000 années de vie (soit 12 000 euros par année de vie), à une action alternative, plus coût-efficace, qui ne coûterait par exemple que 120 000 Euros pour un bénéfice de 15 années de vie (soit un ratio de 8 000 euros par année de vie). Ce choix n'est pas nécessairement irrationnel. Il résulte du fait que le décideur peut trouver que le bénéfice absolu de l'action la plus rentable est trop faible³⁴.

4. Une allocation de ressources effectuée selon le critère coût-efficacité permet d'obtenir un bénéfice potentiel maximal sous une contrainte budgétaire donnée. Toute réallocation de budget d'une technique vers une autre plus coût-efficace, permet d'augmenter les bénéfices de santé pour le même coût. En pratique, toutefois, ces éventuelles réallocations sont locales : il s'agit par exemple de choisir le traitement le plus coût-efficace d'une maladie donnée pour un budget donné. Souvent même le choix est limité à deux options (une stratégie de santé et son comparateur). Les analyses portent beaucoup plus rarement sur des réallocations plus générales, comme celles qui pourraient intervenir entre deux domaines de la médecine, voire entre la santé et d'autres secteurs sociaux, éducation, environnement, etc.

5. En ce qui concerne le ratio coût-efficacité lui-même, plusieurs situations doivent être discutées, selon la nature des projets et de la sévérité de la contrainte budgétaire. On distinguera notamment le cas où plusieurs projets peuvent être mis en place indépendamment les uns des autres (par exemple définir un plan de dépistage du cancer du sein comportant plusieurs mesures), et celui où le problème porte sur le choix d'un programme parmi plusieurs qui sont mutuellement exclusifs les uns des autres (par exemple, le choix entre deux traitements d'une même pathologie).

³³ Mishan

³⁴ Formellement, si on considère des programmes de santé alternatifs caractérisés par leur coût, C, et leur efficacité en termes de vies gagnées, V, et si les préférences du décideur sont représentées par une fonction d'utilité U(C,V) qui dépend positivement de V et négativement de C, la maximisation de cette fonction sur l'ensemble des programmes possibles, ne conduit pas nécessairement au choix du programme le plus coût efficace. Le choix de ce dernier implique une forme très particulière de cette fonction d'utilité.

Dans ces deux cas, on se référera dans les développements qui suivent à une allocation « locale des ressources », comme définie précédemment : on envisagera les choix au sein d'un budget préétabli pour un objectif déterminé, sans envisager les autres usages possibles de ce budget. Si on cherche, par exemple, à définir les actions les plus efficaces concourant au dépistage du cancer du sein, on ne se s'interrogera pas sur le fait que le budget pourrait être plus efficacement affecté au dépistage du cancer du colon, ou à tout autre problème de santé publique, voire à un autre choix public en dehors de la santé.

6. Dans le cas où le budget autorise le financement de plusieurs actions concourant au même objectif, la recommandation consiste à classer les actions par ordre de ratio coût-efficacité décroissant, et à financer toutes celles qui entrent dans l'enveloppe budgétaire en commençant par les plus coût-efficaces. On montre en effet facilement qu'aucune autre méthode de choix ne permet d'obtenir un bénéfice collectif supérieur. En particulier, et de manière non intuitive pour qui n'est pas familier avec le raisonnement économique, le résultat est supérieur à celui qu'on obtiendrait en sélectionnant les actions les plus efficaces de manière absolue, sans considération de coût.

7. Les choses sont plus complexes quand le choix porte entre deux ou plusieurs actions mutuellement exclusives. Le bon sens commanderait alors, en première intention, de choisir celle qui est la plus coût-efficace, entendu de manière incrémentale par rapport à une option de référence (éventuellement le statu quo). Toutefois, la solution n'est pas toujours aussi simple. Il peut par exemple exister une très grande différence entre le coût et l'efficacité des différents programmes. Reprenons l'exemple du §.3 et supposons que la collectivité a fait le choix de consacrer le budget de 12 millions à un objectif de politique de santé. Nous sommes en situation « locale » et le choix porte sur deux actions, l'une dite [A1 : 12 millions d'Euros - 1.000 années de vie], l'autre [A2 : 120.000 Euros - 15 années de vie]. Il n'est pas logique, dans ce cas, de choisir A2, bien qu'elle soit en fait la plus coût efficace : elle laisse en effet 11,8 millions d'euros inutilisés pour un déficit de 985 années de vie. En revanche, il serait logique d'écarter du choix une troisième action du type [A3 : 12 millions d'euros - 800 années de vie]. Il serait également logique d'écarter une option [A4 : 250.000 Euros - 15 années de vie]. Ces deux dernières actions sont en effet strictement dominées respectivement par A1 et A2.

La procédure à suivre, qui est une application de la notion de ratio incrémental, est donc la suivante :

- a. Recenser toutes les actions pouvant concourir à l'objectif fixé ;
- b. Écarter de l'analyse toutes celles qui sont dominées par l'un au moins des autres programmes³⁵ ;
- c. Parmi les programmes non dominés (qui forment la « frontière » ou le « noyau »), choisir celui qui donne le plus grand bénéfice pour le budget attribué.

Cette procédure ne garantit pas que le programme choisi sera nécessairement celui qui a le plus grand ratio coût-efficacité moyen. Elle garantit en revanche qu'il produira le maximum d'effets de santé dans le cadre du budget alloué à l'objectif de politique de santé qui est poursuivi³⁶.

Recommandation n°36

5. 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.
6. 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.
7. Les résultats des études coût-efficacité, notamment celles portant sur des programmes mutuellement exclusifs qui sont les plus fréquentes, doivent faire ressortir que le choix entre les options non dominées relève, pour une large part, d'un jugement de valeur, que le décideur peut légitimement exercer.
8. 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.

15.3) L'INTERPRETATION DES ETUDES COUT-EFFICACITE ET COUT-UTILITE : LES « LEAGUE TABLES »

L'une des utilisations possibles des études coût-efficacité est de constituer un élément pour l'aide à la décision en matière de politique de santé publique, d'admission au remboursement par l'Assurance Maladie ou de recommandation de bonnes pratiques cliniques. Les résultats obtenus en termes d'efficience s'expriment, dans le cas des études coût-efficacité ou, plus généralement coût-utilité, sous forme de ratios rapportant l'incrément de coût à l'incrément de bénéfice associé à la comparaison d'une intervention innovante par rapport à une situation de

³⁵ Il existe deux critères de dominance : la dominance « forte » quand un programme est plus coûteux pour la même efficacité ou moins efficace pour le même coût qu'un autre programme, et la dominance « faible » quand un programme est plus coûteux pour la même efficacité ou moins efficace pour le même coût qu'une combinaison linéaire de deux autres programmes

³⁶ Notre exemple conduit à préférer le programme A1 à A2, bien que A2 soit plus coût-efficace.

référence. Plusieurs types de situations se présentent quant à la manière d'interpréter ces résultats. Celle-ci dépend en effet de la nature des indicateurs de bénéfice utilisés.

- Lorsque ces indicateurs sont des critères cliniques ou biologiques spécifiques d'une pathologie (exemple : le pourcentage de patients atteignant un certain seuil pour un paramètre biologique comme le cholestérol total ou la pression artérielle, un critère clinique intermédiaire comme le MMSE dans la maladie d'Alzheimer ou l'indice de Lequesne dans l'arthrose), le résultat obtenu ne peut être comparé et donc interprété que par rapport à celui qui aurait été mesuré par une autre étude suivant la même méthodologie dans le même champ thérapeutique.
- Lorsque l'indicateur de bénéfice utilisé présente un caractère plus général et universel comme par exemple le gain en survie, la survie ajustée par l'incapacité (par exemple dans le DALY) ou les QALY, il devient possible de mettre en perspective les résultats d'efficacité obtenus par rapport à des données déjà publiées du même type. Les économistes anglo-saxons utilisent à ce propos le terme de « leagues tables » (tableaux utilisés au Royaume Uni pour présenter les classements des clubs de football des différentes divisions) pour désigner les tableaux de synthèse constitués sur la base de la compilation des ratios coût-efficacité cités dans les différentes études publiées.

Une première difficulté associée à la comparaison des ratios coût efficacité entre études tient à l'absence de précision sur la définition et le contenu exact des politiques étudiées et des comparateurs dans les résultats qui sont souvent cités dans les leagues tables. Une autre difficulté, encore plus importante tient à l'absence de comparabilité des méthodes et des hypothèses utilisées dans les différentes études.

Pour pallier ces problèmes, il serait utile que ces valeurs de référence soient établies sur la base d'une sélection de résultats présentant toutes les garanties nécessaires sur le plan de l'homogénéité des méthodes et des hypothèses (par exemple, mêmes coûts unitaires, relatifs à la même période et au même système de santé, mêmes taux d'actualisation, etc).

Certains auteurs ont tenté d'homogénéiser *a posteriori* les résultats publiés afin de parvenir à des données cohérentes³⁷ Une telle compilation suggère que les ordres de grandeur des seuils d'acceptabilité économique des interventions préventives et thérapeutiques sont très différents selon qu'on se situe dans le champ de la thérapeutique ou de la prévention médicale, dans celui de la sécurité ou dans celui du risque environnemental.

Certaines institutions internationales qui interviennent en matière de développement ont suggéré qu'une intervention médicale pouvait être considérée comme efficiente pour des ratios de coût par année de vie gagnée en bonne santé, inférieurs à la valeur du PIB par tête³⁸. La valeur correspondante pour les pays européens serait de l'ordre de 25 000 euros, ce qui correspond en fait à environ la moitié des valeurs seuils souvent utilisées de façon conventionnelle dans les travaux publiés s'appuyant sur un critère de ce type. L'ordre de grandeur du seuil souvent utilisé est autour de 50 000 euros et il est intéressant de constater que cette valeur correspond grossièrement au coût annuel de l'hémodialyse en centre, une technologie médicale coûteuse d'importance vitale pour la survie des patients en insuffisance chronique terminale mais également l'ordre de grandeur du PIB rapporté au nombre d'emplois en France.

En résumé, il serait probablement utile qu'un tel travail puisse être entrepris dans le cadre d'une future version de ces recommandations afin de pouvoir disposer de valeurs de référence dans le contexte du système de santé français. L'une des conditions à remplir serait de parvenir à une sensible standardisation des méthodes. Une première étape de cette standardisation consisterait par exemple à disposer d'un recueil de valeurs de coûts unitaires de référence ainsi que de règles explicites de calcul (actualisation, coûts fixes et variables, horizon temporel, etc).

On notera enfin que les considérations précédentes sur les limites des comparaisons possibles des résultats d'études différentes concernent aussi et de façon encore plus accentuée les ratios de type coût par QALY. Les limites d'interprétation des QALY qui ont été exposées dans le chapitre concerné s'appliquent également ici.

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.

³⁷ Tengs et al., 1995.

³⁸ Bulletin of the WHO, 2000, Vol 78, n°2.

XVI) IMPACT BUDGETAIRE

L'estimation des conséquences budgétaires à court et moyen termes (2-3 ans) pour les différents agents du système de santé (Assurance Maladie, assurances complémentaires, ménages, hôpital public, praticiens libéraux, etc.), consécutives à la mise en œuvre d'un traitement nouveau est un objectif secondaire important des évaluations économiques. Ce type d'analyse vient logiquement en aval des études précédentes mais peut être aussi réalisé de façon autonome.

Il s'en distingue à beaucoup d'égards par les choix méthodologiques qu'il suppose :

1. une prise en compte systématique des tarifs et des flux financiers effectifs (coûts directs et coûts variables ; coûts indirects se manifestant par exemple par le versement d'indemnités journalières) ;
2. une perspective de court et moyen termes (2-3 ans) supposant l'environnement tarifaire, réglementaire et des organisations de soins constants ;
3. une perspective de généralisation du traitement (c'est-à-dire sur l'ensemble du système de santé) incluant les effets de substitution avec les thérapeutiques usuelles, les prévisions de parts de marché en cas de situation concurrentielle, et les coûts évités à court et moyen terme compte tenu de l'efficacité des traitements ;
4. une prise en compte des spécificités des populations recevant effectivement le traitement évalué (population-cible, population rejointe, sous-groupes définis de patients, etc.).

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.

*ANNEXES TECHNIQUES*³⁹

³⁹ Les informations contenues dans les annexes de ce document ayant été rédigées en 2002 et 2003, elles sont susceptibles d'évoluer après la parution de ce document.

ANNEXE 1 : Notions et mesures de coûts en fonction de la perspective adoptée

Le coût d'un bien n'existe pas. Il n'est pas une caractéristique intrinsèque d'un objet ou d'un produit comme pourrait l'être la température pour l'air ou pour l'eau. Il s'agit d'un calcul reposant sur une théorie et sur des conventions. Un coût ne peut être défini que si l'on opère un choix sur le point de vue retenu, l'étendue du périmètre à explorer, la finalité de l'étude et l'horizon temporel à adopter

1 - CHOIX D'UN POINT DE VUE

Le repérage des coûts à prendre en compte dans les études économiques est largement déterminé par le champ des responsabilités dont sont investis ceux qui les demandent et/ou pour lesquels elles sont faites. Cinq interlocuteurs sont a priori identifiables: les familles, les producteurs de biens et de soins médicaux (hôpitaux, médecins libéraux, industriels), les acheteurs (agences régionales de l'hospitalisation, assurance maladie, comité économique des produits de santé), les régulateurs du système de soins et la collectivité appréhendée en tant qu'entité politique constituée.

LES FAMILLES

Si l'on s'intéresse aux répercussions du traitement sur le budget des familles, on procédera au décompte des coûts médicaux qui restent à leur charge dans le secteur sanitaire, comme par exemple, les tickets modérateurs de droit ou de fait. On y ajoutera les dépenses qui ne sont pas directement liées aux soins, mais qui les accompagnent fréquemment sans être remboursées par la sécurité sociale. Rentrent dans cette catégorie à titre principal : les dépenses d'hébergement des longs séjours dont les familles doivent supporter la charge alors que celles relatives aux soins sont payées par la sécurité sociale, tous les frais d'équipement auxquels les familles sont contraintes de procéder lorsqu'elles veulent garder leurs malades à domicile et les frais de transport non sanitaires qu'elles doivent supporter pour se rendre aux chevet de leurs proches qu'il a fallu hospitaliser. Bien qu'il ne s'agisse pas à proprement parler de dépenses monétaires, il convient pour évaluer la charge qui pèse sur l'entourage du malade du fait du traitement, de tenir compte des virtualités sacrifiées : absences sur le lieu de travail entraînées par la garde familiale des proches et pertes de revenus provoquées par l'irruption de la maladie pour le patient lui-même. L'ensemble de ces charges constitue le coût familial.

LES PRODUCTEURS DE SOINS

L'hôpital

Quatre types de classification des dépenses hospitalières sont possibles

- la classification comptable repose sur une distinction entre charges directes et indirectes,
- la classification PMSI distingue les dépenses médicales, les dépenses de logistique et les dépenses de structures,
- la classification économique oppose les coûts variables aux coûts fixes,
- Enfin le regroupement des dépenses peut être opéré en fonction des finalités de l'étude. Le contenu de leur estimation sera très différent selon que l'on calcule les coûts dans une perspective de prise de décision, de gestion par les écarts de budgets de services ou de financement des structures hospitalières.

Ces diverses classifications s'interpénètrent étroitement. Les charges directes comme les charges indirectes comportent également des coûts variables et des coûts fixes. L'analyse des répercussions financières d'une décision enregistre les dépenses nouvelles qui apparaissent lorsque celle-ci est prise par rapport aux charges qui auraient été observées si elle n'avait pas été adoptée. De telles répercussions concernent aussi bien des coûts directs ou des coûts indirects, des charges variables ou des charges fixes. Le tableau 1 permet de mieux visualiser les différents éclairages sous lesquels les dépenses hospitalières peuvent être analysées.

Tableau 1

DECOMPOSITION DES COUTS HOSPITALIERS		BUT DE L'ETUDE
COUT DIRECT		
1. Dépenses médicales	} Choix d'une stratégie	} Contrôle des dépenses
1.1 <i>Dépenses médicales variables</i>		
♦ Consommables individualisés ou non		
♦ Actes médico-techniques		
1.2 <i>Dépenses médicales fixes</i>		
♦ Salaires (médicaux, IDE + AS)		
♦ Matériels médicaux (amortissement + entretien)	} Tarification	
2. Dépenses de logistique		
2.1 <i>Dépenses de logistique variables</i>		
♦ Blanchisserie		
♦ Restauration		
2.2 <i>Dépenses de logistique fixes</i>		
♦ Autres (administration, informatique, maintenance)		
♦ Personnel administratif		
SOUS-TOTAL 1 : COUT DIRECT = 1.1 + 1.2 + 2.1		
SOUS-TOTAL 2 : COUT QUASI-COMPLET = 1.1 + 1.2 + 2.1 + 2.2		
3. Dépenses de structure		
♦ Frais financiers		
♦ Amortissements		
SOUS-TOTAL 3 : COUT INDIRECT : (Dépenses de logistique fixes + Dépenses de structure)		
COUT COMPLET		
COUT DIRECT (SOUS-TOTAL 1) + COUT INDIRECT (SOUS-TOTAL 3)		
COUT QUASI-COMPLET (SOUS-TOTAL 2) + Dépenses de structure		

Le cadrage des coûts à prendre en compte dans toute évaluation économique doit correspondre aux préoccupations budgétaires de l'interlocuteur qui s'engage dans un projet de santé. Les médecins et les pharmaciens hospitaliers sont confrontés à des choix à la fois médicaux et économiques, notamment en un temps où l'on voit apparaître sur le marché des technologies innovantes et efficaces, mais qualifiées de coûteuses. On s'intéressera, en se plaçant de leur point de vue, aux seuls coûts qui sont directement liés la mise en oeuvre de ces nouveaux protocoles quelles que soient les sections administratives qui les enregistrent (coûts d'une innovation thérapeutique) Les directeurs financiers, ne peuvent ignorer les conséquences de ces choix cliniques sur les budgets de service (coûts directement liés au fonctionnement du service ou induits par son activité); Mais la prise en compte à ce niveau, des frais d'administration générale et des frais de structure serait inappropriée, puisque ni les pharmaciens ni les médecins ne peuvent être tenus responsables de leur évolution. Quant aux directeurs d'établissement, ils sont toujours, extrêmement attentifs à l'équilibre des comptes de l'hôpital (coûts complets) et aux retombées positives que peut avoir une accélération du taux de rotation des lits en termes de points ISA, lorsqu'une technologie est utilisée de préférence à une autre Des recettes, que l'on peut qualifiées d'atténuatives dans la mesure ou elles permettent de compenser une partie des surcoûts qui s'attachent à l'innovation.

En aucun cas le tarif des prestations journalières (TPJ) ne doit être utilisé ; cette unité de valorisation des coûts n'a qu'une signification comptable. Elle permet seulement de répartir le financement de la dotation globale entre les régimes de sécurité sociale au prorata du nombre et de la durée du séjour de leurs assujettis dans l'établissement. Il s'agit de tarifs taillés à la serpe, tout service, tout malade et toute indication confondus, à l'intérieur des 8 catégories médico-tarifaires qui ont présidé à leur élaboration. Leur usage dans les études médico-économiques est à proscrire Seul un raisonnement en coût / GHM rend compte du coût réel des soins

Trois angles d'attaque sont donc proposés pour analyser la formation des coûts à l'hôpital. On isolera dans un premier temps toutes les répercussions financières de l'introduction d'un nouveau schéma thérapeutique dans le traitement d'une pathologie. Dans un deuxième temps, on combinera ces dépenses spécifiques avec les frais fixes des services cliniques et les charges communes de l'établissement qui apparaissent dans le GHM correspondant à l'indication pour évaluer le coût réel de la prise en charge des malades. Enfin, les conséquences de l'innovation thérapeutique pour l'établissement en termes de points ISA seront chiffrées.

- *Coûts de la mise en œuvre d'un schéma thérapeutique*

L'analyse des répercussions financières d'un nouveau schéma thérapeutique enregistre les dépenses nouvelles qui apparaissent après que celui-ci a été adopté par rapport aux charges qui auraient été constatées s'il n'avait pas été choisi. Les dépenses qui ne sont pas directement liées à l'introduction de ce protocole ne doivent pas peser sur la décision. C'est en cela que l'évaluation du coût de la mise en œuvre d'une nouvelle technologie se différencie fondamentalement de la surveillance des budgets de service ou de la recherche du « juste » prix qui permet d'obtenir l'équilibre des comptes de l'hôpital. Le coût est utilisé comme un outil de gestion et non un instrument de contrôle ou de tarification. Il permet d'estimer si les résultats obtenus justifient l'ampleur des efforts déployés.

Le coût directement rattachable à la mise en œuvre d'un traitement particulier est formé des seules charges qui peuvent lui être affectées sans convention, ni calcul. Cette définition ne fait aucune hypothèse sur l'étendue du domaine pris en compte en aval ou en amont du service où l'innovation est apparue, ni sur les lois de variation des dépenses (coût variable et coût fixe), ni sur l'horizon de temps retenu (conséquences immédiates du traitement administré ou répercussions à distance dues aux complications),

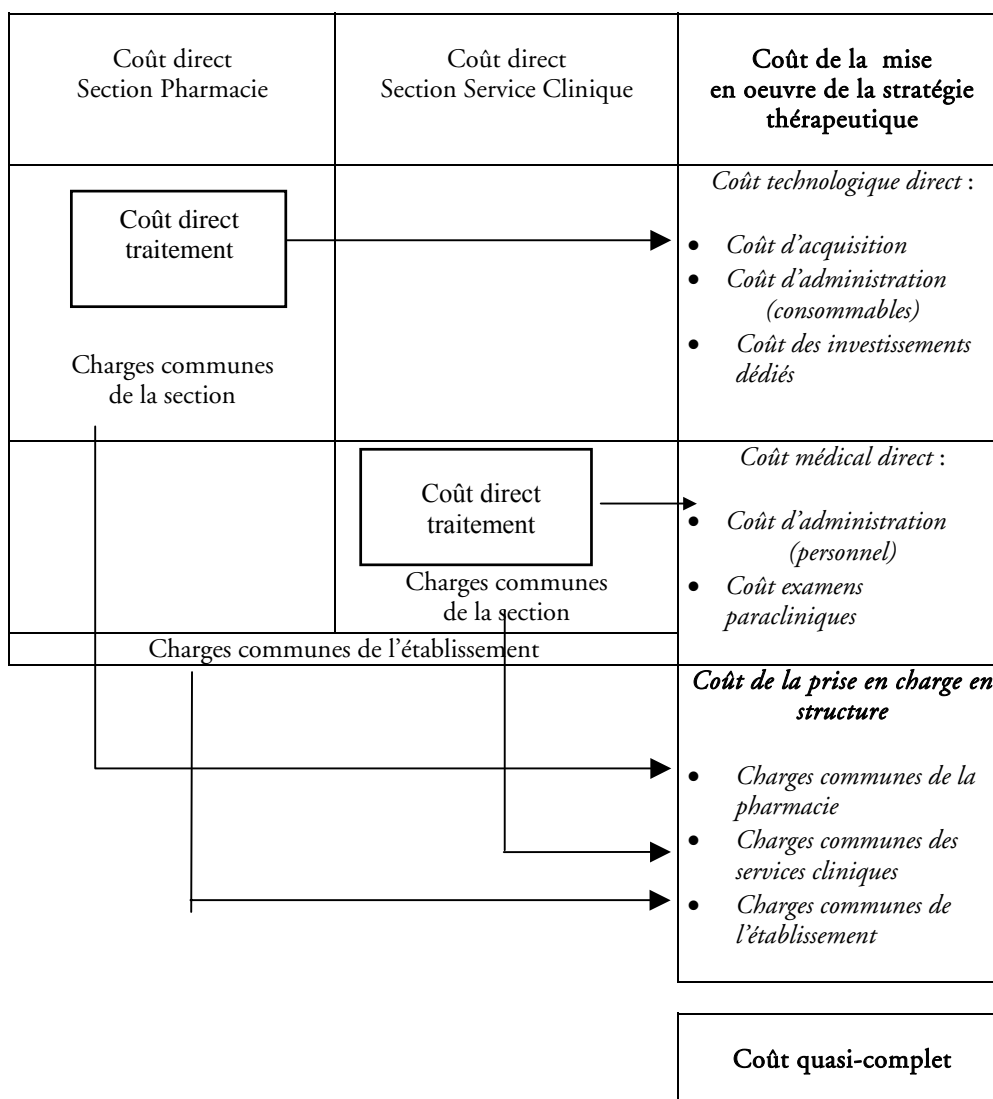
Le mot « directement » peut toutefois être entendu dans deux acceptions différentes : dans l'une, c'est à l'idée de variabilité des charges que l'on se réfère, dans l'autre c'est la possibilité de les individualiser qui est mise en avant, ce qui permet d'y inclure les équipements dédiés. En général, sont relevés à titre principal dans les études micro-économiques, les coûts variables liés aux investigations spécifiques à la technologie mise en œuvre, aux médicaments prescrits et aux consommables qu'exigent leur administration. Les calculs sont le plus souvent faits à partir des coûts standards ayant valeur de normes, celles-ci portent à la fois sur les quantités consommées et les coûts unitaires. Les quantités standards utilisées pour les actes médico-techniques sont celles qui ont été relevées dans des cahiers d'observations ou définies à dire d'experts. En ce qui concerne le médicament, ce sont les dosages recommandés dans le résumé des caractéristiques du produit, qui sont le plus souvent repris. Les coûts unitaires devront être calculés en première intention à partir des ICR, du coût moyen des lettres clés de l'échelle nationale de coût et des coefficients NGAP. Pour les consommables et les produits dont les prix sont négociés, ils seront directement extraits des données comptables du service. Si des temps de personnels sont spécifiés, leurs contre valeur monétaire devront être déduites des postes correspondants du GHM étudié pour éliminer les doubles emplois.

- *Coût de la prise en charge du malade en structure adaptée*

L'enquête nationale de coûts permet de valoriser les séjours hospitaliers associés au traitement des diverses pathologies. Les catégories de coûts qui en définissent les composantes au niveau de chaque GHM peuvent être regroupées en fonction de leur contenu sous chacune des rubriques PMSI du tableau 1. A l'heure actuelle, un GHM n'est cependant pas spécifique à une pathologie. Dans la mesure où un certain nombre de pathologies se rattachent à un GHM et qu'une même pathologie se retrouve dans plusieurs GHM, le GHM est un indice composite de pathologies. De plus, le GHM représente, du fait de son caractère indiciel, une moyenne des durées de séjour affectées à différentes pathologies. La technique dite du « GHM aménagé » permet de corriger le premier biais. On exclura donc des 19 composantes de coût analysées dans l'étude PMSI, une ou plusieurs des 7 rubriques qui se rapportent aux coûts médicaux variables pour les remplacer par les coûts réels directement rattachables à la mise en œuvre d'un protocole particulier. Le véritable coût d'opportunité des initiatives prises, c'est-à-dire la valeur de ce que l'on n'a pas pu faire en faisant ce que l'on fait, peut être intégré dans l'analyse à la place des valeurs moyennes de référence. En revanche, le second biais est difficile à neutraliser. Une nouvelle affectation des dépenses qui sont réparties dans chaque GHM en fonction des durées de séjour exigerait une reconstruction totale de ceux-ci. Ce que la méthode proposée cherche justement à éviter.

Le coût hospitalier total est égal à la somme du coût substitué de la mise en œuvre de la stratégie thérapeutique et de la prise en charge en structure hospitalière. En sont exclues les dépenses d'immobilisations dont le montant est beaucoup plus lié à l'histoire de l'établissement qu'aux capacités de gestion de ses dirigeants. Pour cette raison, « l'échelle » en points ISA sera désignée dans la suite du texte sous le nom de coût quasi-complet.

Figure 1 : Décomposition des coûts directs et indirects hospitaliers par type d'affectation budgétaire



- *Coût total net des recettes atténuatives*

Lorsque le taux d'occupation d'un service est proche de 100 %, l'adoption d'un traitement qui diminue le nombre et la durée des complications permet d'augmenter le taux de rotation des lits et d'accueillir de nouveaux malades, ce qui se traduit par l'enregistrement de nouveaux GHM. La prise en charge des nouveaux entrants entraîne des frais variables supplémentaires, mais elle augmente la quantité des points ISA produits par l'établissement. Leur contre-valeur monétaire est supérieure aux coûts variables liés aux nouvelles entrées. Cette marge sur coûts variables contribue au financement des frais fixes de l'hôpital. Son montant doit être déduit du coût additionnel d'utilisation d'un nouveau traitement ou de son prix de revient complet pour calculer le coût médical net lié à son usage.

Inversement, les traitements qui entraînent des durées de séjour plus longues du fait de leurs complications, embolent des lits et diminuent leur taux de rotation. Il convient alors de calculer quel est le véritable coût d'opportunité de cette situation. Lorsqu'une complication survient, l'hôpital perd de l'argent : il ne peut plus intégrer la contre-valeur des points ISA qui aurait été associée à de nouvelles entrées dans le calcul du budget théorique de l'établissement ; mais en même temps, il en gagne puisqu'il n'a pas à supporter les frais variables engendrés par l'arrivée de nouveaux malades. Le manque à gagner est égal au solde net des sommes qu'il aurait pu encaisser et des frais qu'il aurait dû supporter pour soigner un cas additionnel. Son montant définit le coût caché des complications. Pour obtenir le coût total du traitement, il convient d'ajouter ces coûts d'opportunité indirects aux coûts directs du traitement ou aux coûts complets dont les méthodes de calcul ont été auparavant expliquées.

Les soins de ville

La classification commune des actes médicaux qui va être mise en place en 2004 va entraîner des changements considérables pour la médecine libérale. La C.C.A.M. permet tout d'abord un codage des actes par nature, comme cela avait été prévu par une précédente convention CNAM/médecins libéraux. Ainsi, une analyse des activités des praticiens des différentes disciplines médicales, pourra être réalisée. Par ailleurs, la hiérarchisation de cette nomenclature ayant été réalisée sur les items : stress, effort mental, technicité, durée et travail, l'utilisation en termes tarifaires qui en découle, même si toutes les modalités et les mesures transitoires ne sont pas établies, va entraîner une redistribution des revenus entre les disciplines, fondée sur des critères plus logiques.

Le système de tarification sera basé sur l'exploitation des codes et ne fera plus référence aux lettres-clés et coefficients actuels.

Un code = un libellé = un prix unitaire

Le prix unitaire d'un acte correspondra à l'honoraire versé au professionnel de santé et résultera de la négociation tarifaire.

$$\text{Honoraire} = \underbrace{(W * Fc)}_{(1)} + \underbrace{[W * (Cg + S)]}_{(2)}$$

(1) : Prix du travail : Ressources physiques et intellectuelles

- W : Point de travail médical correspondant à l'ensemble des ressources physiques et intellectuelles mise en œuvre par le praticien. Il englobe stress, compétence technique, effort mental et durée de l'acte dont il est une synthèse complexe.
- Fc : Facteur de conversion monétaire, unique et identique pour toutes les spécialités.

(2) : Coût de la pratique : Charges professionnelles

- W : Point de travail médical.
- Cg : après avoir calculé le coût moyen des charges générales par point dans une discipline, les charges générales sont réparties entre les différents actes qui y sont pratiqués au prorata du travail qu'ils exigent
- S : Surcoûts éventuels liés à des pratiques spécifiques non réalisées par tous les praticiens. Le calcul des surcoûts ne comprend que des charges non prises en comptes dans les charges générales

(Voir Annexe IV pour une présentation approfondie des modalités d'estimation du poids des charges en médecine libérale)

LES ACHETEURS DE SOINS

Ce qui doit dicter en vérité le choix des postes de dépenses dans une étude, c'est beaucoup moins une référence abstraite à un principe d'intérêt général qu'aucune institution administrative ne peut prétendre incarner vu le domaine de compétences qui lui est reconnu, que l'existence réelle d'un espace de négociation où se rencontrent de vrais acheteurs et de vrais vendeurs de soins. S'intéresser à l'évolution de la seule consommation de soins et de biens médicaux pertes de production exclues, en se plaçant d'emblée dans la perspective du système de soins pourrait, de ce point de vue, apparaître judicieux. Mais s'il existe bien une direction de la sécurité sociale au ministère de la santé qui est chargée du pilotage de l'ensemble du système, force est de reconnaître que ses responsables ne sont investis d'aucune responsabilité d'acheteur. Le vrai pouvoir de négociation a été pendant longtemps entre les mains de l'assurance maladie mais il ne l'est plus depuis la redéfinition des rôles respectifs de l'Etat et la sécurité sociale dans la gestion du système de santé français. L'existence d'un monopole bilatéral ou d'un monopsonne d'achat de l'assurance maladie qui était souvent évoquée pour caractériser notre système de soins masque la réalité de son fonctionnement derrière un concept sans contenu. Il existe bel et bien aujourd'hui trois acheteurs: les agences régionales de l'hospitalisation qui arrêtent les budgets des établissements : l'assurance maladie qui négocie avec les représentants de la médecine libérale les conditions de l'exercice en médecine de ville et le comité économique des produits de santé qui est en charge de la fixation des prix du médicament.

Tableau 2 : Regroupement des dépenses en fonction du point de vue adopté

Coûts à colliger	Point de vue choisi				
	Familles	Professionnels de santé	Acheteurs ceps, arh, am	Système de soins	Collectivité nationale
Dépenses médicales	Non remboursées	Liées au traitement	Remboursées	Oui	Oui
Dépenses non médicales	Oui	Non	Non	Non	Oui
Virtualités sacrifiées	Oui	Non	Non	Non	Oui
Impact sur l'activité économique	Pertes de revenus non compensées	Non	Non	Non	Non, si QALY's
Coût de l'Etat Providence	Revenus de substitution	Non	Indemnités journalières	Non	Frais gestion

- *L'agence régionale de l'hospitalisation (ARH)*

Vis-à-vis du directeur de l'agence régionale de l'hospitalisation, la démonstration doit être faite en points ISA par groupes homogènes de malades. Grâce à l'information médicalisée par les hôpitaux et donc à la présentation de leur activité sous forme de GHM, il est possible de proposer un calcul de la dotation globale de référence qui tient compte de l'éventail des cas traités. Avec cette information, la tutelle peut constater si la dotation réelle est très différente de la dotation théorique. Si c'est le cas elle peut convenir avec l'établissement d'un plan progressif de rapprochement de sa dotation avec le budget de référence. Les prix unitaires par GHM sont globaux et n'ont pas besoin de faire apparaître leur décomposition comme c'était le cas précédemment au niveau hospitalier lorsqu'on utilisait l'enquête nationale de coût pour calculer la marge nette sur coût variable. Cette information serait inutile pour la tutelle qui ne saurait pas comment l'employer. Les calculs qui sont conduits pour les ARH peuvent se contenter d'utiliser les points ISA par GHM sans exploiter les résultats de l'enquête nationale des coûts.

- *L'assurance maladie*

Dans le cas où on adopterait le point de vue de l'assurance maladie, on ne recensera que les dépenses auxquelles celle-ci doit faire face, soit au titre de ses prestations en nature sous forme de remboursements des dépenses de ville avancées par les ménages déduction faite des tickets modérateurs, soit au titre des prestations en espèces versées aux assurés sociaux en arrêt de travail.

Pour l'ambulatoire, les consultations médicales (C, V, CS), les actes paramédicaux (AMC-AMK), ainsi que les actes de radiologie et d'exploration fonctionnelle sont valorisés à partir des cotations de la Nomenclature Générale des Actes Professionnels (NGAP) éditée par l'UCANSS (Union des Caisses Nationales de Sécurité Sociale). Les actes de biologie liés à la pathologie quant à eux doivent être valorisés sur la base des cotations de la Nomenclature des Actes de Biologie Médicale (NABM), également éditée par l'UCANSS. Les cures thermales valorisées sont celles qui ne donnent pas lieu à une hospitalisation. Les cures thermales avec hospitalisation peuvent être considérées comme une hospitalisation. La classification commune des actes médicaux (CCAM) doit remplacer au 1^{er} janvier 2004 la Nomenclature Générale des Actes Professionnels pour les actes techniques. La NGAP va continuer à persister pour l'instant pour les consultations, les actes de biologie, les actes paramédicaux et les actes de sage-femme.

Pour évaluer les coûts des prescriptions médicamenteuses, la base de données de la société Vidal-SEMP est utilisable. Cette société édite un répertoire exhaustif des spécialités pharmaceutiques disponibles en pharmacie d'officine et à l'hôpital sous forme de fiches. Un support magnétique (SempexData) rassemble l'ensemble des données pharmacothérapeutiques et économiques sur les spécialités pharmaceutiques. Ce support permet l'utilisation des données dans des programmes ad hoc. La mise à jour des informations est mensuelle. La classification des spécialités utilisée est la classification EPHMRA. Un code composé de 7 chiffres, le code (CIP) permet d'identifier de façon précise chaque conditionnement d'une spécialité pharmaceutique. La valorisation de toutes les prescriptions médicamenteuses du point de vue l'assurance maladie doit être faite sur la base des prix publics.

- *Le comité économique des produits de santé*

Pour le CEPS, c'est le prix fabricant qui doit être utilisé pour valoriser la consommation médicamenteuse. Le calcul fiable des coûts nécessite un recueil précis des données de prescription. Le recueil portera, là aussi, sur le code CIP qui identifie de façon unique la spécialité pharmaceutique prescrite. La valorisation nécessite également la connaissance précise de la posologie prescrite par unité de prise et par jour, puis de la durée totale

de prescription. Le nombre de renouvellement éventuel devra être précisé. En cas de consultation avant l'expiration de la durée de prescription et du renouvellement des médicaments, un item doit être spécifié pour indiquer si le traitement médicamenteux précédent est ou non maintenu. Les médicaments dont les fréquences d'administration sont formulées comme suit « à la demande », « selon le besoin » doivent être valorisés en fonction d'une fréquence définie par convention avec les médecins de l'étude.

LE SYSTEME DE SOINS

L'estimation des dépenses pour le secteur sanitaire au sens où l'entendent les Comptes de la Santé regroupe d'une part, les dépenses admises au remboursement par la sécurité sociale et remboursées par celle-ci après déduction des frais laissés à la charge de l'assuré, et d'autre part, les dépenses qui sont laissées à la charge des familles, soit parce qu'elles ne sont pas remboursées (ticket modérateur de droit), soit parce qu'elles ne sont pas reconnues (ticket modérateur de fait, lié au dépassement d'honoraires ou à l'automédication). Si l'on s'intéresse non plus à l'origine des financements mais à la nature des opérations financées, il s'agit de frais relatifs à l'hospitalisation, aux soins prodigués en milieu ambulatoire, aux dépenses de médicaments et aux transports sanitaires.

LA COLLECTIVITE NATIONALE

Il est communément admis que le choix de la perspective sociétale transcende les clivages budgétaires institutionnels en permettant d'agréger toutes les dépenses quelles que soient leur nature (directes ou indirectes) et leurs sources de financement (sécurité sociale, ménages, état et collectivités locales). Aux dépenses du secteur sanitaire, sont ajoutés le coût des hébergements dans des institutions non médicalisées, celui des équipements familiaux exigés par le maintien à domicile des malades, la valeur des pertes de salaires consécutives à la garde du malade par les membres de sa famille, et enfin les diminutions de rémunération directement liées aux contraintes qu'impose le traitement au malade lui-même. La définition la plus large du coût des soins pour la collectivité intègre même, la valeur des pertes de production dues à la morbidité lorsque celle-ci s'accompagne d'une sortie provisoire ou définitive du monde du travail. Certaines « guidelines » recommandent d'intégrer les coûts non médicaux directs et indirects dans l'estimation du coût socio-économique des traitements. Ces propositions posent à la fois des problèmes pratiques et conceptuels. Ces données ne sont pas toujours relevées dans les essais et à défaut d'informations récentes d'origine indirectes elles ne peuvent pas être intégrées dans l'analyse. Sur le plan théorique, le risque est grand d'aboutir à des doubles emplois entre le numérateur et le dénominateur des ratio coût-efficacité. Très souvent les performances obtenues sont ajustées en fonction du retentissement de la maladie et de son traitement sur la qualité de vie ; or, la plupart des échelles qui explorent ce domaine prennent en compte les répercussions de la maladie sur les rôles sociaux et les occupations habituelles. Valoriser ces absences sur les lieux de travail en les portant sous forme de coût au numérateur, reviendrait à les décompter deux fois.

En aucun cas, lorsqu'on se place du point de vue de la collectivité, les transferts sociaux doivent être pris en compte, La rubrique des transferts sociaux totalise les prestations en espèces relatives aux arrêts de travail, à l'invalidité, au décès. Traditionnellement, on admet que de telles sommes ne bénéficient pas directement au secteur médico-social. Elles sont prélevées sur certains assujettis pour être redistribuées à d'autres et servent à financer des dépenses qui alimentent l'activité économique générale. Il s'agit donc de simples opérations de transfert qui ne correspondent en aucune façon à une affectation spécifique de ressources au bénéfice du secteur sanitaire.

2 - SPECIFICATION DES POSTES DE DEPENSES

Le périmètre de définition du coût dans une perspective donnée dépend de l'objet de coût que l'on choisit d'étudier et du rôle que l'on entend lui faire jouer

La relation entre le coût et les quantités produites exige de préciser par rapport à quel paramètre on qualifie la charge Dans le cadre de l'assurance maladie, par exemple on peut considérer que l'objet de coût se limite aux prestations en nature ou s'étend au contraire à toutes les dépenses dont les caisses sont redevables au titre des prestations en espèces.

Le contenu du coût sera également différent selon les emplois auxquels on le destine. Pourquoi souhaite-t-on le calculer ? Veut-on disposer d'un critère de gestion, d'un moyen de contrôle ou d'un instrument de tarification ?

Dans le premier cas, l'analyse des répercussions financières d'une décision doit enregistrer les dépenses nouvelles qui apparaissent lorsque celle-ci est prise par rapport aux charges qui auraient été constatées si elle ne l'avait pas été. On ne retiendra que les seules rubriques qui sont affectées par la prise de décision, à l'exclusion de celles qui reflètent les conséquences financières de choix passés sur lesquels il est impossible de revenir et on écartera les postes qui se bornent à enregistrer mécaniquement des décisions tarifaires sans tenir compte de la réalité des charges. Ce qui fondamentalement caractérise l'adoption du point de vue de la collectivité nationale par exemple, c'est beaucoup moins l'ampleur du domaine exploré (dépenses sanitaires, dépenses familiales, pertes de production) que l'introduction d'un raisonnement en termes de coût d'opportunité. Les tarifs et les dépenses sont partiellement délaissées au profit d'une recherche de la valeur des efforts réellement déployés par la société en faveur de la santé. La qualité de justesse devient une propriété métrologique essentielle, ce qui requiert de recourir à la technique des « GHM's aménagés » pour prendre en compte la réalité des coûts dans l'indication étudiée

Dans le second cas, la division de l'entreprise en centres de coûts permet de définir pour chaque centre quels sont les coûts contrôlables, ceux sur lesquels le responsable du centre peut exercer une influence, et au regard desquels il est possible d'apprécier sa gestion. Quand on raisonne en termes de centre de responsabilité, l'accent est mis davantage sur le contrôle que sur la prévision. Les propriétés à privilégier sont la précision et la sensibilité.

Dans une perspective de tarification enfin, on prendra en considération toutes les charges supportées au titre de l'activité étudiée (coût complet ou quasi-complet).

En définitive il y a autant de types de coûts que d'utilisations possibles. Pour préciser la nature de l'objet de coûts, il convient donc toujours de préciser où le curseur est positionné dans la liste des postes budgétaires qui sont analysés d'un point de vue donné. et pourquoi

3 - DEFINITION D'UNE FENÊTRE TEMPORELLE

Une décision peut faire sentir ses conséquences jusqu'à la fin des temps. Il convient donc de se fixer un horizon au-delà duquel on se désintéressera des effets produits. Les limites de la prévision doivent être définies dans l'étude de coûts.

Figure 2 : Les impacts possibles en fonction de l'horizon temporel choisi

	Impact pour la sécurité sociale (coût complet)	Impact pour l'hôpital (coût direct)	Impact pour le service (coût variable)	Impact pour la société
Charges Directes		Charges médicales et logistiques variables liées au fonctionnement du service	Charges médicales et logistiques variables liées au traitement	à court terme
		Charges communes du service		à moyen terme
Charges Indirectes				à très long terme

A court terme, compte tenu des rigidités existantes, les seules économies potentielles que l'on peut légitimement espérer d'une réduction de la durée d'hospitalisation ne concernent que les dépenses variables associées à la prise en charge des malades.

A moyen terme, on peut espérer que le redéploiement du personnel médical et paramédical au sein du service ou entre les services permettra de faire l'économie des dépenses directes. Le cas de figure le plus favorable serait celui où le service serait totalement fermé.

Enfin, intégrer dans les économies potentielles les frais d'administration générale ou les frais de structure évités signifierait que l'introduction d'une nouvelle technologie permettrait de raser l'établissement. Une telle solution est évidemment envisageable, comme le prouve l'expérience des hôpitaux Laennec et Broussais, avec la mise sur pied de l'hôpital européen Georges Pompidou. Il faut bien reconnaître que de telles économies ne pourront se manifester qu'à très long terme.

L'analyse des économies à attendre d'un choix dépend toujours du cadre temporel dans lequel on se situe. Cette fenêtre doit toujours être spécifiée. A court terme, compte tenu des rigidités existantes, les seules économies potentielles que l'on peut espérer d'une réduction de la durée d'hospitalisation ne concernent que les dépenses variables du GHM qui est associé à la prise en charge des malades. Il convient de s'en tenir à des calculs en coûts marginaux. A long terme, on tiendra compte de la totalité des charges qui sont enregistrées au titre de ce GHM. Le raisonnement doit être conduit en coûts complets sur la base de prix de revient moyen, par séjour.

Une telle recommandation a pour conséquence que l'application mécanique de la valeur en points ISA pour calculer le coût d'un séjour devient impossible. Seule l'analyse détaillée des composantes des GHM telles qu'elles apparaissent dans l'étude nationale de coûts, permet de procéder à une analyse fine des économies escomptées d'une réduction de la durée d'hospitalisation. Cette distinction entre les horizons temporels successifs qui peuvent être retenus permettrait de moduler le calcul des coûts en fonction des délais qu'exigent les opérations de redéploiement des moyens et des hommes. A chaque horizon choisi, serait donc associée une « vignette de coût » différente dans les modèles de prévisions budgétaires.

4 - SELECTION D'UN MODE DE RECUEIL DE L'INFORMATION

L'analyse des coûts peut être faite de façon rétrospective, prospective ou sur la base de coûts standards. La première analyse suppose que l'on retourne au dossier du malade, la seconde exige la mise sur pied d'une enquête prospective avec cahier d'observation ou recueil sur Internet. La méthode des coûts standards est la plus économique en termes de temps passé ; elle suppose qu'il existe une quantité de soins standards par malade qui peut être valorisée à un prix unitaire de revient déterminé. On peut considérer que les GHM de l'échelle nationale de coûts correspondent eux aussi à des coûts standards, même si leur décomposition en quantité et en prix unitaire n'est pas évidente à un observateur extérieur, ce qui est perçu par les « reviewers » étrangers comme une entorse à la sacro-sainte règle de la nécessaire distinction entre les quantités consommées et les prix unitaires utilisés.

5 – CONCLUSION

On voit bien que le questionnement classique : « Un coût pour qui ? Le coût de quoi ? Un coût pourquoi faire ? Des coûts mesurés à quel moment ? » n'est qu'une facilité pédagogique. Les questions s'interpénètrent, elles exigent réflexion et réponses synchrones. La définition du périmètre des opérations à prendre en compte dépend in fine de l'objet de coût qui a été choisi dans une perspective donnée, de la finalité de l'étude et de l'horizon temporel retenu.

L'économiste n'est pas un comptable, il s'intéresse autant à la valeur du service rendu au malade qu'à l'ampleur des moyens qui sont mobilisés pour le soigner. L'importance qu'il accorde aux facteurs financiers ne découle pas, comme on le croit encore trop souvent, de la volonté de maîtriser les dépenses, elle répond avant tout au souci de sauver le plus grand nombre de vies. Le coût réel d'un traitement, ce n'est pas le montant des frais qu'il entraîne, c'est bien l'étendue des virtualités sacrifiées pour d'autres patients qu'il faudra renoncer à traiter. C'est pourquoi on ne peut se contenter d'étudier les coûts respectifs des différents traitements sans prendre en compte leur efficacité clinique. C'est l'ensemble des résultats obtenus qui doit être rapporté au coût pour décider si un traitement est justifié ou non. Dès lors que des besoins concurrents exercent une pression croissante sur des ressources limitées, c'est la notion d'efficacité qui doit s'imposer.

ANNEXE II : Programme de médicalisation du système d'information (PMSI)

1- LE PMSI

1.1) Historique du PMSI

A la fin des années 60, aux Etats Unis, une nouvelle approche de la gestion hospitalière a été initiée par l'équipe du Pr Fetter de l'Université de Yale. La progression continue des dépenses de santé et l'absence d'indicateurs pertinents pour mesurer l'activité hospitalière ont conduit l'équipe de Fetter à élaborer une classification : les DRGs (Diagnostics Related Groups). Les groupes sont définis pour représenter un niveau identique de consommation de ressources et être cliniquement cohérents. Ce système de classification a été établi par analyse des données à partir d'un échantillon de 1 800 000 dossiers hospitaliers. 333 groupes homogènes de séjours ont été initialement individualisés. A l'heure actuelle la 13^{ème} révision des DRGs comporte plus de 500 groupes. Elle est utilisée dans le cadre du système de paiement prospectif de Medicare destiné aux personnes âgées et handicapées.

La classification DRGs a été adaptée dans de nombreux pays européens dont la France. Ainsi, le PMSI a été introduit en France dès 1982. Après quelques années d'expérimentation, la circulaire du 24 juillet 1989 a généralisé le PMSI dans tous les hôpitaux et instauré une structure chargée de le gérer : le Département d'Information Médicale. Le caractère obligatoire du recueil de l'activité médicale a été renforcé par la loi hospitalière du 31 juillet 1991 (Article L 710-6) qui fait obligation pour les établissements de Santé de procéder à l'analyse de leur activité et de mettre en œuvre des systèmes d'informations qui tiennent compte des pathologies et des modes de prises en charge en vue d'améliorer la connaissance de l'activité et des coûts. En 1994, une expérimentation régionale d'utilisation du PMSI à des fins de correction des bases budgétaires entre établissements a été réalisée en Languedoc Roussillon. La circulaire du 10 avril 1995 a ensuite généralisé le dispositif expérimental à l'ensemble des régions françaises.

Le secteur privé n'est pas absent de cette évolution : l'arrêté du 22 juillet 1996 généralise le PMSI à tous les Etablissements de Santé Privés. Le recueil d'information standard est identique à celui du public hormis l'ajout du numéro de sécurité sociale et le rang du bénéficiaire. Ces deux informations ont pour but de suivre le patient à travers les différents établissements qu'il fréquente afin de mieux connaître les filières de soins. Ce "chaînage" de séjours sera d'autant plus pertinent qu'il concernera les établissements publics dans les prochaines années.

En 1998, le dispositif PMSI s'est étendu aux soins de suite et de réadaptation avec une classification à la journée pondérée. En effet, l'activité de ces services se caractérise par une durée de séjour longue (en moyenne 35 jours). Chaque semaine, un résumé est produit et le patient est classé durant son séjour dans des groupes homogènes de journées différents, en fonction des pathologies et des traitements suivis.

Une classification est en cours pour la Psychiatrie avec une séparation entre l'hospitalisation complète et l'activité ambulatoire. Le PMSI Psychiatrie devrait démarrer au 1^{er} octobre 2001.

1.2) Description des Résumés d'unité médicale (RUM)

Chaque service clinique de court séjour produit un Résumé d'Unité Médicale (RUM). Il contient un nombre limité d'informations administratives et médicalisées. Ce résumé est fait de façon rétrospective à la fin du séjour.

Depuis le 1^{er} janvier 2000 les informations médicales concernent le diagnostic principal, le diagnostic relié, les diagnostics associés significatifs, les diagnostics documentaires et les actes.

- **Le diagnostic principal** est considéré par le médecin responsable du malade à la fin de son séjour dans une unité médicale comme ayant mobilisé l'essentiel de l'effort médical et soignant.
- **Le diagnostic relié** éclaire le contexte pathologique essentiellement lorsque le diagnostic n'est pas en lui même une affection.
- **Les diagnostics associés significatifs** représentent les diagnostics, symptômes ou autres motifs de recours significatifs d'un effort de soins ou de consommations de ressources.
- **Les diagnostics associés documentaires (facultatifs)** regroupent les antécédents guéris, et les pathologies ne justifiant d'aucune prise en charge.

Le codage des diagnostics s'effectue avec la 10^{ème} révision de la Classification Internationale des Maladies (CIM10).

Les actes peuvent être des actes classants et non classants. Un acte est classant si l'acte est susceptible de modifier le classement du RSS en Groupe Homogène de Malades (GHM) ; autrement dit s'il est prédictif d'un type de prise en charge particulier, discriminant en termes de consommation de ressources. Dans le cas contraire, il est non classant. Il peut être opératoire au sens de la classification GHM car réalisé au bloc opératoire ou non opératoire.

Les actes contenus dans le RUM sont codés à l'aide du Catalogue des Actes Médicaux (voir Annexe III)

Les résumés sont transmis au DIM qui effectue le groupage des Résumés et leur classement en Groupes Homogènes de Malades (GHM) grâce à un algorithme de groupage automatisé.

1.3) Description des Groupes Homogènes de Malades(GHM)

La définition des GHM est la suivante : Les Groupes sont identifiés pour une double homogénéité médicale et économique. Chaque groupe rassemble des malades ayant un niveau de consommation de ressources identique et des caractéristiques médicales voisines.

***Exemple** : en Cardiologie on distingue pour une même pathologie : le GHM 178 infarctus du myocarde avec complications cardiovasculaires et sortie en vie de l'établissement, le GHM 179 infarctus aigu du myocarde sans complications cardiovasculaires et le GHM 180 infarctus du myocarde avec décès.*

La classification des Groupes Homogènes de Malades comprend 560 GHM répartis dans 27 Catégories Majeures de Diagnostics (équivalents aux spécialités médicales). Elle permet un classement exhaustif et unique. Tout séjour est obligatoirement classé dans un Groupe Homogène de Malades et un seul.

Les principales variables qui orientent le séjour vers un Groupe Homogène de Malades sont : le Diagnostic Principal, la présence d'un acte classant, la comorbidité ou complication associée, l'âge.

Cette classification fait l'objet d'actualisation régulière ; la classification s'est enrichie progressivement au fil des versions : création de GHM spécifiques à des pathologies lourdes (transplantations, SIDA, polytraumatisés), introduction de listes de comorbidités sévères (septicémies, pneumopathies, endocardites, etc...) caractérisant les séjours de poids économiques importants. La version 6 de la classification est utilisée pour les données de l'année 2000. Le diagnostic relié n'intervient pas pour l'instant dans l'orientation des GHM mais la version 7 prévue pour 2002 devrait connaître une évolution radicale intégrant une nouvelle manière de grouper les séjours selon la méthode de l'effeuillage progressif ; l'objectif étant de mieux qualifier les séjours hospitaliers sur le plan médical.

L'utilisation du PMSI à des fins d'allocation budgétaire a nécessité la constitution d'une base nationale de Coûts par séjour qui permet de calculer des coûts de référence par GHM.

1.4) Etude nationale de coûts

Par la circulaire du 28 février 1992, la Direction des hôpitaux a décidé de construire une base nationale de coûts par séjour constituée à partir d'un échantillon d'établissements hospitaliers publics et PSPH volontaires.

Le calcul des coûts par séjour s'effectue à partir de trois grandes composantes : les coûts médicaux, les coûts médico-techniques, les charges de structure et les charges logistiques.

Les coûts médicaux comprennent :

- les dépenses directement affectées au séjour des patients : sang, prothèses et implants, médicaments coûteux, matériels à usage unique coûteux, actes effectués à l'extérieur ;
- les dépenses de chaque service de soins dans lequel a séjourné le patient : salaires des personnels médicaux, salaires des personnels soignants, salaires des autres personnels, dépenses d'amortissement et de maintenance du matériel médical de ces unités, les dépenses de logistique médicale. Ces dépenses sont réparties à la journée.

Les coûts médico-techniques comprennent les dépenses liées aux actes ayant utilisé le plateau technique de l'établissement, ventilées au moyen d'unités d'œuvre spécifique : l'indice de coût relatif ou ICR.

Les charges de structure comprennent les frais financiers, amortissements, immobiliers, impôts hors personnel.

Les charges de logistique comprennent la blanchisserie, la restauration, la gestion générale et autre logistique. Ces deux coûts sont répartis sur les activités au prorata des francs de charges directes puis sont ventilés sur les séjours des patients selon le nombre de journées.

1.5) Construction de l'échelle nationale de coûts relatifs par GHM

L'échelle de coût par GHM est construite à partir du coût moyen observé dans la base de données pour chaque GHM.

Par convention, le GHM 540 (accouchement par voie basse sans complication) reçoit un poids de 1000 points ISA (Indice Synthétique d'Activité) et tous les autres GHM se positionnent par rapport à ce GHM calant.

Sur l'échelle 2000, les valeurs prises par les GHM s'étendent de 105 points pour séance de radiothérapie à 30 538 points pour la transplantation hépatique. L'échelle nationale de coûts est actualisée tous les ans afin de tenir compte de l'évolution de la classification en GHM, des procédures de soins et des coûts.

2- L'UTILISATION DU PMSI POUR LE CALCUL DU COUT D'UNE HOSPITALISATION DANS LE SECTEUR HOSPITALIER PUBLIC ET PRIVE PARTICIPANT AU SERVICE PUBLIC (PSPH)

Plusieurs méthodes, présentées ici par degré de précision croissante, peuvent être utilisées pour calculer le coût d'un séjour hospitalier défini par le diagnostic principal de la maladie traitée et/ou par l'acte ou les actes chirurgicaux qui ont été réalisés au cours du séjour. On rappellera d'abord quelques données de base sur le calcul du nombre de points ISA par GHM.

Le nombre de points ISA attribué à un GHM est obtenu grâce à une enquête permanente menée auprès de centres hospitaliers volontaires, qui fournissent à la fois des données d'information médicale et des données de coût dérivées de leur comptabilité analytique interne, selon une méthode uniforme définie par la Direction des Hôpitaux et de l'Organisation des Soins. Cette étude s'intitule Etude Nationale des Coûts par Activité Médicale⁴⁰. On peut considérer en première approximation que le nombre de points ISA d'un GHM reflète les coûts moyens relatifs de chaque groupe calculés sur la base de données fournies par les établissements volontaires. La valeur nationale en Euros ou en Francs du point ISA est obtenue chaque année en divisant les dépenses hospitalières publiques de court séjour par le nombre de points ISA correspondant à l'ensemble des séjours réalisés dans l'année dans le secteur hospitalier public et PSPH.

Le site PMSI (www.le-pmsi.fr) permet un accès sans limite aux informations suivantes. En premier lieu, l'accès en ligne permet de consulter la base nationale de l'ensemble des séjours hospitaliers de court séjour, public et privé (depuis 1997, avec deux ans de retard par rapport à l'année en cours). Il n'est cependant pas possible d'avoir accès à une extraction d'un échantillon de séjours, mais à des tableaux correspondant aux résultats de requêtes standards. Par exemple, on peut connaître les GHM où sont classés les séjours présentant un diagnostic principal particulier, un acte particulier, on peut connaître la statistique d'un GHM (effectif, durée moyenne de séjour, écart-type, min-max, etc.) par statut et type d'établissement, il est aussi possible d'avoir accès à des statistiques régionales. Deuxièmement, on peut télécharger tous les ans deux tableaux importants : l'échelle de points ISA par GHM, et le tableau qui indique les coûts moyens par GHM obtenus sur l'échantillon des établissements qui font partie de l'Etude Nationale de Coûts par Activité Médicale.

1^{ère} méthode

La population d'étude pour laquelle on veut calculer le coût complet d'un séjour hospitalier est définie soit par une série de diagnostics principaux codés en Classification Internationale des Maladies (CIM) 9^{ème} édition ou 10^{ème} édition, soit par une série d'actes codés jusqu'en 2003 à partir du Catalogue des Actes Médicaux.

On peut alors dans un premier temps procéder à une interrogation en ligne de la base PMSI nationale Chapitre MCO, sous-chapitre Statistiques. L'accès en ligne permet de consulter la base nationale de l'ensemble des séjours hospitaliers de court séjour, public et privé (depuis 1997). Pour notre propos, les interrogations utiles peuvent se faire selon plusieurs entrées : le diagnostic principal, l'acte dit classant, le GHM. Pour chacune de ces entrées, une statistique plus ou moins détaillée est possible.

La méthode la plus élémentaire consiste alors à interroger la base de façon à repérer dans quels GHM les diagnostics ou les actes pertinents pour la population étudiée se retrouvent. Prenons l'exemple d'une interrogation avec une liste de diagnostics. On obtient alors une liste des GHM dans lesquels ces diagnostics sont présents à titre de diagnostic principal, avec la part relative prise par ces diagnostics dans l'ensemble des séjours regroupés dans chaque GHM. Le

⁴⁰ Guide Méthodologique de comptabilité analytique hospitalière. Tome 1- Tome 2- Tome 3- Sommaire- le calcul des coûts par activité- le calcul des coûts par séjour. ISBN 2-11-092510-8, Ministère des Affaires Sociales, 1997.
Echelle Nationale des coûts relatifs par Groupes Homogènes de Malades. ISBN 2-11-120270-3, Ministère des Affaires Sociales, 1997.

tableau suivant est un extrait de la base des hospitalisations dans le secteur public pour l'année 1999, avec comme diagnostic d'entrée « Reflux Gastro-oesophagien avec oesophagite ».

Base publique - Année 99

DIAGNOSTIC K210 - Reflux gastro-œsophagien avec œsophagite

GHM :		effectif	%
213	Interventions majeures sur l'intestin grêle et le côlon, âge supérieur à 69 ans et/ou CMA	5	0.064
214	Interventions majeures sur l'intestin grêle et le côlon, âge inférieur à 70 ans sans CMA	12	0.153
215	Interventions sur l'œsophage, l'estomac et le duodénum, âge supérieur à 69 ans et/ou CMA	281	3.576
216	Interventions sur l'œsophage, l'estomac et le duodénum, âge de 18 à 69 ans sans CMA	1080	13.74
217	Interventions sur l'œsophage, l'estomac et le duodénum, âge inférieur à 18 ans	151	1.921
226	Interventions réparatrices pour hernies et éventrations à l'exception des hernies inguinales et crurales, âge supérieur à 69 ans et/ou CMA	4	0.051
232	Interventions sur le rectum et l'anus autres que les résections rectales, âge inférieur à 70 ans sans CMA	3	0.038
233	Autres interventions sur le tube digestif, âge supérieur à 69 ans et/ou CMA	5	0.064
234	Autres interventions sur le tube digestif, âge inférieur à 70 ans sans CMA	15	0.191
256	Gastro-entérites et maladies diverses du tube digestif, âge supérieur à 69 ans et/ou CMA	1436	18.27
257	Gastro-entérites et maladies diverses du tube digestif, âge de 18 à 69 ans sans CMA	1169	14.87
258	Gastro-entérites et maladies diverses du tube digestif, âge inférieur à 18 ans	1143	14.54
262	Affections du tube digestif avec CMAS	178	2.265
706	@Affections du tube digestif : ambulatoire, avec autre acte opératoire	9	0.115
806	@Affections du tube digestif : ambulatoire, sans acte opératoire	2353	29.94
890	@Transfert immédiat	8	0.102
Autres GHMs		7	0.089
TOTAL		7859	100

La valorisation du coût d'un séjour pour reflux gastro-oesophagien avec oesophagite peut alors se faire, en première approximation, en associant à chaque GHM son nombre de points ISA et en calculant le nombre de points ISA pondérés par la part relative de chaque GHM (dernière colonne du tableau). Ensuite, on multiplie le nombre pondéré de points ISA ainsi obtenu par la dernière valeur connue du point ISA au niveau national, également connue sur le site PMSI.

Cette méthode a l'avantage de la simplicité, mais elle peut être lourde à mettre en œuvre s'il y a plusieurs diagnostics à rechercher, car elle requiert une interrogation séquentielle de la base. Par ailleurs, elle réintroduit en fait une hétérogénéité des coûts que les GHM sont censés prendre en compte, en mélangeant les coûts moyens de plusieurs groupes. On peut certes l'affiner en séparant GHM dits chirurgicaux et GHM dits médicaux, mais cela reste encore sommaire. Il est donc recommandé de ne l'utiliser que si l'on souhaite calculer un coût de la prise en charge hospitalière d'une pathologie. En revanche, elle n'est pas assez spécifique pour réaliser une étude coût-efficacité. Notons enfin que l'interrogation en ligne sur le site PMSI ne permet de faire des interrogations croisées Diagnostics/Actes.

On peut estimer très grossièrement un intervalle de confiance avec cette méthode, en partant des données publiées par GHM sur le site du PMSI. On connaît en effet la durée moyenne de séjour et son écart-type pour chaque GHM. Il faut alors faire l'hypothèse que 1) il y a une bonne relation entre la durée moyenne de séjour d'un GHM et son nombre de points ISA, 2) que la variance de la durée de séjour est la même pour tout sous-échantillon de séjour d'un GHM donné.

2^{ème} méthode

Elle consiste à partir d'un échantillon de séjours provenant de l'Etude Nationale des Coûts par Activité Médicale. Cet échantillon peut être obtenu par demande écrite adressée à la Direction des Hôpitaux et de l'Organisation des Soins. Les limites à cette demande sont les suivantes :

- pas d'identification de l'établissement ;
- pour les patients dont l'âge est supérieur à 90 ans ou inférieur à 1 an, l'âge n'est pas précisé, mais la classe d'âge correspondante ;
- les séjours avec décès ne sont pas communiqués.

On peut alors demander une extraction en fonction de plusieurs critères, diagnostiques ou d'actes, de façon à approcher au mieux la population à l'étude. On obtient une statistique de coût sur un échantillon, sur laquelle on peut estimer un intervalle de confiance. Il faut néanmoins procéder à deux ajustements.

En premier lieu, l'échantillon de l'Etude Nationale n'est pas représentatif. Pour calculer le nombre de points ISA par GHM, un certain nombre de redressements sont effectués, mais lorsque l'on fait une extraction, on dispose des données brutes sans identification des établissements, et on ne peut pas procéder à ces ajustements. Il convient donc de commencer par calculer, à partir du fichier des coûts de référence par GHM, une valeur du point ISA de l'Etude de Coût. Il suffit pour ce faire de calculer le nombre total de points ISA de l'échantillon de l'Etude de Coûts et de le rapporter au budget total des établissements de cette même étude, obtenu en multipliant l'effectif de chaque GHM par son coût moyen. On compare alors le coût par point ISA de l'étude à celui obtenu au niveau national, et publié également sur le site PMSI. S'ils sont sensiblement différents, on peut appliquer aux coûts de l'échantillon sur lequel on travaille un facteur de correction, égal au rapport entre le coût par point ISA national et le coût par point ISA de l'Etude de Coûts.

Deuxièmement, le point ISA ne couvre pas les coûts dits de structure (frais financiers, amortissement et entretien du patrimoine immobilier) et il faudra donc les exclure de l'ajustement précédent, pour les rajouter ensuite. Il existe donc pour ces postes de coût un biais d'échantillonnage non corrigé, mais qui a peu d'impact sur le coût total.

3^{ème} méthode

Dans la méthode précédente, on fait l'hypothèse d'un appariement parfait entre la population cible de l'étude économique et l'échantillon de l'Etude de Coûts. Cette hypothèse est rarement vérifiée parfaitement. On peut alors procéder de la façon suivante :

On peut procéder à une modélisation du coût attendu d'un séjour pour la population cible, à partir des données de l'échantillon. Cela revient par exemple à utiliser un modèle de régression dont la variable dépendante est le coût par séjour sur l'échantillon, et les variables explicatives les caractéristiques de la population cible qui sont connues et qui distinguent celle-ci des autres patients de l'échantillon (par exemple, l'âge, le sexe, des diagnostics associés, les actes qui ont été effectués). On dispose alors d'un modèle qui permet d'ajuster les données de l'échantillon aux caractéristiques de la population cible.

Autres utilisations de l'Etude Nationale de Coûts et de la Base Nationale.

Dans le cadre d'une étude économique, on dispose parfois d'observations directes de consommation de ressources à l'hôpital, en termes de nature d'actes médico-techniques effectués, d'actes de laboratoire, et de nombre de journées d'hospitalisation. Or, sauf à réaliser des enquêtes *ad hoc*, on dispose en revanche rarement de coûts unitaires pour ces actes et examens complémentaires. Lorsque ces études *ad hoc* sont réalisées sur un petit nombre de sites, on ne peut garantir la représentativité des résultats. Certes, cet aspect est relativement mineur pour calculer le sens d'un résultat, puisque ce qui va compter est une consommation en volume mesurée entre deux traitements, et valorisée par des coûts unitaires identiques. Néanmoins, l'hétérogénéité éventuelle des coûts unitaires rend les comparaisons d'études difficiles, et donc les comparaisons de ratio incrémental coût-efficacité. Il est possible, à partir des données du PMSI, de calculer des coûts unitaires par examen ou acte qui se rapprochent d'une représentativité au niveau national, et qui pourraient être utilisés pour toutes les études.

En effet, l'Etude Nationale des Coûts et les coûts de référence fournissent l'information suivante. Pour chaque GHM, sont connues les données suivantes :

B de labo	Nombre de B de laboratoire	Dépenses de laboratoire
ICR bloc	Nombre d'ICR de bloc	Dépenses de bloc opératoire
ICR radio	Nombre moyen d'ICR d'imagerie	Dépenses d'anesthésie
ICR anesthésie	Nombre moyen d'ICR d'anesthésie	Dépenses d'imagerie
ICR explo. fonc.	Nombre moyen d'ICR d'exploration fonctionnelle	Dépenses d'exploration fonctionnelle
ICR dialyse	Nombre moyen d'ICR de dialyse	Dépenses de dialyse
Nb actes radioth.	Nombre d'actes de radiothérapie	Dépenses de radiothérapie

On est donc en mesure de calculer, sur l'ensemble des GHM, un coût moyen du B ou des ICR. Ce coût moyen est un coût moyen pondéré par l'effectif de chaque GHM, tel qu'il est obtenu à partir de la base nationale PMSI.

Soit B_i le nombre moyen de B par séjour du GHM i ; soit D_i la dépense moyenne par séjour d'actes de laboratoire pour le GHM i ; soit N_i l'effectif en nombre de séjours du GHM i , obtenu à partir de la base nationale PMSI. Alors le coût moyen du B obtenu à partir de l'Etude de Coût est égal à :

$$\frac{\sum_i N_i D_i}{\sum_i N_i B_i}$$

A partir de ce calcul, si on connaît la nature des examens complémentaires qui ont été prescrits au cours d'une hospitalisation, et le nombre de B associés grâce à la Nomenclature Générale des Actes de Biologie Médicale, on peut calculer le coût de ces examens. On rappellera cependant que ce coût couvre uniquement les charges directes de fonctionnement des laboratoires, à savoir les salaires, les consommables médicaux, et l'amortissement du matériel. On peut distinguer dans le calcul de ce coût le poste salaires des autres postes.

Le principe du calcul est le même pour l'ICR (Indice de Coût relatif) de chirurgie, ou d'anesthésie, d'imagerie ou d'exploration fonctionnelle. Le catalogue de référence est cette fois-ci le Catalogue des Actes Médicaux, qui sera remplacé en 2003 par la Classification Commune des Actes Médicaux.

Enfin, on dispose également d'une base permettant de calculer le coût des actes réalisés en externe à l'hôpital public. Sur le site PMSI, il est possible de télécharger un fichier donnant la valeur des lettres-clés des actes réalisés en externe. Ce fichier permet de transformer l'activité externe des établissements publics, mesurée à partir des lettres-clés de la Nomenclature Générale des Actes Professionnels (Cs, B, K, Z et autres) en équivalents points ISA. Par exemple, en 2000, une CS était cotée 11,9171 points ISA, si la valeur nationale du point ISA était de 13 FF, la CS coûtait 154,92 FF.

3 - L'UTILISATION DU PMSI POUR LE CALCUL DU COUT D'UNE HOSPITALISATION DANS LE SECTEUR HOSPITALIER PRIVE

Le secteur hospitalier privé à but lucratif pose un problème spécifique de calcul du coût d'un séjour, qui est celui des honoraires médicaux. On dispose à l'heure actuelle des données suivantes. Sur le site PMSI, on peut télécharger un fichier qui indique une échelle en points ISA des GHM dans l'hospitalisation privée. Cette échelle est construite à

partir des bordereaux 615 de facturation des soins au patient pour chaque séjour. Elle n'inclut cependant pas les honoraires médicaux, ce qui n'assure pas sa comparabilité avec l'échelle publique. Pour estimer un coût par GHM, il est donc nécessaire de repérer les principaux actes liés à celui-ci et de les facturer sur la base de la valeur des lettres-clés de la Nomenclature Générale des Actes Professionnels. Ceci est relativement faisable pour des GHM dits de chirurgie, mais plus difficile pour les autres GHM, pour lesquels on ne va pas connaître le détail des actes médico-techniques prescrits. Une estimation très approximative consiste à facturer une consultation spécialisée (Cs) par journée d'hospitalisation. Enfin, la valeur du point ISA du secteur privé est communiquée sur demande par l'ADIMEHP (site internet hébergé par le site de l'Union Hospitalière Privée : www.uhp.fr).

Depuis peu, cette association, émanation du syndicat de l'hospitalisation privée à but lucratif, a produit une étude de coûts en utilisant une méthodologie similaire à celle de l'étude dans le secteur public. 30 établissements ont fourni une base d'environ 200 000 séjours et 28 000 séances sur l'exercice 1998, permettant d'estimer des coûts moyens par GHM incluant cette fois-ci le montant des honoraires médicaux. On peut donc à partir de cette base, faire le même type de calcul que ceux qui ont été décrits plus haut sur le secteur public.

La base nationale PMSI permet par ailleurs, GHM par GHM, de calculer des parts de marché relatives entre les secteurs publics et PSPH d'une part, et privé à but lucratif d'autre part. On peut donc calculer un coût pondéré public/privé.

ANNEXE III : Catalogue des Actes Médicaux (CdAM) et Indice de Coût Relatif (ICR)

2.1 - LE CATALOGUE DES ACTES MEDICAUX (CDAM)

Les actes contenus dans le RUM sont codés à l'aide du Catalogue des Actes Médicaux (CdAM). Publié pour la première fois en 1985, le CdAM a été élaboré par des comités d'experts médicaux coordonnés par la Direction des Hôpitaux. Il répond à deux objectifs :

- identifier les actes réalisés pendant le séjour du patient ;
- mesurer la consommation de ressources humaines et matérielles pour réaliser cet acte, au moyen d'un Indice de Coût Relatif (ICR).

Le CdAM est actuellement structuré en cinq champs correspondant chacun à un domaine de l'activité médico-technique et repéré par une lettre de l'alphabet grec :

- champ Alpha : actes diagnostiques et thérapeutiques,
- champ Bêta : actes d'anesthésiologie,
- champ Gamma : actes d'imagerie médicale,
- champ Mû : actes de radiothérapie,
- champ Oméga : actes de réanimation.

2.2 - L'INDICE DE COUT RELATIF (ICR)

Il a été élaboré dans le cadre de la mise au point du modèle de comptabilité analytique hospitalière utilisé pour l'étude nationale de coût. C'est une unité d'œuvre comptable qui permet de ventiler les charges liées aux actes médico-techniques entre les séjours.

L'ICR exprime le niveau de mobilisation de ressources humaines et matérielles.

Il est relatif : dire qu'un acte a un ICR de 100 et un autre un ICR de 50 signifie que le premier consomme en moyenne deux fois plus de ressources humaines et matérielles que le second.

Les ICR ont été déterminés dans des conditions standards optimales dites des règles de l'art par des médecins des différentes disciplines, des cadres soignants et des infirmières, des spécialistes de la comptabilité et de l'équipement biomédical d'établissements d'hospitalisation publics et privés. Un ICR est en effet la somme de trois sous indices :

- un indice d'activité médicale (IAM) qui traduit la mobilisation des médecins : leur nombre, leur qualification et la durée de l'acte ;
- un indice d'activité soignante (IAS) qui tient compte des mêmes éléments pour le personnel soignant non médical ;
- un indice de consommation de ressources matérielles (IRCM) calculé selon les moyens (en matériel, en consommables...) nécessaires à l'acte.

Le champ alpha a été le premier pour lequel les ICR ont été calculés. La détermination des IAM a suivi les étapes suivantes :

- sélection des actes de référence, dits actes calants : il s'agit d'actes fréquemment réalisés, bien standardisés sur le plan technique ;
- identification des ressources nécessaires selon les composantes de l'IAM, à la réalisation des actes calants ;
- détermination de l'IAM des autres actes par rapport à celui des actes calants.

L'IAM de chaque acte étant calculé, IAS et ICRM lui ont été ajoutés. Le calcul de l'ICR global a alors consisté en une valorisation monétaire tenant compte du coût de chaque catégorie de personnel et du matériel utilisé. Les trois sous indices valorisés en francs ont été additionnés puis leur somme divisée par 25 pour obtenir des chiffres facilement utilisables.

La maintenance du CdAM est confiée au Pôle d'expertise et de référence nationale des nomenclatures de santé (PERNNS) mais cette nomenclature vit ses dernières années d'utilisation avant d'être remplacée par la Classification Commune des Actes Médicaux.

Annexe IV : Méthodologie pour l'évaluation des charges professionnelles des médecins en vue de la tarification des actes techniques

1 - PRINCIPES GENERAUX

Une nouvelle nomenclature de tous les actes techniques des spécialités médicales et chirurgicales est en cours de réalisation depuis 1996 : la Classification Commune des Actes Médicaux (CCAM).

Son objectif est double :

- (a) construire une liste de libellés codés, commune aux secteurs public et privé, qui se substituera à celle du Catalogue des Actes Médicaux (CdAM) et de la Nomenclature Générale des Actes Professionnels (NGAP) ;
- (b) refondre de manière globale et synchrone les honoraires médicaux afin d'élaborer une nomenclature tarifaire cohérente et " neutre " (c'est-à-dire dépourvue de distorsions majeures par rapport à la réalité du travail médical et des ressources mobilisées dans la réalisation de chaque acte).

A cet effet, le pôle nomenclature de la CNAMTS a élaboré une méthodologie, adaptée des travaux du département de santé publique d'Harvard à Boston⁴¹, qui se fonde sur une hiérarchisation des actes en fonction des ressources mobilisées par le praticien. Celles-ci sont de deux types : d'une part le travail médical mis en œuvre par le praticien, d'autre part les charges professionnelles qui lui incombent en propre, appelées " coût de la pratique ".

Le travail médical est évalué par des panels d'experts émanant des sociétés savantes, selon une méthode de hiérarchisation consistant à affecter à chaque acte une valeur relative (ou score) exprimée en " points travail " synthétisant des indicateurs de durée, stress, compétence technique et effort mental. Cette hiérarchisation se fait en deux temps : d'abord au sein de chaque discipline étudiée indépendamment des autres, puis entre les disciplines de façon à rechercher des passerelles ou encore des équivalences inter-disciplinaires qui conduiront à une échelle unique du travail médical.

Le coût de la pratique est estimé directement en francs, à partir d'informations recueillies auprès de la Direction Générale des Impôts (DGI), de praticiens et de fabricants. La méthode d'évaluation fait l'objet de cette publication. Le score du travail est exprimé en nombre de points. Pour passer à sa valeur monétaire, il faut calculer un coefficient, appelé facteur de conversion monétaire (Fc), qui jouera donc pour le travail médical le rôle d'une lettre-clé unique. Le facteur de conversion est évalué de la manière qui suit.

On part de l'enveloppe totale allouée à la rémunération des actes techniques de l'ensemble des spécialités. Cette enveloppe globale est par définition égale à la somme de la rémunération du travail médical et du coût de la pratique. La rémunération totale du travail médical est donc égale à l'enveloppe totale allouée aux actes techniques moins les charges correspondant aux actes techniques.

Si on connaît le nombre total de points travail réalisés, alors le calcul du facteur de conversion est simple : il est égal à la rémunération totale du travail médical divisé par le nombre de points travail.

La formule de Fc est donc :
$$Fc = \frac{[Enveloppe\ totale - Charges\ totales]\ des\ actes\ techniques}{Somme\ des\ points\ travail\ des\ actes\ techniques}$$

L'honoraire de l'acte est alors estimé par la somme du prix du travail (i.e. score du travail obtenu par la hiérarchisation, multiplié par le facteur de conversion monétaire) et du coût de la pratique :

$$Honoraire\ de\ l'acte = [Score\ de\ travail \times Fc] + Coût\ de\ la\ pratique\ de\ l'acte$$

L'ensemble de la démarche nécessite de connaître la fréquence des actes techniques. Celle-ci sera évaluée, pour les actes chirurgicaux, à partir des données du PMSI privé, pour les actes réalisés en ambulatoire, à partir d'une enquête spécifique auprès des praticiens, réalisée par l'Echelon national du service médical de la CNAMTS⁴².

L'ensemble des travaux d'évaluation du travail médical et du coût de la pratique serviront de base aux négociations tarifaires avec les syndicats représentant les professionnels, qui auront lieu préalablement à la fixation des tarifs.

Une phase de transition permettra d'adapter progressivement les tarifs actuels aux tarifs-cibles.

⁴¹ Hsiao w.c, Braun P., Dunn D., Becker R. "Resource-based Relative Values : an overview", JAMA, 1988, 16 : 2347-2443

⁴² Cette enquête porte sur un échantillon de 50 000 actes représentatifs des actes techniques médicaux réalisés en secteur ambulatoire libéral, identifiés selon les libellés CCAM.

Dès l'application de la CCAM, un dispositif de maintenance sera mis en place. Il assurera à la fois le suivi des évolutions concernant les actes déjà inscrits à la CCAM et l'introduction de nouveaux actes ou de nouvelles techniques après validation par l'ANAES.

2 - ÉVALUATION DU COUT DE LA PRATIQUE

Le coût de la pratique recouvre les charges professionnelles qui incombent en propre au praticien (frais en personnel, charges locatives, frais financiers etc.). Il est estimé en francs par acte afin d'être intégré à l'honoraire.

2.1 Le contexte

2.1.1) Le paiement à l'acte

La refonte tarifaire de la nomenclature est élaborée dans le cadre du paiement à l'acte.

2.1.2) Une enveloppe à répartir

Le montant total de l'enveloppe affectée aux honoraires étant fixé (déduit de l'ONDAM), l'estimation du coût de la pratique influe mécaniquement sur celle du facteur de conversion monétaire ; toute surestimation du coût de la pratique d'une discipline conduit à une sous-évaluation du facteur de conversion monétaire (et réciproquement) et introduit une distorsion structurelle des honoraires entre disciplines : ce que l'on donne " en trop " à une discipline est pris sur les honoraires des autres disciplines.

2.1.3) Un tarif unique par acte

Le tarif d'un acte sera *a priori* le même quels que soient la région, la spécialité et le type de structure d'exercice (cabinet individuel, cabinet de groupe ou établissement privé). Pour les actes communs à plusieurs spécialités, le coût de la pratique sera évalué pour chacune, puis comparé : s'il est significativement différent d'une spécialité à l'autre, il sera nécessaire de réaliser des études complémentaires pour identifier les sources d'hétérogénéité. Le cas échéant, il faudra, pour maintenir l'unicité tarifaire, convenir d'un compromis.

2.1.4) La refonte des honoraires est réalisée séparément de celle du système de rémunération des établissements

Ces deux refontes sont mises en œuvre par des acteurs différents. De plus, le scénario de réforme du système de rémunération des établissements n'est pas encore fixé. Il était donc impératif de cerner sans ambiguïté les charges réelles des praticiens correspondant au champ actuel des honoraires. Des évolutions seront éventuellement possibles par la suite qui nécessiteront l'accord de tous les acteurs concernés.

2.1.5) Un champ limité aux actes techniques

La CCAM concerne, pour l'instant, un champ partiel de l'activité médicale et dentaire : celui des actes techniques ; elle n'intègre pas les consultations. On estimera donc la part des charges professionnelles correspondant aux actes techniques (cf. § 3.2).

2.2 La méthode

L'option retenue consiste à utiliser les charges observées, sans jugement normatif *a priori* (cf. § 3.1).

Pour prendre en compte le fait que le taux et la structure des charges professionnelles sont différents selon les spécialités, l'évaluation des charges est réalisée par discipline ou groupe de disciplines. Néanmoins, la méthode d'évaluation fait appel à une démarche transversale, c'est à dire comparable pour le recueil des informations et l'analyse de la structure des charges de chaque discipline : une évaluation fondée sur des données dont la cohérence globale n'est pas garantie pourrait conduire à une sur- ou sous-estimation du coût de la pratique pour telle ou telle discipline, ce qui peut induire une estimation biaisée du facteur de conversion monétaire (cf. § 0).

Pour l'évaluation du coût de la pratique, deux cas sont distingués : le cas général et celui des équipements lourds. Dans le cas général, le tarif de l'acte ne dépend pas du volume d'activité, dans le cas des équipements lourds, la rémunération des charges par acte varie de part et d'autre d'une activité de référence.

2.2.1) Le cas général

Les charges générales

Pour de nombreux actes, les charges professionnelles sont essentiellement des charges “générales” non spécifiques d’une activité particulière au sein d’une même discipline (personnel, loyer, redevances, etc.), ou bien se rapportant à une activité particulière pratiquée par l’ensemble des médecins d’une même discipline, de telle sorte que l’on peut envisager de répartir ces charges sur l’ensemble des actes au *prorata* du nombre de points travail.

Les surcoûts

Néanmoins, certains actes particuliers, qui ne sont pas réalisés par tous les praticiens, peuvent nécessiter de la part de ceux qui les pratiquent un investissement spécifique non négligeable (équipement, personnel...). Il est préférable d’affecter directement ce surcoût particulier à l’acte correspondant, dès lors que ce surcoût est significatif.

Exemples d’actes sans surcoût et avec surcoût :

en gastro-entérologie, les actes d’endoscopie digestive ne seront pas considérés comme des actes à surcoût car tous les gastro-entérologues les pratiquent ; en dermatologie, les actes nécessitant un laser généreront un surcoût car tous les dermatologues ne disposent pas de cette technique.

Pour chaque discipline, les charges générales sont égales aux charges totales relatives aux actes techniques (hors consultations) diminuées de la somme des surcoûts et des forfaits techniques. Le calcul des surcoûts spécifiques ne comprend donc que des charges non prises en compte dans les charges générales et le surcoût est affecté directement à l’acte correspondant.

La répartition des charges générales relatives aux actes techniques d’une discipline est effectuée au prorata des points-travail de chaque acte. Par discipline, un montant de charges générales par point-travail (Cg_D) est calculé en divisant le montant total des charges générales de la discipline par le nombre total de points-travail effectués par cette discipline :

$$Cg_D = \frac{\text{Charges générales des actes techniques de la discipline}}{\text{Somme des points travail des actes techniques de la discipline}}$$

- *le coût de la pratique des actes sans surcoût*

Les charges de ces actes sont rémunérées au prorata du travail médical, après que l’on a évalué le coût total moyen par point travail des charges générales. Le coût de la pratique de l’acte i dans la discipline “D” est alors égal à : $CP_{i,D} = W_i \times Cg_D$

où

W_i représente le travail médical mobilisé pour réaliser l’acte (il est fonction de l’acte mais non de la spécialité : un même acte pratiqué par deux spécialités aura un seul score de travail),

Cg_D représente le coût moyen par point travail des charges générales (ou habituelles) de la discipline ; il peut être différent d’une discipline à l’autre.

- *le coût de la pratique des actes à surcoût*

Par définition, les surcoûts concernent des actes qui ne sont pas réalisés par tous les praticiens, et qui nécessitent de la part de ceux qui les pratiquent, un investissement spécifique non négligeable.

Le surcoût propre à chacun des actes concernés leur est affecté directement. Le coût de la pratique de l’acte i dans la discipline D est alors égal à : $CP_{i,D} = W_i \times Cg_D + S_{i,D}$
où $S_{i,D}$ représente le surcoût propre à l’acte i dans la discipline D.

Pour un acte pratiqué par plusieurs spécialités le coût de la pratique peut être différent d’une spécialité à l’autre. Un arbitrage sera alors nécessaire (cf. § 1.3) pour établir le montant du coût de la pratique intégré au tarif de l’acte.

In fine, le mécanisme de construction de l’honoraire est le suivant :

$$H_i = W_i \times Fc + CP_i$$

où Fc représente le facteur de conversion monétaire (valeur monétaire d’un point travail), identique quelle que soit la spécialité ; et où CP_i est le coût de la pratique unique pour chaque acte.

2.2.2) Le cas particulier des équipements lourds

Les équipements lourds (scanner, IRM, appareil de radiothérapie, caméra de médecine nucléaire, angiographe numérisé...) sont des équipements particulièrement onéreux dont la diffusion est soumise à une autorisation, soit régionale, soit nationale. Ces équipements se caractérisent par des charges fixes importantes, les coûts totaux moyens liés à leur fonctionnement sont significativement décroissants avec l’activité. Les niveaux d’activité étant, en outre, le

plus souvent hétérogènes, une prise en charge des coûts de fonctionnement indépendante de l'activité peut s'avérer inflationniste, le bénéfice par acte étant croissant au-delà de l'activité d'équilibre⁴³. L'analyse de la structure des charges totales (fixes et variables) de ces équipements^[2] a conduit à préférer un système tarifaire partiellement indexé sur l'activité qui est déjà appliqué pour le scanner et l'IRM et qu'il est envisagé d'étendre à tous les équipements lourds.

La rémunération du travail médical est dissociée de celle des coûts de fonctionnement.

L'honoraire rémunère le travail médical et il est égal à : $H_i = W_i \times Fc$

Les coûts de fonctionnement sont rémunérés par :

- un forfait technique plein tarif jusqu'à une activité de référence (qui correspond au niveau d'activité minimum que l'on souhaite définir par type d'équipement) ; il est égal au coût total moyen⁴⁴ relatif à cette activité ;
- un forfait technique minoré, au-delà de cette activité ; il est égal au coût moyen d'un acte supplémentaire⁴⁵ au-delà de l'activité de référence.

2.3 Les données nécessaires à l'évaluation

La démarche comporte cinq étapes : une estimation des montants totaux de charges par discipline ou groupe de disciplines, une évaluation du montant de charges totales relatives aux actes techniques, une évaluation de chaque surcoût puis des montants totaux qui sont affectés à l'ensemble des actes à surcoût, une évaluation des forfaits techniques pour les équipements lourds, et enfin une évaluation du montant de charges générales par point-travail.

2.3.1) L'évaluation des charges totales

Les montants de charges totales sont évalués par discipline ou par groupe de disciplines à partir de données fournies par la Direction Générale des Impôts. Ces données ont été choisies en raison de leur exhaustivité et de leur mode d'élaboration transversal (parfaite comparabilité d'une discipline à l'autre) : elles répondent aux deux contraintes de transversalité et de déconnexion du champ des honoraires et de celui de la rémunération des établissements (cf. § 2 et § 1.4).

Les données, issues des déclarations de Bénéfices Non Commerciaux de l'imprimé 2035, détaillent les charges, selon les postes disponibles, pour l'ensemble des déclarants de chaque spécialité de la "nomenclature" DGI. Les séries fournies depuis 1993 et la prise en compte des modifications fiscales récentes permettront d'estimer les charges totales au moment de l'application de la refonte. Pour certaines disciplines, l'imprimé 2035 ne rend pas compte de la totalité des charges professionnelles, en particulier dans le cas où une part importante de l'activité est exercée dans le cadre de sociétés. Pour disposer de l'ensemble des charges relatives à l'exercice médical de la discipline, il sera donc nécessaire de redresser ces données à partir d'études complémentaires, en particulier pour la radiologie. De plus, ces données ne permettent pas de distinguer les charges selon le secteur conventionnel. Toutefois, il sera possible de recalculer les charges sociales personnelles comme si l'ensemble des praticiens exerçaient en secteur 1, à partir des données individuelles du Système National Inter Régimes et des règles de calcul des cotisations relatives à la pratique en secteur 1.

2.3.2) L'évaluation des charges relatives aux seuls actes techniques

Le montant des charges relatives aux consultations sera estimé selon trois approches indépendantes (cf. questions/réponses n°5) dont on comparera la précision et les résultats.

Les charges totales relatives aux actes techniques seront estimées par différence entre les charges totales (cf. § 3.1) et les charges relatives aux consultations.

⁴³ L'activité d'équilibre est l'activité correspondant à l'égalisation des recettes et des dépenses.

^[2] Aliès-Patin A. "Tarification des équipements lourds. Une allocation forfaitaire adaptée à la réalité des coûts de fonctionnements". J. Radiol. 1990 t 7, n°10, pp 561-569.

⁴⁴ On appelle coût total moyen pour un niveau d'activité donné, le coût total correspondant à cette activité (somme des coûts fixes totaux et des coûts variables totaux) rapporté à l'activité considérée.

⁴⁵ Le coût moyen d'un acte supplémentaire entre 2 niveaux d'activité est égal au coût supplémentaire rapporté à l'activité supplémentaire entre ces 2 niveaux d'activité.

2.3.3) L'évaluation des surcoûts

Le surcoût d'un acte correspond aux charges directes supplémentaires induites par la pratique de la technique concernée.

Les charges directes sont estimées à partir de données recueillies auprès de fabricants et de praticiens.

Dans un premier temps, dans chaque discipline un petit nombre de praticiens sélectionnent les actes ou les techniques qui, selon eux, comportent un surcoût (actes non réalisés par tous les praticiens de la discipline et nécessitant un investissement spécifique non négligeable).

Un questionnaire est ensuite envoyé aux constructeurs repérés comme fabriquant les équipements désignés, ainsi qu'à des praticiens. Ce questionnaire vise à recueillir des informations sur le prix de l'équipement et le coût global direct nécessaire à son fonctionnement (coûts de maintenance, consommables ...). Le surcoût direct par acte de la technique concernée est estimé sur la base d'une activité moyenne compatible avec les données nationales de fréquence.

2.3.4) L'évaluation des forfaits techniques

Les charges évaluées intègrent tous les coûts de fonctionnement annuels pour l'équipement considéré : coût de l'équipement, coûts des locaux, personnel non médical, consommables, frais de gestion, taxes... Elles sont dissociées en charges fixes et charges variables.

Deux tarifs sont estimés : l'un, à taux plein, applicable jusqu'à un seuil d'activité de référence, l'autre minoré, applicable au-delà de cette activité (cf § 2.2). Les activités concernées sont essentiellement la radiothérapie, la médecine nucléaire, la scanographie, l'IRM, la radiologie cardio-vasculaire interventionnelle.

Le recueil est réalisé à partir d'enquêtes menées auprès de sites privés et publics.

2.3.5) L'évaluation des charges générales

Par discipline ou groupe de disciplines, le montant des charges générales des actes techniques est évalué en retirant des charges totales relatives aux actes techniques les charges correspondant aux surcoûts et aux forfaits techniques.

Questions/Réponses

1) Pourquoi retenir les coûts observés actuels et non des coûts normés ?

Une option " normative " aurait consisté à construire des comptes d'exploitation de plateaux techniques-types définis selon la règle de l'art. Si, sur le principe, cette méthode paraît plus satisfaisante, elle aurait impliqué la participation de nombreux acteurs (médecins, établissements, instances d'accréditation) et aurait donc été très lourde à mettre en place. Mais surtout, cette option qui incite aux surenchères peut, dans le cadre d'une enveloppe contrainte, conduire à un déséquilibre au profit de certaines disciplines et au détriment d'autres.

2) Pourquoi ne pas affecter aux actes correspondants les coûts directs des matériels constituant l'équipement de base du cabinet ?

On distingue en général dans un exercice de comptabilité analytique deux types de coûts : les coûts directs et les coûts indirects. Les coûts directs sont ceux qui sont imputables sans ambiguïté à cette activité ou ce produit, tandis que les coûts indirects procèdent d'une affectation par clé de répartition.

Si l'on prend l'exemple d'un hôpital, les salaires du personnel affecté au service de médecine ou les médicaments distribués dans ce service sont directement imputables aux patients hospitalisés en médecine ; en revanche, l'affectation d'une fraction du salaire du directeur ne peut relever que d'une convention de calcul, sous forme d'une clé de répartition dont la pertinence économique peut évidemment se discuter.

Les coûts directs peuvent être fixes ou variables : dans l'exemple précédent les médicaments sont des charges variables, c'est-à-dire qu'un patient supplémentaire entraîne un coût supplémentaire. En revanche les salaires sont des charges fixes, l'admission d'un patient de plus ou de moins ne les fait pas varier (évidemment les charges ne sont fixes que jusqu'à un certain seuil : si le nombre de patients augmente beaucoup, un recrutement supplémentaire sera nécessaire).

Si l'on transpose ces concepts généraux à l'exercice professionnel du médecin libéral, et que l'on veut répartir les charges entre les différents actes, il est clair que l'essentiel des coûts ne peut être affecté spécifiquement à tel ou tel

type d'acte, mais se répartit sur l'ensemble de l'activité. C'est le cas des locaux, de l'ameublement, du secrétariat, des frais de gestion, de la plupart des achats de consommables.

En revanche, pour les matériels qui sont exclusivement affectés à la réalisation de certains actes, la question se pose d'évaluer ou non leur coût direct. L'option adoptée consiste à ne pas retenir ce type d'évaluation pour les matériels constituant l'équipement de base du cabinet de tous les praticiens de la spécialité.

On pourrait vouloir, par exemple, isoler le coût de la mammographie dans un cabinet de radiologie et ne l'affecter qu'aux actes de mammographie. En fait, cette méthode présente un danger.

En effet, comme le coût de l'appareil de mammographie se compose de charges fixes, le coût unitaire d'un acte est directement fonction du volume d'actes effectués. On se trouve alors dans le cas classique où, en incorporant à la rémunération d'un acte technique un montant forfaitaire pour l'amortissement du matériel, la maintenance, etc., montant identique quelle que soit l'activité de l'équipement, on crée une incitation économique à la multiplication des volumes d'actes.

Pour éviter cette distorsion, il est préférable de globaliser toutes les charges habituelles de la profession, y compris celles correspondant au matériel médical, et de les répartir sur l'ensemble des actes au prorata des points travail. On perd un peu en précision d'affectation des coûts, mais on évite les effets d'incitation sur certains types d'actes. D'autre part en évitant de multiplier les calculs de coûts par type d'acte, on évite aussi de multiplier les approximations et incertitudes inhérentes à ce type de calcul.

3) Pourquoi évaluer des coûts directs pour les matériels "à surcoût" et les équipements lourds ?

Les actes dits "à surcoût" sont des actes imposant des matériels spécifiques onéreux, et dont la pratique n'est pas généralisée chez tous les praticiens de la discipline. Cette définition implique que les charges spécifiques à la réalisation de ces actes ne peuvent en aucun cas être réparties sur l'ensemble des actes réalisés par la discipline. En effet, une telle affectation aboutirait à une rémunération insuffisante des actes à surcoût, pénalisant les praticiens qui les réalisent et créant donc une incitation à ne pas les effectuer.

Dans ce cas, il est donc nécessaire d'évaluer les coûts directs liés à l'utilisation des équipements dédiés à ces actes. Mais alors, comment éviter les effets d'incitation à la multiplication des actes évoqués plus haut ? Ici, il existe deux solutions :

- l'instauration d'une modulation de la rémunération *ex ante* en fonction du volume, qui est la modalité appliquée dans le cas des forfaits techniques (cf § 2.2) ;
- la mise en place d'un système de feed-back, à partir de l'observation de la pratique, permettant d'ajuster la rémunération de l'acte lorsque le nombre d'actes par praticien augmente. C'est cette deuxième solution qui est adoptée pour les actes à surcoût : il sera important d'assurer un suivi infra-annuel des actes générant un surcoût afin d'opérer, sur la base de l'activité réelle observée, des adaptations éventuelles de la valeur du surcoût.

4) Pourquoi retenir le travail comme clé de répartition des charges générales ?

Le travail médical est une clé de répartition transversale comparable d'une discipline à l'autre qui traduit l'activité médicale dans sa globalité et dont la cohérence pour l'ensemble des disciplines est garantie par l'étape de hiérarchisation inter-disciplinaire.

5) Comment évaluer les charges relatives aux consultations ?

Plusieurs approches seront étudiées :

- une approche "semi-normative" permettant, à partir d'un nombre normé de consultations à l'heure pour différentes disciplines très cliniques et d'un compte d'exploitation compatible avec la structure de charges DGI de ces disciplines, de reconstituer la part de l'activité consacrée à la consultation et donc la part des charges correspondantes ;
- une approche "DGI" consistant à évaluer le coût d'une consultation dans des disciplines très cliniques (généralistes, pédiatres) en rapportant les charges DGI (diminuées de la part des charges correspondant aux quelques actes techniques réalisés par la discipline) au nombre total de consultations de la discipline ;
- une approche consistant à ventiler les charges générales de la discipline au prorata des honoraires de chacun des deux groupes d'actes de la discipline : consultations et actes techniques.

6) Pourquoi ne pas revoir la rémunération de certains actes réalisés en établissement ?

Le traitement séparé du champ des honoraires et de celui de la rémunération des établissements est une contrainte forte. Cependant, il n'interdit pas d'envisager de changer les modalités de tarification de certains actes :

- les actes pouvant être réalisés en cabinet ou en établissement (par exemple les endoscopies) et qui dans le second cas donne lieu en sus de l'honoraire à un FSO ou FSE versé à l'établissement ;

- les actes de radiologie interventionnelle cardio-vasculaire pour lesquels on peut envisager de globaliser l'ensemble des coûts par le biais d'un forfait technique.

Ce type de modification nécessite un consensus de tous les acteurs concernés (Etat, Assurance Maladie, représentants des médecins et des établissements privés) et imposera une évaluation des charges et une réaffectation précise aux praticiens ou aux établissements selon les options retenues.

EXEMPLE D'ESTIMATION DES HONORAIRES

L'exemple suivant est théorique et les données sont totalement fictives.

1) Données

On suppose que :

- il existe 2 spécialités Sa et Sb, qui réalisent chacune 5 actes différents ;
- l'enveloppe totale allouée à ces spécialités est 3 000 MF, dont 2 550 MF pour les actes techniques ;
- le nombre de consultations réalisé par Sa est 2 400 000, celui réalisé par Sb est 600 000 ;
- les charges totales de Sa estimées à partir des données DGI sont de 650 MF ;
- les charges totales de Sb estimées à partir des données DGI sont de 850 MF ;
- le montant de charges par consultation est 55 F ;
- les actes a1, b2 et b4 génèrent un surcoût.

La fréquence des actes, les scores de travail, et les surcoûts par acte sont rapportés ci-dessous :

Spécialité Sa					Spécialité Sb				
Acte	Nombre d'actes	Score de travail	Nombre de points travail	Surcoût en F/acte	Acte	Nombre d'actes	Score de travail	Nombre de points travail	Surcoût en F/acte
A1	8 000	600	4 800 000	250	b1	120 000	300	36 000 000	0
A2	70 000	300	21 000 000	0	b2	90 000	190	17 100 000	140
A3	200 000	130	26 000 000	0	b3	900 000	50	45 000 000	0
A4	250 000	90	22 500 000	0	b4	60 000	35	2 100 000	90
A5	600 000	60	36 000 000	0	b5	1 500 000	20	30 000 000	0
Ensemble	1 128 000	-	110 300 000	-	Ensemble	2 670 000	-	130 200 000	-

2) Estimation des charges relatives aux actes techniques

On estime le montant des charges relatives aux actes techniques de chaque spécialité en déduisant des charges totales le montant des charges correspondant aux consultations.

Les charges correspondant aux consultations valent

pour Sa : 132 MF ($2\,400\,000\text{ consultations} \times 55\text{ F}$),

pour Sb : 33 MF ($600\,000\text{ consultations} \times 55\text{ F}$).

Les charges relatives aux actes techniques sont donc

pour Sa : 518 MF ($650-132$),

pour Sb : 817 MF ($850-33$).

Le montant total des surcoûts est

pour Sa : 2 MF ($8000\text{ actes} \times 250\text{ F}$),

pour Sb : 18MF ($90\,000\text{ actes} \times 140\text{ F} + 60\,000\text{ actes} \times 90\text{ F}$).

Le montant des charges générales des actes techniques est donc

pour Sa : 516 MF ($518-2$),

pour Sb : est 799 MF ($817-18$).

3) Estimation du facteur de conversion monétaire et du coût des charges générales par point travail (des actes techniques)

Prix du travail

Le montant affecté à la rémunération du travail médical pour ces deux spécialités est égal à l'enveloppe allouée aux actes techniques, diminuée du coût de la pratique relatif aux actes techniques, soit 1 215 MF ($2\,550 - [518+817]$).

Le facteur de conversion monétaire (prix du point travail) est alors égal au montant alloué au travail (soit 1 215 MF) divisé par la quantité totale de travail (soit 110 300 000 + 130 200 000 = 240 500 000 points travail), soit 5,05 F.

Coût des charges générales par point travail

Le montant affecté à la rémunération des charges générales pour chacune de ces spécialités est égal au montant des charges générales divisé par la quantité de travail de la spécialité :

C_{g_a} vaut 4,68 F (516 MF divisé par 110 300 000 points travail) ;

C_{g_b} vaut 6,14 F (799 MF divisé par 130 200 000 points travail).

4) Honoraire

Rappel : l'honoraire est la somme du prix du travail, du prix des charges générales et du surcoût éventuel. Sa formule est : $W \times F_c + W \times C_g + S$.

Le facteur de conversion monétaire est égal à 5,05 F, le coût de la pratique "générale" (hors surcoûts) est égal à 4,68 F par point travail pour Sa et 6,14 F par point travail pour Sb, l'acte a1 génère un surcoût spécifique de 250 F, l'acte b2 un surcoût de 140 F, l'acte b4 un surcoût de 90 F. Les honoraires résultants sont rapportés dans le tableau ci-dessous :

Spécialité Sa						Spécialité Sb					
Acte	Score de travail	Prix du travail (1)	Prix des charges générales(2)	Surcoût en F/acte	Honoraire	Acte	Score de travail	Prix du travail (1)	Prix des charges générales(3)	Surcoût en F/acte	Honoraire
a1	600	3031	2807	250	6088	b1	300	1516	1841	0	3357
a2	300	1516	1403	0	2919	b2	190	960	1166	140	2266
a3	130	657	608	0	1265	b3	50	253	307	0	560
a4	90	455	421	0	876	b4	35	177	215	90	482
a5	60	303	281	0	584	b5	20	101	123	0	224

(1) Score du travail x 5,05 F (= facteur de conversion monétaire)

(2) Score du travail x 4,68 F (= charges générales par point travail de Sa)

(3) Score du travail x 6,14 F (= charges générales par point travail de Sb)

ANNEXE V : Arrêté du 29 JUIL. 1998 relatif au recueil, au traitement et à la transmission des données d'activité médicale

Ministère de l'Emploi et de la Solidarité

Arrêté du 29 JUIL. 1998 relatif au recueil, au traitement des données d'activité médicale, visées à l'article L. 710-6 du code de la santé publique, par les établissements de santé publics et privés financés par dotation globale visés par l'article L. 710-16-1 du même code, et à la transmission, visée à l'article L. 710-7 du code de la santé publique, aux agences régionales de l'hospitalisation et à l'État, d'informations issues de ce traitement.

Le Ministre de l'Emploi et de la Solidarité Le Secrétaire d'État à la santé

Vu le code de la santé publique, notamment ses articles L. 710-2, L. 710-6, L. 710-7, R. 710-5-1 à R. 710-5-1 1, R. 712-57 à R. 712-59 ;

Vu le code de la sécurité sociale, et notamment son article L. 162-30-1 ;

Vu la loi no78- 17 du 6 janvier 1978 relative à l'informatique, aux fichiers et aux libertés ;

Vu le décret no78- 774 du 17 juillet 1978, modifié par les décrets no78- 1823 du 28 décembre 1978 et no79- 421 du 30 mai 1979 ;

Vu le décret no95 1000 du 6 septembre 1995 portant code de déontologie médicale;

Vu l'avis de la commission des systèmes d'information sur les établissements de santé, du 24 juin 1998;

Vu l'avis du conseil national de l'ordre des médecins, du 3 juillet 1998 ;

Vu l'avis de la commission nationale de l'informatique et des libertés, du 16 juillet 1998 ;

Arrêtent :

Article 1er. - I. - Afin notamment de procéder à l'analyse médico-économique de l'activité de soins réalisée en leur sein, les établissements de santé financés par dotation globale mentionnés à l'article L. 710-16-1 du code de la santé publique mettent en oeuvre des traitements automatisés des données médicales nominatives suivantes : résumés hebdomadaires standardisés (R.H.S.), assortis de volets identifiant les patients et leurs mouvements dans les unités médicales, pour tous les patients pris en charge dans des unités médicales de soins de suite ou de réadaptation (S.S.R.) en hospitalisation complète, de semaine, de jour et de nuit ainsi qu'en traitements et cures ambulatoires. La définition des unités médicales appartient en propre à chaque établissement de santé.

II. - La mise en oeuvre de ces traitements automatisés doit être précédée d'une demande d'avis des établissements de santé concernés à la **Commission nationale de l'informatique et des libertés (C.N.I.L.)**.

III. - Ces établissements de santé prennent toutes dispositions utiles afin de permettre aux patients d'exercer auprès du médecin responsable de l'information médicale, par l'intermédiaire du praticien ayant constitué le dossier, leurs droits d'accès et de rectification tels que prévus aux articles 34 et 40 de la loi du 6 janvier 1978 susvisée.

IV. - Après avoir été rendues anonymes, certaines des informations des résumés hebdomadaires standardisés sont communiquées, selon des modalités décrites à l'article 6 ci-dessous, aux D.R.A.S.S. pour le compte des agences régionales de l'hospitalisation (A.R.H.). Ces informations sont communiquées sous forme de résumés hebdomadaires anonymes (R.H.A.) et de suites semestrielles de résumés hebdomadaires anonymes (S.S.R.H.A.), tels que décrits à l'article 5.

Article 2. - I. - Dans chaque unité médicale de soins de suite ou de réadaptation, les catégories d'information enregistrées sur le R.H.S. sont les suivantes :

1) Informations relatives à l'identification des malades :

- date de naissance du patient;
- sexe du patient;
- numéro administratif du patient;
- code postal du lieu de résidence du patient;
- numéro de séjour S.S.R. : identifiant correspondant à l'ensemble du séjour dans les unités médicales de soins de suite ou de réadaptation de l'établissement de santé;

2) Autres informations obligatoires :

- numéro de l'établissement de santé dans le fichier national des établissements sanitaires et sociaux (F.I.N.E.S.S.)
- numéro d'unité médicale;
- type d'activité décrivant le type de prise en charge du patient;
- numéro de semaine ;
- journées de présence du patient;
- date de la dernière intervention chirurgicale (si nécessaire);
- finalité principale de prise en charge;
- manifestation morbide principale;
- affection étiologique (si elle diffère de la manifestation morbide principale);
- diagnostic(s) associé(s) significatif(s) (le cas échéant);
- actes médicaux appartenant à une liste fermée ;
- cotation de la dépendance du patient à l'habillement, aux déplacements et à la locomotion, à l'alimentation, à la continence, au comportement, à la relation ;
- utilisation d'un fauteuil roulant ;
- temps intervenant hebdomadaires de rééducation (mécanique, sensori-motrice, neuro-psychologique, cardio-respiratoire, nutritionnelle, uro-sphinctérienne), de réadaptation-réinsertion, d'adaptation d'appareillage, de bilans, de physiothérapie, de balnéothérapie et de rééducation- réadaptation collective
- uniquement pour les patients en hospitalisation complète ou de semaine :
 - o date et mode d'entrée du patient dans l'unité médicale de soins de suite ou de réadaptation ;
 - o date et mode de sortie du patient de l'unité médicale de soins de suite ou de réadaptation ;
 - o en cas d'entrée par mutation ou transfert, provenance du patient ;
 - o en cas de sortie par mutation ou transfert, destination du patient ;

Ces informations doivent être conformes au contenu du dossier médical.

II. - Par exception au I. ci- dessus, Si la personne a été soignée sous le couvert de l'anonymat, les informations d'identité sont limitées à l'année de naissance, au sexe, au numéro administratif et au numéro de Séjour S.S.R. du patient. Ul.

III. - Dans le cadre des règles approuvées par la commission médicale ou la conférence médicale de l'établissement, et après avis de la C.N.I.L., d'autres informations, notamment de nature médicale, peuvent être enregistrées au sein d'une unité médicale ou de l'établissement.

Article 3. - 1. - Plusieurs résumés hebdomadaires standardisés (R.H.S.) peuvent être produits successivement au cours d'un séjour, chacun de ces R.H.S. faisant l'objet d'un classement dans une catégorie majeure clinique (C.M.C.) et dans un groupe homogène de journées (G.H.J.).

II. - Les R.H.S. sont produits et groupés au niveau de l'entité juridique, pour les structures de statut juridique public et au niveau de l'établissement pour celles de statut juridique privé, sauf le cas échéant, pour les structures qui, sur dérogation du directeur de l'agence régionale de l'hospitalisation peuvent constituer et grouper les R.H.S. par établissement ou groupe hospitalier.

III. - Les variables de morbidité (finalité principale de prise en charge, manifestation morbide principale, affection étiologique et diagnostics associés significatifs) sont codées selon la classification internationale des maladies (C.I.M.) de l'Organisation Mondiale de la Santé (OMS), complétée, le cas échéant, d'extensions publiées au *Bulletin officiel du Ministère chargé de la santé*. Les activités de rééducation- réadaptation sont recueillies selon le catalogue des activités de rééducation- réadaptation paru au *Bulletin officiel*. Les variables de dépendance sont codées selon une grille de dépendance élaborée spécifiquement pour le recueil des R.H.S., présentée dans un guide méthodologique de production des R.H.S. paru au *Bulletin officiel*. Les actes médicaux sont recueillis et codés selon une liste fermée d'actes parue dans ce même guide.

VI. - Un guide méthodologique, édité au *Bulletin officiel*, précise les modalités de production, de codage et de groupage des R.H.S. Les catégories majeures cliniques (C.M.C.) et les groupes homogènes de journées (G. H.J.) sont répertoriés et décrits selon la classification parue au Bulletin officiel

Article 4. - 1. - Dans le cadre des dispositions prévues aux articles R. 710-5-1. à R. 710-5-1 1. du code de la santé publique, le médecin chargé de l'information médicale pour l'établissement de santé, est responsable de la constitution, à partir des données qui lui sont transmises, d'un fichier des R.H.S., de la mise en oeuvre du groupage de ceux-ci en G.H.J. et du traitement de ces données.

Selon des modalités arrêtées après avis de la commission médicale ou de la conférence médicale de l'établissement, il'en assure la diffusion auprès de la direction de l'établissement de santé et du président de la commission médicale ou de la conférence médicale de l'établissement ainsi qu'aux praticiens ayant dispensé les soins, dans des conditions

garantissant la confidentialité des données et l'anonymat des patients. Il est informé de l'objectif des traitements de l'information qui lui sont demandés et participe à l'interprétation de leurs résultats

II. La durée minimale de conservation des fichiers semestriels de R.H.S. groupés est de quatre ans. Les fichiers de R.H.S. groupés conservés à des fins de contrôle dans l'établissement ne peuvent contenir des données relatives à des séjours hospitaliers dont la date du lundi de la semaine observée serait antérieure de plus de cinq ans à la date du 31 décembre de l'année en cours.

Article 5. - I. - A partir des fichiers de R.H.S. groupés, il est constitué, sous la responsabilité du médecin visé à l'article 4., des fichiers de résumés hebdomadaires anonymes (R.H.A.) et de suites semestrielles de résumés hebdomadaires anonymes (S.S.R.H.A.). La suite semestrielle de résumés hebdomadaires anonymes présente des informations complémentaires de celles fournies par les Résumés Hebdomadaires Anonymes (R.H.A.) et fournit une image synthétique du déroulement d'un séjour au cours du semestre. Produits par un logiciel informatique propriété de l'État, les R.H.A. et les S.S.R.H.A. ne comportent

- ni le numéro administratif du patient ;
- ni le numéro de séjour S.S.R. remplacé par un numéro séquentiel de séjour ni le numéro d'unité médicale (seul figure dans la S.S.R.H.A. le nombre d'unités médicales fréquentées au cours du semestre);
- ni la date de naissance, remplacée par l'âge exprimé en années (ou en jours pour les enfants de moins d'un an) et calculé au lundi de la semaine observée ni le code postal, remplacé par un code géographique attribué selon une liste convenue au niveau national, en accord avec la C.N.I.L. ;
- ni, en cas d'hospitalisation complète ou de semaine, les dates d'entrée et de sortie, remplacées dans le R.H.A. par la spécification d'une semaine de début de séjour SSR (oui / non), d'une semaine de fin de séjour SSR (oui / non) et de l'antériorité du séjour SSR;
- ni le numéro de la semaine, remplacé, dans le R.H.A., par un numéro séquentiel de semaine et par le mois et l'année ;
- ni la date de la dernière intervention chirurgicale, remplacée par la mention d'une intervention chirurgicale antérieure au maximum de 3 mois (oui non) ;
- ni les cotations respectives de dépendance pour l'habillement, les déplacements- locomotion, l'alimentation et la continence, remplacées par un score de dépendance physique ;
- ni les cotations respectives de dépendance pour le comportement et la relation, remplacées par un score de dépendance comportementale et relationnelle;
- ni la mention de l'utilisation d'un fauteuil roulant ;

II. - Le directeur et le président de la commission médicale ou de la conférence médicale de l'établissement, sont destinataires de statistiques, agrégées par unité médicale et pour l'ensemble de la structure ou, sur leur demande, de fichiers de R.H.A., de S.S.R.H.A. ou d'autres fichiers de données individuelles préalablement rendues anonymes vis-à-vis des personnes soignées.

Article 6. - I. - Pour chaque période semestrielle, l'établissement de santé transmet à la DRASS, pour le compte de l'agence régionale de l'hospitalisation, les fichiers de R.H.A. et de S.S.R.H.A. Ces fichiers sont issus de la plus récente version du générateur de R.H.A. et de S.S.R.H.A. visé à l'article 5. ci-dessus; ils sont transmis sur un support magnétique agréé par les services de l'État responsables du traitement des fichiers, trois mois au plus tard après la fin du semestre considéré.

II. - Dans le mois suivant leur réception, ces informations sont transmises aux ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale.

III. - Dans chaque établissement de santé, le médecin chargé de l'information médicale est responsable de la sauvegarde du fichier de R.H.S. groupés, qui est à l'origine des fichiers de R.H.A. et de S.R.H.A., ainsi que de la conservation de la copie produite.

Art. 7 - Les médecins inspecteurs de la santé publique et les praticiens- conseils des organismes d'assurance maladie ont accès, par l'intermédiaire du médecin chargé de l'information médicale, aux fichiers de R.H.S. Dans le cadre des procédures de validation des données, ce dernier prévient les praticiens concernés préalablement à toute confrontation de R.H.S. avec un dossier médical.

Art. 8 - Le directeur des hôpitaux au ministère de l'emploi et de la solidarité est chargé de l'exécution du présent arrêté, qui sera publié au Journal officiel de la République française.

Fait à Paris, le **29 JUIL. 1998.**

Pour le ministre et le secrétaire d'Etat
et par la délégation
Le directeur des hôpitaux

Edouard COUTY

ANNEXE VI : Les coûts de transport

Les organismes d'assurance maladie prennent en charge les frais de transport de l'assuré et de ses ayants droit qui se trouvent dans l'obligation de se déplacer pour recevoir des soins ou subir les examens appropriés à leur état.

Les conditions médico-administratives de prise en charge des frais de transport sanitaire (ambulance, VSL) et non sanitaire (taxi, transport en commun, véhicule personnel) sont limitatives et fixées réglementairement.

La prise en charge des frais de transport est subordonnée à la présentation par l'assuré d'une prescription médicale attestant que l'état de santé du malade justifie l'usage du moyen de transport prescrit. Le remboursement intervient sur la base du moyen de transport le moins onéreux compatible avec l'état du malade. Le montant varie suivant la distance et le mode de transport utilisé. Le taux de remboursement est de 65 % (100 % pour les bénéficiaires du régime local d'Alsace-Moselle). Les transports en rapport avec une maladie de longue durée (radiothérapie, chimiothérapie, dialyse...), sont pris en charge à 100 % sous réserve que la prescription précise que le transport est en rapport avec la maladie. Si l'état de santé du malade nécessite des transports en série, le remboursement des frais engagés pour se déplacer est soumis à deux conditions :

1. La prescription médicale doit comporter au minimum 4 déplacements dans un délai de deux mois,
2. Chaque parcours doit être supérieur à 50 km aller.

Les frais de déplacement de la personne accompagnante peuvent être remboursés lorsque le trajet a lieu en transport en commun (train, bus...) et si l'état du malade ou son jeune âge nécessite la présence d'un tiers. Une indemnité de perte de salaire peut-être versée lorsque le déplacement de la personne accompagnante entraîne une interruption de travail.

Lors de l'utilisation d'une voiture particulière, pour un transport remboursable par l'Assurance Maladie, l'indemnisation est calculée selon un barème établi par arrêté ministériel (1/7/99). Pour les transports jusqu'à 2000 km, le taux est de :

- 0.20 EUR pour les voitures d'une puissance fiscale de 5 CV et moins,
- 0.24 EUR pour les voitures de 6 et 7 CV,
- 0.27 EUR pour les voitures de 8 CV et plus.

Source : arrêté ministériel du 01/07/99, Site de la CNAMTS, www.cnamts.fr/ass/remb/somremb.htm

En outre, la Convention Nationale destinée à organiser les rapports entre les transporteurs sanitaires privés et les caisses d'Assurance Maladie stipule que (avenant n° 2 paru au Journal officiel du 15 juin 2002) :

Pour les ambulances :

- Le tarif du kilomètre de l'ambulance est porté à 2 EUR,
- Une unification de la valeur des quatre forfaits départementaux portée à 46,5 EUR,
- Une unification de la valeur des forfaits agglomérations des zones B,C et D portée à 52 EUR (ce forfait incluant les 5 premiers kilomètres),
- Une revalorisation de la valeur du forfait agglomération de la zone A portée à 54 EUR,
- Un supplément de 20,43 EUR peut être perçu pour un transport d'urgence effectué sur la demande expresse d'un médecin régulateur (centre 15) ou d'un service d'aide médicale d'urgence (SAMU),
- Un supplément de 10,21 EUR peut être perçu pour les transports de prématurés ou en cas d'utilisation d'incubateur,
- Un supplément de 20,43 EUR peut être perçu pour chaque transport lorsque le malade est transporté ou pris en charge dans un aéroport ou une gare.

Pour les Véhicules Sanitaires Légers :

- Le tarif kilométrique s'élève à 0,78 EUR (0,79 EUR en Corse),
- Le forfait départemental prend au maximum les valeurs suivantes : Zone A : 11,81 EUR, Zone B : 11,47 EUR, Zone C : 10,75 EUR, Zone D : 10,21 EUR.

Source : Avenant n° 2 à la convention nationale des transporteurs privés, Journal officiel du 15 juin 2002/ Bulletin officiel n° 2002-24.

NB : Le classement des départements servant de base à la tarification des entreprises agréées est disponible sur le site : www.sante.gouv.fr

ANNEXE VII : UTILITE ET UTILITE ESPEREE

1 - UTILITE

Notons $(x_1, x_2, x_3, \dots, x_n)$ les éléments d'un ensemble entre lesquels un agent doté de préférences sur ces éléments doit effectuer un choix (il préfère par exemple x_2 à x_1 , etc.).

On appelle utilité un nombre $u(x_i)$ attaché à l'élément x_i tel que $u(x_i)$ est supérieur (ou égal) à $u(x_j)$ si et seulement si l'agent préfère x_i à x_j (ou est indifférent entre x_i et x_j). Les coefficients d'utilité donnent ainsi une représentation quantitative des préférences de l'agent.

L'objet de la théorie de l'utilité est d'explicitier les conditions auxquelles doivent répondre ces préférences pour qu'on puisse les exprimer par de tels chiffres.

Deux conditions sont essentielles : (1) la condition de totalité selon laquelle l'agent est capable d'exprimer une préférence (ou une indifférence) pour tout couple d'éléments de l'ensemble de choix ; (2) la condition de transitivité selon laquelle, si l'agent préfère x_i à x_j et x_j à x_k , il préfère x_i à x_k . Si ces conditions (plus quelques autres plus techniques) sont vérifiées, on démontre que les préférences peuvent être représentées par des utilités. Ce résultat a un intérêt plus théorique que pratique. On montre en effet qu'il existe en fait une infinité d'ensembles de coefficients qui peuvent valablement représenter le même système de préférences. Comme on n'a aucune raison d'en choisir un plutôt que l'autre, la portée pratique du résultat est très limitée. La théorie de l'utilité espérée de vNM est à cet égard plus précise (voir ci-dessous).

On notera que les deux conditions ci-dessus sont des axiomes posés sans démonstration. En toute rigueur, il faudrait en vérifier la pertinence avant d'appliquer la théorie. Il existe deux manières d'éviter ce détour. La manière normative selon laquelle tout individu rationnel doit se comporter selon les axiomes. La manière positive selon laquelle en général et en moyenne les individus se comportent à peu près selon les axiomes !

2 - UTILITE ESPEREE

La théorie de l'utilité espérée essaie de formaliser les conditions du choix en présence d'incertitude (ou plus exactement de risque probabilisable). Elle considère que les éléments x_1, \dots, x_n entre lesquels doit s'exercer le choix d'un agent (voir ci-dessus) sont des « perspectives aléatoires » ou des « loteries ». A chaque élément d'un choix (par exemple un traitement chirurgical qui peut être – ou non – préféré à un traitement médical) est attaché la liste de ses conséquences possibles ainsi que leur probabilité de survenue : par exemple l'intervention a 98% de chances de réussir et 2% de « chances » d'entraîner une complication grave.

On suppose que les agents ne s'intéressent pas à l'événement en tant que tel (l'intervention chirurgicale) mais uniquement à ses conséquences (guérir ou souffrir de la complication). On suppose également que l'agent exprime des préférences (des utilités) sur les conséquences (il préfère par exemple guérir à subir une complication) et qu'il en connaît les probabilités.

La théorie de l'utilité espérée dit que l'utilité de l'événement est égale à l'utilité de chacune de ses conséquences pondérées par leur probabilité de survenue. On peut ainsi comparer l'utilité de la chirurgie à celle du traitement médical, si on connaît toutefois les utilités des connaissances. Un résultat important est que les utilités ainsi calculées sont définies à une transformation linéaire (ou affine) près. En langage ordinaire, cela signifie que l'on peut calculer des utilités pour toutes sortes d'événements dès lors qu'on fixe par convention l'utilité de deux états de référence. Si, par convention, on dit que l'utilité de la guérison vaut 1 et celle de la complication vaut 0, alors l'utilité de la chirurgie vaudra 0,8 (soit 80% x 1 + 20% x 0).

Deux niveaux de critiques sont adressés à la théorie. Le premier et le plus fondamental porte sur l'axiomatique très lourde et complexe qu'il faut imposer à l'agent pour obtenir le résultat. Cette axiomatique a été contestée dès l'origine notamment par Maurice Allais en France. Le second niveau, moins fondamental, concerne les états de référence dont la définition détermine les résultats. Ça n'a pas de sens de comparer des utilités qui ont été calculées avec des références différentes (voir note suivante).

ANNEXE VIII : ACTUALISATION

On envisage l'application d'un programme de santé qu'on peut considérer comme une transformation marginale de l'économie. L'application de ce programme a des effets, sur deux années consécutives, notées 0 et 1, des coûts, d'une part et des résultats de santé, d'autre part.

Si on note : **dh** (différentielle de h), la quantité de résultat de santé générée par le programme (par exemple h est un nombre d'années de vie gagnées) ;
P, la disposition marginale collective à payer pour le résultat de santé (addition des dispositions marginales à payer individuelles) ;
Cm, le coût marginal de production du programme ;
i, le taux d'actualisation annuel réel de l'unité monétaire (toutes les valeurs monétaires sont exprimées en monnaie constante de l'année 0),

On peut exprimer le critère de décision en faveur de la réalisation du programme sous la forme :

$$P_0 dh_0 - Cm_0 dh_0 + (P_1 dh_1 - Cm_1 dh_1) / (1+i) > 0 \quad [1]$$

Si la préférence pour la santé par rapport aux autres biens économiques se modifie au cours du temps, on peut poser : $P_1 = P_0 (1 + r)$, où r est le taux de croissance annuel de la disposition à payer le résultat de santé, collective et marginale. Dans nos pays riches, il est couramment admis que r est positif.

En reportant dans [1], on obtient :

$$P_0 [dh_0 + dh_1 (1+r) / (1+i)] > Cm_0 dh_0 + [Cm_1 dh_1 / (1 + i)]$$

Le second membre est égal au coût actualisé du programme, qu'on peut écrire plus simplement dC .

Le premier membre peut s'écrire $P_0 dH$, où $dH = [dh_0 + dh_1 / ((1 + i) / (1 + r))]$

Le critère devient :

$$P_0 > dC / dH$$

On reconnaît dans le second membre le ratio coût efficacité du programme, dans lequel le coût de l'année 1 a été actualisé au taux i et le résultat de santé de l'année 1 au taux i' tel que :

$$1 + i' = (1 + i) / (1 + r).$$

Trois cas sont à distinguer :

- si $r = 0$** , P est stable dans le temps, $i = i'$ et les deux taux sont égaux.
- si $r < 0$** , P diminue au cours du temps, $i' > i$ et le taux d'actualisation du résultat de santé est supérieur à celui de la monnaie.
- si $r > 0$** , P augmente avec le temps, $i' < i$ et le taux d'actualisation du résultat de santé est inférieur à celui de la monnaie.

Même si P augmente avec le temps, cette évolution est probablement lente, ce qui peut justifier de considérer que les deux taux d'actualisation sont égaux lorsqu'on travaille sur des périodes assez courtes.

BIBLIOGRAPHIE

I) Point de vue des études et perspective

Recommandation n° 1

- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Methods for the Economic evaluation of Health care Programmes*. 2nd ed. Oxford : Oxford University Press, 1997, p. 17-25.
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Méthodes d'Évaluation Économique des Programmes de Santé*. 2^{ème} ed. Paris : Economica, 1998, p. 22-30.

II) Place des études dans l'évolution des stratégies de santé

Recommandation n° 2

- LAUNOIS R. L'évaluation socio-économique une discipline entre recherche clinique et études observationnelles. *Bulletin du cancer*, 2003, Vol. 90, n°1, pp.97-104.

III) Cadre formel sous-jacent

IV) Etudes d'environnement

Recommandation n° 4

- BERESNIAK A, DURU G. *Approche des coûts par maladie*, in : Economie de la Santé. Paris : Masson, 2001, pp.78-80.

V) Population-cible

VI) Choix du comparateur et méthodes de comparaison

Recommandation n° 6 et 7

- GOLD Marthe R., SIEGEL Joanna E., RUSSELL Louise B., et al. *Cost-Effectiveness in Health and Medicine*. Oxford : Oxford University Press, 1996, p.63-66.

VII) Types d'études

Recommandation n° 8

- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Methods for the Economic evaluation of Health care Programmes*. 2nd ed. Oxford : Oxford University Press, 1997, p. 11-17.
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Méthodes d'Évaluation Économique des Programmes de Santé*. 2^{ème} ed. Paris : Economica, 1998, p.16-22.

VIII) Horizon temporel et validité spatiale

Recommandation n° 9 et 10

- DRUMMOND MF, BLOOM BS, CARRIN G, HILMAN AL, HUTCHINGS HC, KNILL-JONES RP, DE POUVOURVILLE G, TORFS K. Issues in the cross-national assessment of health technology. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 1992, Vol. 8, n°4, pp. 671-82.
- DRUMMOND Michael, PANG Francis. *Transferability of economic evaluation results*. In : DRUMMOND Michael, MCGUIRE Alistair. *Economic Evaluation in Health Care – Merging theory with practice*. Oxford : Oxford University Press, 2002.
- GREINER W., SCHÖFFSKI O., SCHULEMBURG J.M. The transferability of international economic health-economic results to national study questions. *HEPAC*, 2000, Vol. 1, n°2, pp. 94-102.

- SPÁTH HM, CARRÈRE MO, FERVERS B, PHILIP T. Analysis of the eligibility of published economic evaluations for transfer to a given health care system. Methodological approach and application to the French Health Care System. *Health Policy*, 1999, Vol. 49, n° 3, pp.161-177.

IX) Définitions et mesure des coûts

Recommandation n° 11 à 18

- DRUMMOND Michael, MCGUIRE Alistair. *Economic Evaluation in Health Care – Merging theory with practice*. Oxford : Oxford University Press, 2002, pp. 82-86
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Methods for the Economic evaluation of Health care Programmes*. 2nd ed. Oxford : Oxford University Press, 1997, p. 55.
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Méthodes d'Évaluation Économique des Programmes de Santé*. 2^{ème} ed. Paris : Economica, 1998, p.62.
- DRUMMOND Michael, PANG Francis. *Transferability of economic evaluation results*. In : DRUMMOND Michael, MCGUIRE Alistair. *Economic Evaluation in Health Care – Merging theory with practice*. Oxford : Oxford University Press, 2002.
- GARATTINI Livio et al. How do Italian Pharmacoeconomists Evaluate Indirect Costs. *Value in Health*, 2000, Vol. 3, n°4, pp. 270-276.
- KOOPMANSCHAP MA, RUTTEN F, VAN INVELD BM, VAN ROIJEN L. T. The friction cost method for measuring the indirect costs of disease. *Journal of Health Economics*, 1995, Vol.14, n° 2, pp. 171-189.
- LAUNOIS R. Un coût, des coûts, quels coûts ? *Journal d'Économie Médicale* 1999, T. 17, n° 1, pp. 77-82.
- MIDY F, GRIGNON M. La notion de coût dans les évaluations médico-économiques. *Journal d'Économie Médicale*, 2002, Vol. 20, n° 2, pp. 105-117.

X) Types de résultats retenus et leurs mesures

Recommandation n° 19 et 20 – L'efficacité

- JOHANNESSON M, JONSSON B, KARLSSON G. Outcome measurement in economic evaluation. *Health economics*, 1996, Vol. 5, n° 4, pp. 279-296.

Recommandation n° 21 à 24 – La qualité de vie

- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Methods for the Economic evaluation of Health care Programmes*. 2nd ed. Oxford : Oxford University Press, 1997, p. 11-17.
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Méthodes d'Évaluation Économique des Programmes de Santé*. 2^{ème} ed. Paris : Economica, 1998, p.165-185.
- FAYERS P M, MACHIN D. *Quality of life : Assessment, Analysis and Interpretation*. Wiley and Sons, 2000, pp. 416.
- LAUNOIS R. La prise en compte des préférences des patients dans les choix de santé individuels et collectifs. *Revue d'Épidémiologie et de Santé Publique*, 1994, Vol. 42, n° 3, pp. 246-262.
- VAN ROIJEN L, ESSINK-BOT ML, KOOPMANSCHAP MA, BONSEL G, RUTTEN F. Labor and health status in economic evaluation of health care. The Health and Labour Questionnaire. *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 1996, Vol. 12, n° 3, pp.405-415.
- EQ5D : www.euroqol.org
- HUI 2 & 3 : www.healthutilities.com
- Questionnaires de qualité de vie en général : www.qolid.org

Recommandation n° 25 – Les QALYs

- BERESNIAK A., DURU G. *Economie de la Santé*. 5^{ème} Ed, Paris : Masson, 2001, pp. 126-131 (Collection "Abrégés Connaissances et pratique").
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Methods for the Economic evaluation of Health care Programmes*. 2nd ed. Oxford : Oxford University Press, 1997, p. 165-185.
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Méthodes d'Évaluation Économique des Programmes de Santé*. 2^{ème} ed. Paris : Economica, 1998, p.180-195.
- DURU G. *Utilité*. In : JESSUA C., LABROUSSE C., VITRY D., et al. *Dictionnaire des Sciences économiques*, Paris : PUF, 2001, 1096 p.
- DURU G, AURAY J.P., BERESNIAK A., LAMURE M., PAINE A., NICOLOYANNIS N. Limitations of the Methods Used for calculating Quality-Adjusted-Life-Years Value. *Pharmacoeconomics*, 2002, Vol. 20, n° 7, pp. 463-473.
- FAYERS P M, MACHIN D. *Quality of life: Assessment, Analysis and Interpretation*. Wiley and Sons, 2000, 416 p.
- GOLD Marthe R., SIEGEL Joanna E., RUSSELL Louise B., et al. *Cost-Effectiveness in Health and Medicine*. Oxford : Oxford University Press, 1996, p. 84-94.
- HARRIS J. QALYfying the value of a life, *Journal of Medical Ethics*, 1987, Vol. 13, n° 3, pp. 117-123.

- KEENEY R.L., RAIFFA H. *Decisions with Multiple Objectives*. Cambridge : Cambridge University Press, 1996 (1ère édition, 1976).
- MEHREZ A., GAFNI A. Quality adjusted life years, utility theory and healthy-years equivalents, *Medical Decision Making*, 1989, Vol.9, n° 2, pp. 142-149.
- MEHREZ A., GAFNI A. Healthy years equivalent: how to measure them using the standard gamble approach, *Medical Decision Making*, 1991, Vol.11, n° 2, pp. 142-149.
- MOATTI J.-P., AUQUIER P., LE COROLLER A.-G., MACQUART-MOULIN G. QALYs or not QALYs : that is the question ? *Revue d'Epidémiologie et de Santé Publique*, 1995, Vol.43, pp. 573-583.
- PLISKIN J., SHEPARD D.S., WEINSTEIN M.C. Utility function for life years and health status. *Ops Res*, 1980, Vol.28, pp. 206-224.
- WILLIAMS A. Cost-effectiveness, is it ethical? *Journal of Medical Ethics*, 1992, Vol.18, n° 1, pp. 7-11.
- WILLIAMS A. QALYs and Ethics : A Health Economist's Perspective. *Social Science and Medicine*, 1996, Vol.43, n° 12, pp. 1795-1804.

Recommandation n° 26 – L'évaluation contingente

- GREEN P., CARMONE F., WIND Y. Subjective evaluation models and conjoint measurement. *Behavioural Science*, 1972, Vol. 17, n° 3, pp. 288-299.
- LUCE D., TUKEY J. Simultaneous conjoint measurement: a new type of fundamental measurement. *Journal of mathematical psychology*, 1964, Vol. 1, pp. 1-27.
- MAAS A., STALPERS L. Assessing utilities by means of conjoint measurement: an application in medical decision analysis. *Medical Decision Making*. 1992, Vol. 12, n° 4, pp. 288-297.
- MARKHAM F.W., DIAMOND J.J., HERMANSEN C.L. The use of conjoint analysis to study patient satisfaction. *Evaluation & the Health Professions*, 1999, Vol. 22, n° 3, pp. 371-378.
- RATCLIFFE J. The use of conjoint analysis to elicit willingness-to-pay values. Proceed with caution? *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 2000, Vol. 16, n° 1, pp. 270-275.
- RYAN M. A role for conjoint analysis in technology assessment in health care? *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 1999, Vol. 15, n° 3, pp. 443-457.
- RYAN M., MCINTOSH E., SHACKLEY P. Methodological issues in the application of conjoint analysis in health care. *Health Economics*, 1998, Vol. 7, n° 4, pp. 373-378.
- RYAN M., SCOTT D.A., REEVES C., BATE A., VAN TEIJLINGEN E.R., RUSSELL E.M., NAPPER M., ROBB C.M. Eliciting public preferences for healthcare: a systematic review of techniques. *Health Technology Assessment*, 2001, Vol. 5, n° 5, pp. 1-186.

XI) Actualisation des coûts et des bénéfices

Recommandation n° 27

- CAIRNS J.B. Discounting and health benefits: another perspective. *Health Economics*, 1992, Vol. 1, n° 1, pp. 76-79.
- DRUMMOND M.F., JEFFERSON TO. Guidelines for authors and peer reviewers of economic submissions to the BMJ. *British Medical Journal*, 1996, Vol. 313, n° 7052, pp. 275-283.
- DRUMMOND Michael, MCGUIRE Alistair. *Economic Evaluation in Health Care – Merging theory with practice*. Oxford : Oxford University Press, 2002, pp. 236-56.
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Methods for the Economic evaluation of Health care Programmes*. 2nd ed. Oxford : Oxford University Press, 1997, pp. 107-109.
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Méthodes d'Évaluation Économique des Programmes de Santé*. 2^{ème} ed. Paris : Economica, 1998, p. 114-116.
- GAFNI A. Time in health: can we measure individuals' "pure time preferences"? *Medical Decision Making*, 1995, Vol. 15, n° 1, pp. 31-37.
- GOLD Marthe R., SIEGEL Joanna E., RUSSELL Louise B., et al. *Cost-Effectiveness in Health and Medicine*. Oxford : Oxford University Press, 1996, pp. 214-46.
- HILMAN A.L., KIM M.S. Economic decision-making in healthcare : a standard approach to discounting health outcomes. *Pharmacoeconomics*. 1995, Vol. 7, n° 3, pp. 198-205.
- KATZ D.A., WELCH H.G. Discounting in cost-effectiveness analysis of healthcare programmes. *Pharmacoeconomics*, 1993, Vol. 3, n° 4, pp. 276-285.
- KEELER E.B., CRETIN S., Discounting of life-saving and other non-monetary effects. *Management Science*, 1993, Vol. 29, n° 3, pp. 300-306.
- MacKEIGAN L.D., LARSON L.B., DRAUGALIS J.R., et al. Time preference for health gains versus health losses. *Pharmacoeconomics*, 1993, Vol. 3, n° 5, pp. 374-386.
- OLSEN J.A. On what basis should health be discounted? *Journal of Health Economics*, 1993, Vol. 12, n° 1, pp. 39-53.
- PARSONAGE M, NEUBURGER H. Discounting and health benefits. *Health Economics*. 1992, Vol. 1, n° 1, pp. 71-79.

XII) Modélisation

Recommandation n° 28 et 29

- BECK J.R., PAUKER S.G. The Markov process in medical prognosis. *Medical Decision Making*, 1983, Vol. 3, n° 4, pp. 419-458.
- BECK J.R. Markov models of natural history. *Journal of Clinical Epidemiology*, 1988, Vol. 41, n° 7, pp. 619-21.
- CHIANG C.L. *An introduction to Stochastic Processes and Their Applications*. New York : Robert E. Krieger Publishing Co., Inc, 1980.
- COX D.R., MILLER H.D. *The Theory of Stochastic Processes*. London : Chapman & Hall, 1965.
- GRIMMETT G.R., STIRZAKER D.R. *Probability and Random Processes*. 2nd ed. Oxford : Oxford Science Publications, 1992.
- KEELER E. *Decision trees and Markov models in cost-effectiveness research*. In: Valuing health care : Costs, Benefits, and Effectiveness of Pharmaceuticals and Other Medical Technologies. Cambridge : Cambridge University Press, 1995, pp. 185 – 205.
- LAUNOIS R., GROUTSCHE J.J., MEGNIGBETO A., LE LAY K., PORTAFAX C. L'apport indispensable de l'épidémiologie clinique aux modèles de Markov. *Journal d'Economie Médicale*, 1999, Vol. 17, n° 5, pp. 343-361.
- NORRIS J.R. *Markov Chains*. Cambridge : Cambridge University Press, 1997.
- PUTERMAN M.L. *Markov decision processes : Discrete Stochastic Dynamic Programming*. New York : John Wiley & Sons Ltd - A Wiley series – Interscience publication, 1994.
- SONNENBERG F.A. *Théorie de la prise de décision et de la stratégie médicale*. In: LAUNOIS R., REGNIER F., editors. *Décision thérapeutique et qualité de vie*. Paris : John Libbey Eurotext, 1992, pp 27-54.
- SONNENBERG F., BECK J. Markov model in medical decision making. A practical guide. *Medical Decision Making*, 1993, Vol. 13, n° 1, pp. 322-338.
- TIJMS, H. C. *Stochastic models : An Algorithmic Approach*. Chichester : John Wiley & Sons Ltd, 1994.

XIII) Vérification de la robustesse des conclusions de l'étude

Recommandation n° 30 et 31

- BRIGGS AH, MONEY CZ, WONDERLING DE. Constructing confidence intervals for cost-effectiveness ratios : an evaluation of parametric and non-parametric techniques using Monte-Carlo simulations. *Statistics in Medicine*. 1999, Vol. 18, n° 23, pp. 3245-3262.
- BRIGGS AH, WONDERLING DE, MONEY CZ. Pulling cost-effectiveness-analysis up by its bootstraps : a non-parametric approach to confidence interval estimation. *Health Economics*. 1997, Vol. 6, n° 4, pp. 327-340.
- CHAUDHARY MA, STEARNS SC. Estimating confidence for cost-effectiveness ratios : an example from a randomized trial. *Statistics in Medicine*. 1996, Vol. 15, n° 13, pp. 1447-1458.
- DOUBILET P., BEGG C.B., WEINSTEIN M.C., BRAUN P., MCNEIL B.J. Probabilistic sensitivity analysis using Monte Carlo simulation. *Medical Decision Making*. 1985, Vol 5, n° 2, pp. 155-177.
- HEITJAN DF, MOSKOWITZ AJ, WHANG W. Problems with interval estimates of the incremental cost-effectiveness ratio. *Medical Decision Making*, 1999, Vol. 19, n° 1, pp. 9-15.
- POLSKY D, GLICK HA, WILLKE R, SCHULMAN K. Confidence intervals for cost-effectiveness ratios: a comparison of four methods. *Health Economics*, 1997, Vol. 6, n° 3, pp. 243-252.
- VAN HOUT BA, GORDON G.S. AND RUTTEN, FF. Costs, effects and C/E-ratios alongside a clinical trial. *Health Economics*, 1994, Vol. 3, n° 5, pp. 309-319.
- WILLAN A, O'BRIEN BJ. Confidence intervals for cost-effectiveness ratios : an application of Fieller's theorem. *Health Economics*, 1996, Vol. 5, n° 4, pp. 297-305.

XIV) Présentation des résultats

Recommandation n° 32 à 34

- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Methods for the Economic evaluation of Health care Programmes*. 2nd ed. Oxford : Oxford University Press, 1997, p. 265.
- DRUMMOND Michael F., O'BRIEN Bernie, STODDART Greg L. et al. *Méthodes d'Évaluation Économique des Programmes de Santé*. 2^{ème} ed. Paris : Economica, 1998, p. 285.
- GOLD Marthe R., SIEGEL Joanna E., RUSSELL Louise B., et al. *Cost-Effectiveness in Health and Medicine*. Oxford : Oxford University Press, 1996, p.276.

XV) Interprétation des résultats

Recommandation n° 35 à 37

-
- MASON J., DRUMMOND M., TORRANCE G. Some guidelines on the use of cost effectiveness league tables. *British Medical Journal*, 1993, Vol. 306, n° 6877, pp. 570-572.
- TENGS et al. Five-hundred life-saving interventions and their cost-effectiveness. *Risk Analysis*, 1995, Vol. 15, n° 3, pp. 369-390.
- Bulletin of the WHO, 2000, Vol 78 n°2.

XVI) Impact budgétaire
