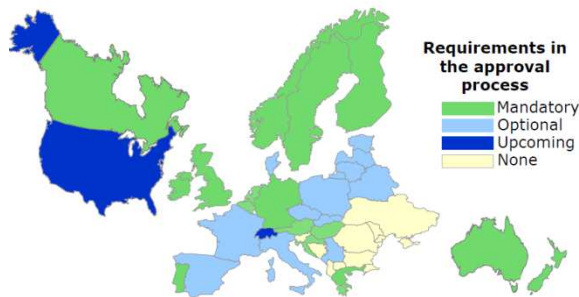


*L'évaluation médico-économique
nouveaux modèles et nouvelles perspectives
Baseilhac E, Dervaux B, Fagon JY*

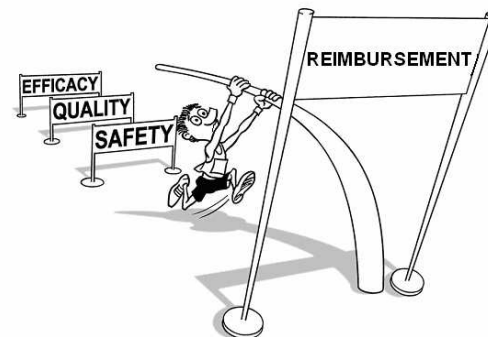
*Journée Nationale de Restitution
des Rencontres de Pharmacologie et de Recherche Clinique
Pour l'Innovation et les Technologies de Santé
Paris, 26 mars 2014*

Contexte (1)

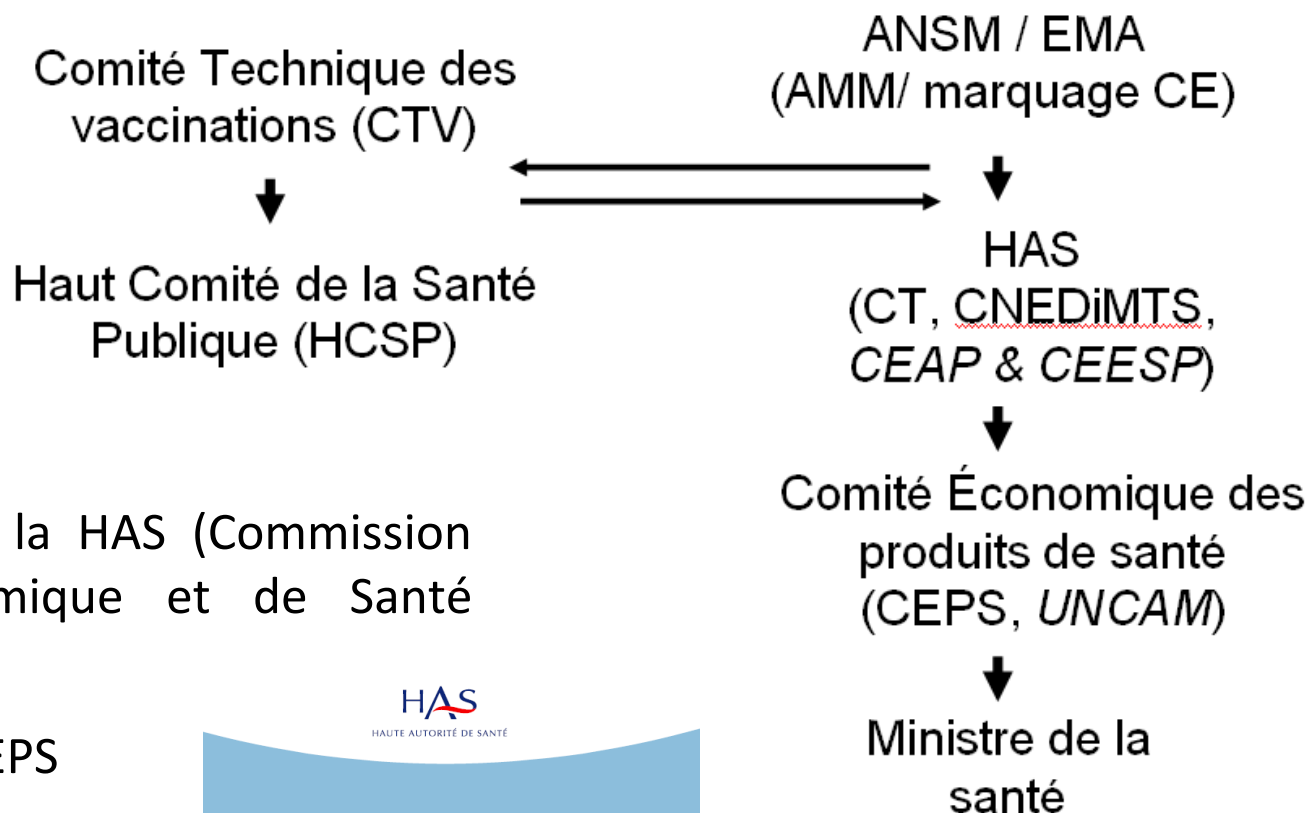
- A l'instar de nombreux pays dans le monde et en Europe



- Nécessité de réaliser une évaluation médico-économique pour les produits de santé innovant (ASMR 1-3) ayant un impact significatif sur les dépenses de santé [décret n° 2012-1116 du 2 octobre 2012] en primo-inscription et en réinscription

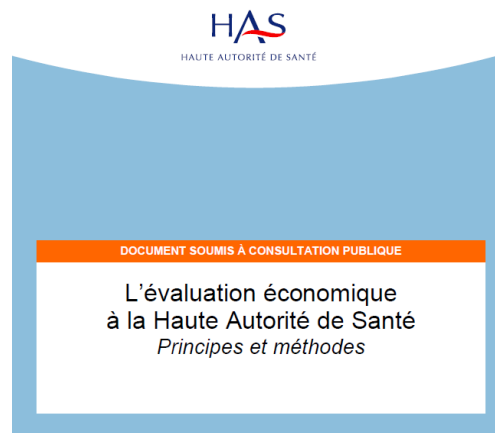


Contexte (2)

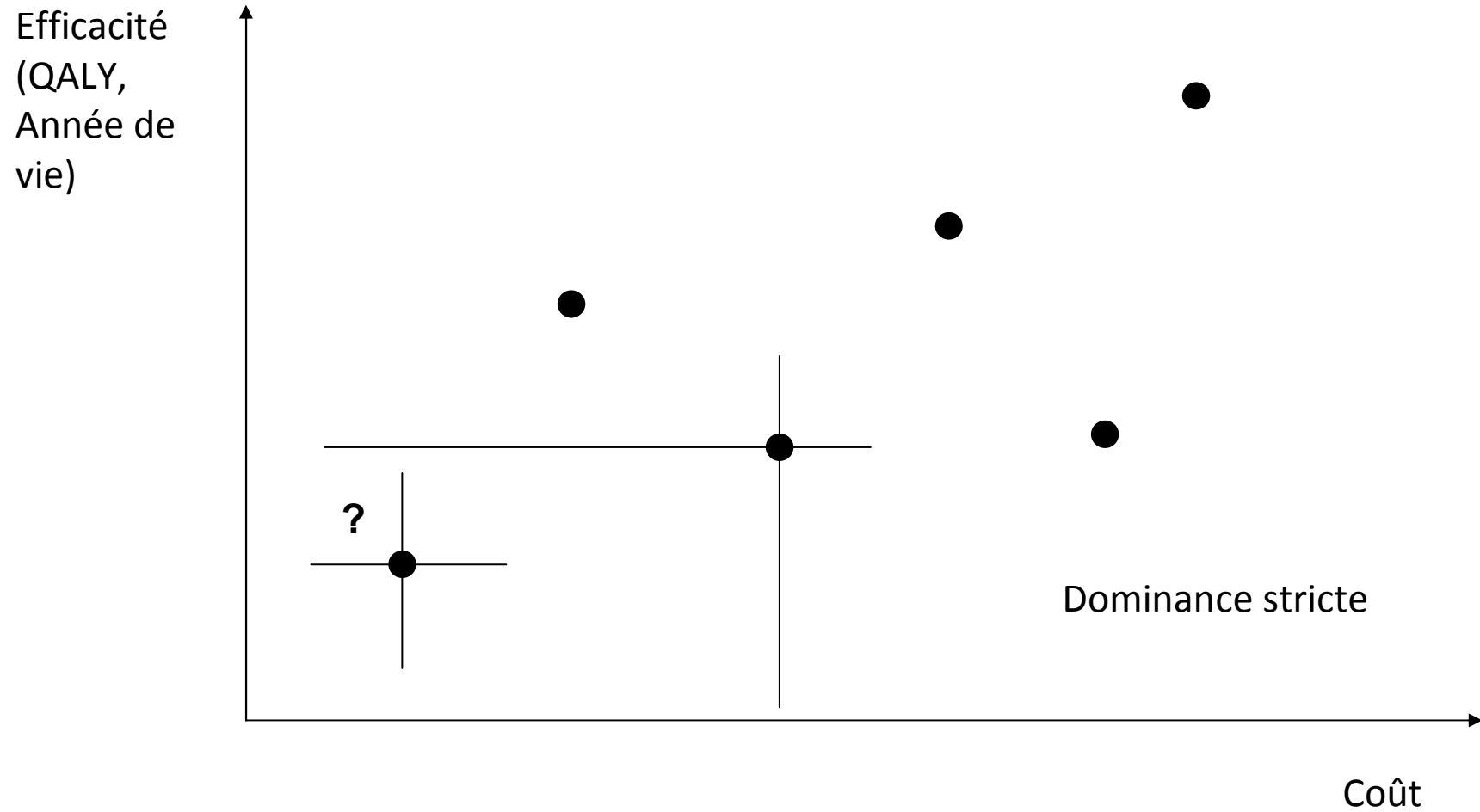


Mission confiée à la HAS (Commission Evaluation Economique et de Santé Publique)

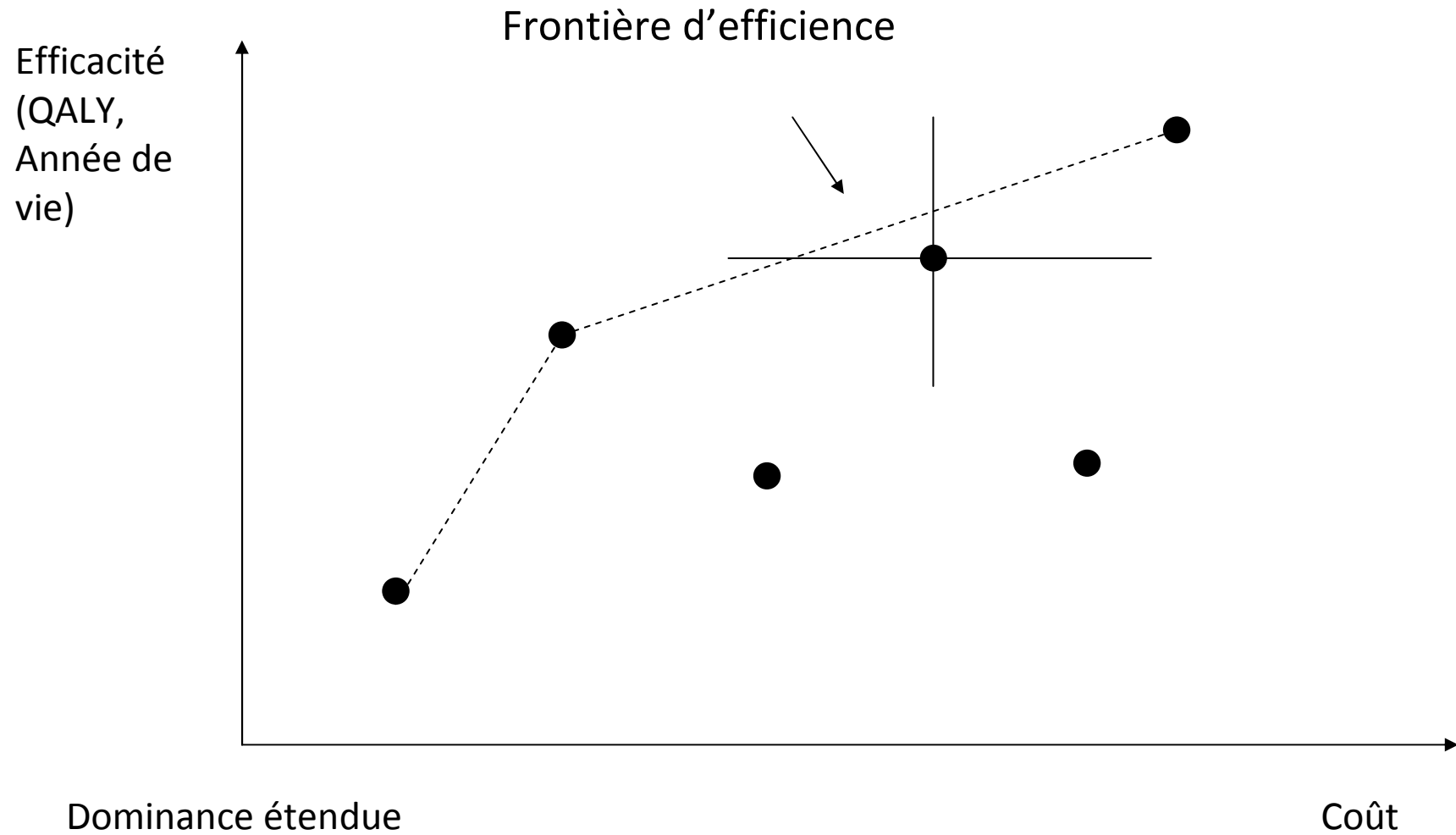
A destination du CEPS



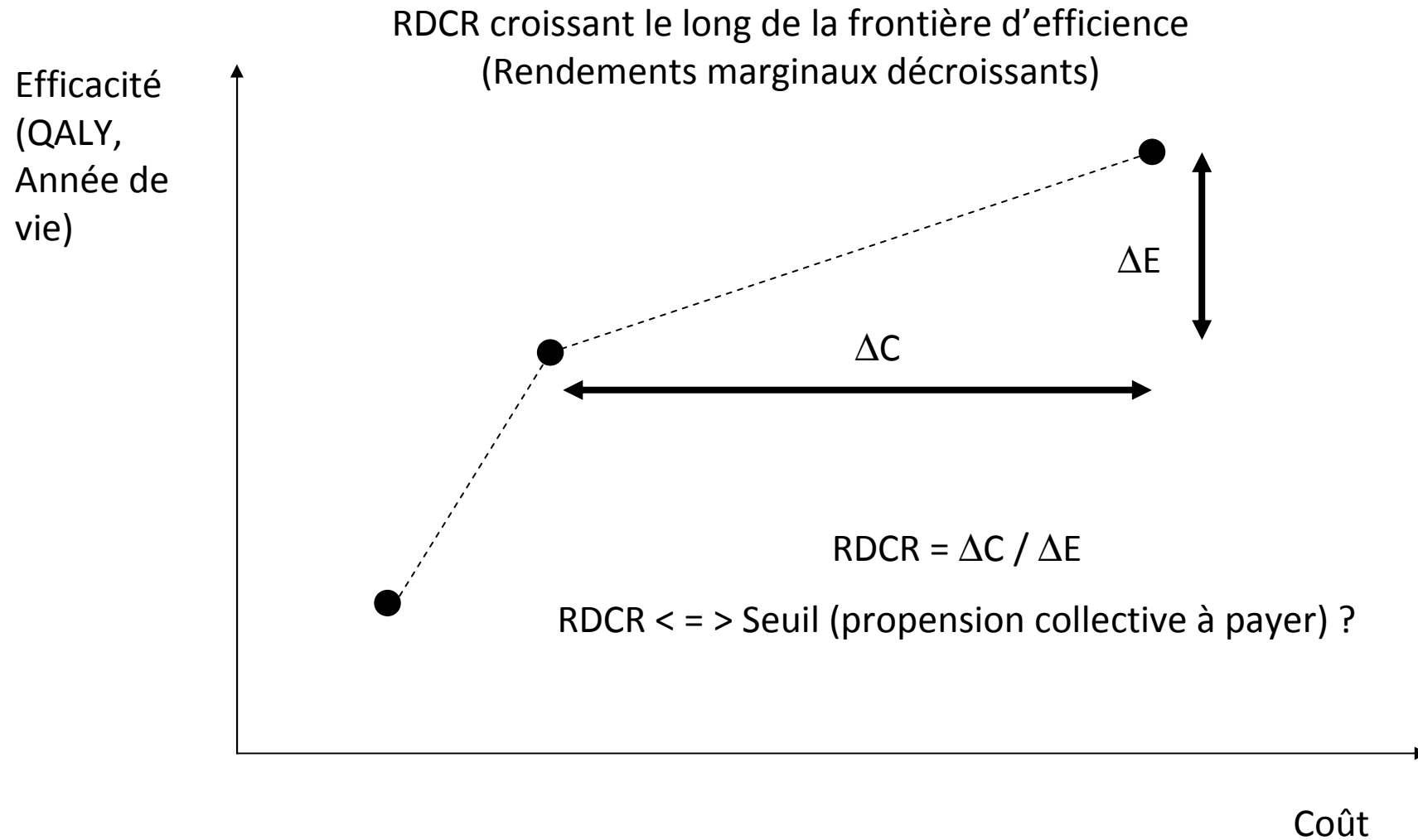
L'analyse coût/efficacité (1)



L'analyse coût/efficacité (2)



L'analyse coût/efficacité (3)

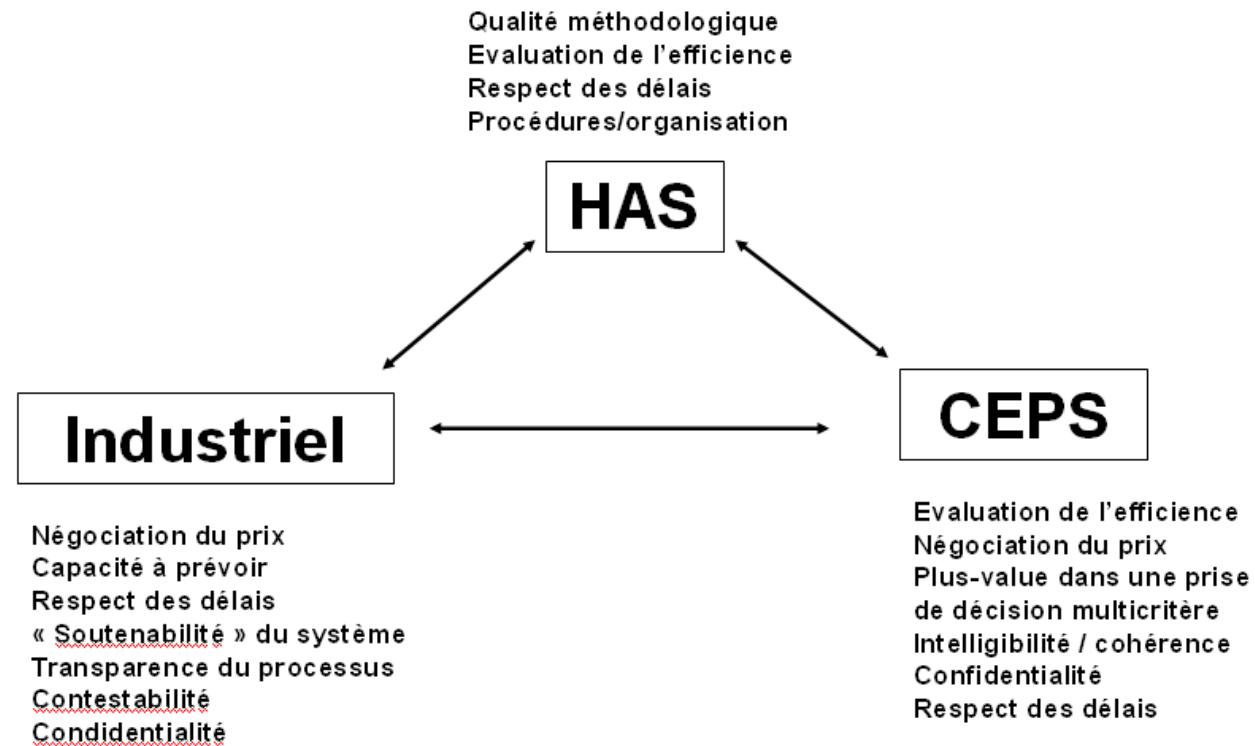


Les enjeux de la problématique (1)

- Deux tables rondes organisées :
 - Giens 2012
 - « L'évaluation médico-économique des produits de santé dans le contexte de la LFSS pour 2012 »
 - Giens 2013
 - «Evaluation médico-économique des produits de santé. Méthodologie pour la définition d'un impact significatif sur les dépenses de l'Assurance Maladie et choix des référentiels pour l'interprétation »
- Les questions posées dans ces 2 tables rondes :
 - Giens 2012
 - Pourquoi faire ? A quel moment de la vie du produit ? Quelle interprétation donnée au RDCR ? Selon quelle procédure ?
 - Giens 2013
 - Quelle définition de l'impact budgétaire significatif ? Quels référentiels pour apprécier l'efficacité ? Quelle cohérence globale ?

Les enjeux de la problématique (2)

- Un « jeu » à trois acteurs



Les enjeux de la problématique (1)

- Quel peut être le rôle de l'évaluation médico-économique dans la détermination du prix des produits de santé ?
 - Quelle est l'utilité de l'évaluation médico-économique dans un système où l'évaluation par la HAS (pour le remboursement) intervient avant la négociation du prix par le CEPS ?
 - Comment concilier les exigences du décret et les clauses de l'accord cadre LEEM/CEPS ?
- L'évaluation médico-économique en primo-inscription est-elle possible ?
 - Comment rendre compte de l'incertitude ?
- Qu'est-ce qu'un impact budgétaire significatif ?
 - Quels sont les critères disponibles, mobilisables au moment du dépôt du dossier ?
 - Quelle valeur ?
- Comment interpréter le RDRC ?
 - Faut-il un(des) seuils ?
 - Si oui, quel(s) seuil(s) [comment, par qui] ?

Les conclusions (1)

- Quelle finalité ?
 - Aux termes du décret, pas le remboursement
 - Mais la négociation du prix
 - Oui, mais
 - Le prix n'est pas connu au moment du dépôt du dossier à la HAS
 - Analyse de sensibilité autour du prix revendiqué: balayage d'une fourchette de prix
 - Sont concernés par le décret les produits innovants (ASMR 1-3, niveau revendiqué par l'industriel) qui bénéficient de la garantie de prix européen dans l'accord cadre LEEM/CEPS
 - → si le niveau d'ASMR revendiqué est attribué, l'évaluation médico-économique devient un argument dans la négociation des clauses de l'accord prix/volume (remises)
 - → si le niveau d'ASMR revendiqué n'est pas obtenu, l'évaluation médico-économique devient un argument de la négociation du prix du produit

Les conclusions (2)

- A quel moment ?
 - Aux termes du décret, en primo-inscription et en réinscription
 - Oui, mais :
 - En primo-inscription, l'incertitude est grande sur l'efficacité du produit (notamment à long terme), les effets indésirables (potentiellement rares et non observés dans les études cliniques), l'observance des patients vis-à-vis du traitement
 - Le(s) comparateur(s) dans les essais cliniques est(sont) choisi(s) très en amont lors de l'élaboration du plan de développement du produit
 - Alors ?
 - Quelle interprétation donnée à l'évaluation médico-économique en primo-inscription ?
 - L'évaluation médico-économique repose le plus souvent sur une modélisation, qui permet de mettre en perspective (et en cohérence !) l'ensemble des éléments d'information disponibles quelle qu'en soit la nature (clinique, épidémiologique, économique...) . Elle permet d'intégrer **explicitement** l'incertitude quelle qu'en soit la nature (structurelle, statistique, méthodologique...).

Les conclusions (3)

- Alors ? [suite]
 - L'incertitude est un critère de la décision. Elle **doit** être prise en compte dans l'analyse. Des méthodes permettent:
 - de quantifier l'incertitude autour du RDCR (PSA)
 - d'identifier les paramètres qui affectent le plus l'estimation du RDCR (sur lesquels il apparaît important d'obtenir de l'information additionnelle)
 - De quantifier les gains attendus en termes de décision d'une information additionnelle. Cette valeur peut être comparée aux coûts d'obtention de cette information (EVPI, EVSI)
 - D'estimer les gains/pertes associés au fait de postposer la décision (valeur d'option)
 - L'évaluation médico-économique en primo-inscription doit permettre de préciser les demandes d'études post-inscription
 - L'évaluation médico-économique en réinscription doit permettre de valider le « pari » réalisé en primo-inscription à partir des données recueillies au cours des premières années de commercialisation du produit

Les conclusions (4)

- Quel seuil d'éligibilité ?
 - Au regard de la décision de la HAS : 20 M€ TTC (soit approximativement 15M€ PFHT) avec procédure dérogatoire
 - Approche pragmatique (la seule opératoire ?)
 - Nécessité de concertation avec le CEPS
 - Oui mais :
 - Le seuil choisi est bas
 - L'impact budgétaire ne se résume pas au chiffre d'affaires du produit
 - Dans le décret, sont cités : l'organisation des soins, les pratiques professionnelles, les modalités de prise en charge des patients, le prix
 - La notion d'impact budgétaire est clairement définie dans les recommandations du Collège des Economistes de la Santé (et dans la littérature)
 - D'autres critères pourraient être considérés :
 - Le « différentiel » de CA dans le cadre d'une substitution
 - Le coût par patient / an (référentiels existants)
 - La décision de la HAS peut-elle être contestée ? Comment ?

Les conclusions (5)

- Comment interpréter le RDCR ?
 - Faut-il un seuil ?
 - En théorie, un bien (QALY) = un prix
 - Peu de pays disposent d'un seuil (les exemples les plus souvent cités sont le Royaume-Uni et la commission macro-économique de l'OMS)
 - Le QALY est-il une bonne unité d'œuvre ? Sinon, le bien n'est pas homogène et le prix peut varier
 - La maximisation du nombre de QALY au regard des ressources allouées à la santé est-elle l'objectif poursuivi ? Comment intégrer les questions d'équité ? [Cf. l'exemple du NICE]
 - L'existence d'un seuil peut générer des effets pervers importants :
 - Biais d'ancrage (fixation du prix de sorte à se situer juste en dessous du seuil)
 - Impact sur l'innovation (sélection des produits en développement)

Les conclusions (6)

- Comment interpréter le RDCR ?
 - Si oui, comment faire ?
 - Analyser les décisions passées (les décisions passées étaient-elles rationnelle ?)
 - Analyser de manière statistique la relation entre le volume des ressources investies (par exemple, l'évolution des dépenses par pathologie) et les gains de santé (par exemple, les QALY ou AVAI) [Claxton et al. (2013)] (quelle est l'efficacité du système ?)
 - Recourir aux valeurs définies dans d'autres secteurs (par exemple, dans le domaine du transport, Commission Quinet : VSL = 3M€, VSLY = 115000€) (les risques sont-ils perçus identiquement ? Prise en compte de la responsabilité individuelle/collective)
 - Estimer la propension à payer des individus pour un QALY (peu de conclusions robustes dans la littérature disponibles à ce jour)
 - En conclusion, peu de solution satisfaisante pour la prise de décision (il s'agit principalement de travaux de recherche)

Les conclusions (6)

- Comment interpréter le RDCR ?
 - Si oui, un seuil ou des seuils ?
 - Il existe des procédures dérogatoires dans de nombreux pays (par exemple, le NICE pour les traitements de fin de vie, le « Rule of Rescue » en Australie en l'absence d'alternatives thérapeutiques, l'utilisation du « proportional shortfall » aux Pays-Bas
 - Sur quels critères ?
 - Le poids de la maladie (« burden of disease »), dont l'évaluation devrait associer les patients
 - L'ASMR qui permet d'intégrer des dimensions non prises en compte dans le QALY, qui mesure la désirabilité sociale d'un produit
 - La nécessité de définir « des référentiels », dans une perspective interprétative et non normative, qui pourront évoluer dans le temps au regard d'un retour d'expérience

Les conclusions (7)

- Comment ?
 - Garantir l'indépendance des expertises médico-technique (CT, CNEDIMTS) et médico-économique (CEESP), conduites en parallèle
 - Assurer la cohérence et la « prédictabilité » des avis/décisions
 - Intérêt des rencontres précoces
 - Normalisation des avis de la CEESP
 - Organiser des rencontres régulières entre industriels/HAS/CEPS
 - Expliquer les règles de fixation du prix des produits de santé : l'évaluation médico-économique n'étant qu'un des critères de la prise de décision (de manière proactive, dans le rapport d'activité du CEPS)

Les recommandations et résultats

- Sur le plan des procédures :
 - Promouvoir les rencontres précoces pour présenter les projets avec des possibilités de rencontres régulières au cours de l'instruction des dossiers [cette recommandation a été suivie]
 - Privilégier le rôle intégrateur du CEPS (guichet unique) dans la relation industriels/HAS/CEPS
 - Organiser des rendez-vous tripartites réguliers pour évaluer la réforme
 - Veiller à l'articulation primo-inscription/études post-inscription/réinscription
 - Clarifier le rôle de chaque instance dans l'évaluation des vaccins (HCSP/HAS)
 - Tenir compte des contraintes de financement dans les demandes d'études (notamment pour le secteur des dispositifs médicaux)

Les recommandations et résultats

- Sur la question des seuils
 - Lancer des travaux de recherche sur la question de la détermination du (des) seuil(s) dans le contexte français
 - Associer les représentants des patients et des usagers à la réflexion sur le(s) seuil(s)