



# *Les Ateliers de Giens*

## **TR3 - Quel impact budgétaire pour l'arrivée d'un nouveau traitement ou d'une nouvelle technologie de santé ?**

IV<sup>ème</sup> Journée Nationale des Rencontres  
de Pharmacologie et de Recherche Clinique  
pour l'Innovation et les Technologies de Santé  
Paris, le 29 mars 2017

# Un petit retour en arrière

- A quoi sert l'évaluation économique ?

Comment faire ?	→	Détermination de la frontière d'efficience
Faut-il faire ?	→	Calcul et interprétation du RDCR
Peut-on faire ?	→	Analyse d'impact budgétaire

L'évaluation médico-économique  
des produits de santé dans le contexte de la loi  
de financement de la Sécurité sociale pour 2012

ATELIERS DE GIENS 2012

Évaluation 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 des résultats

ATELIERS DE GIENS 2013/MÉDICO-ÉCONOMIE

# Giens 2016

- A quoi sert l'évaluation économique ?

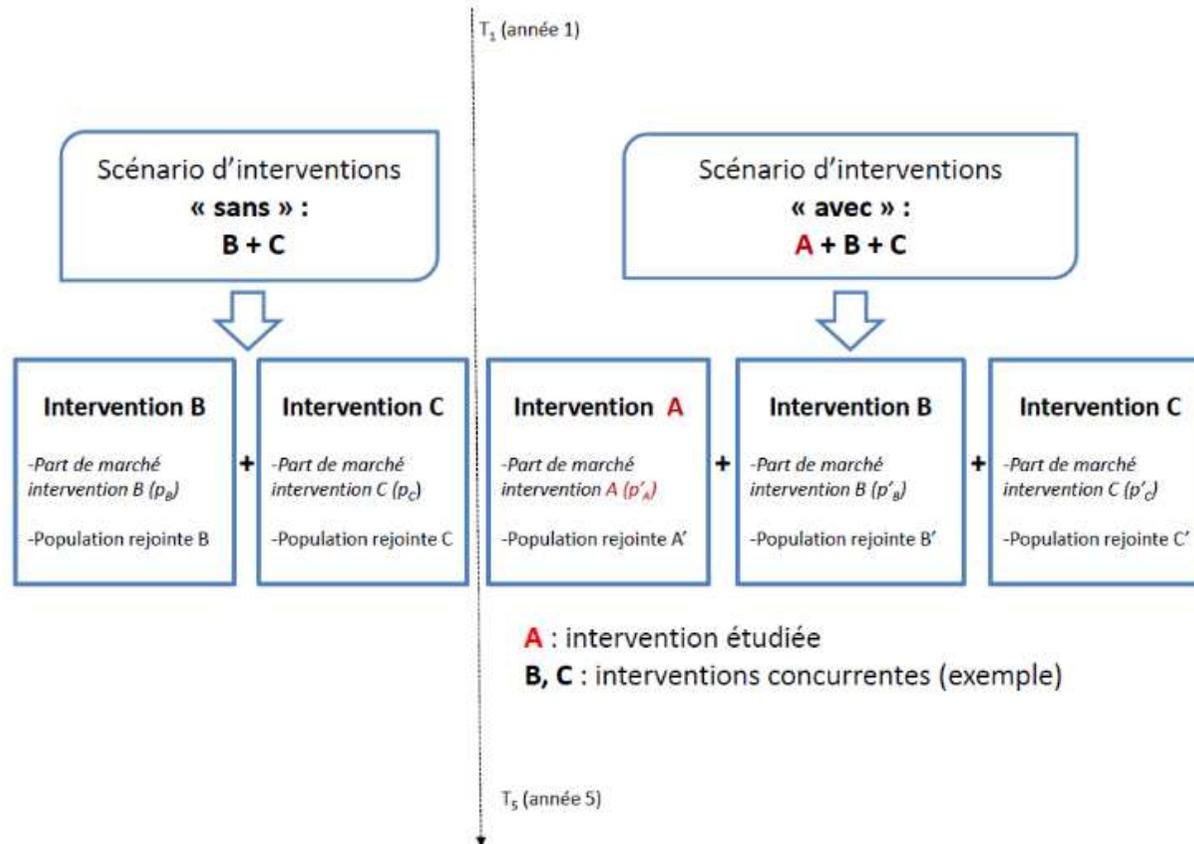
Comment faire ?	→	Détermination de la frontière d'efficience
Faut-il faire ?	→	Calcul et interprétation du RDCR
Peut-on faire ?	→	Analyse d'impact budgétaire

**Quel impact budgétaire pour l'arrivée d'un nouveau traitement ou d'une nouvelle technologie de santé ?<sup>☆</sup>**

# L'AIB (1)

- « L'analyse d'impact budgétaire est une approche financière destinée à estimer, sur un horizon temporel à court ou moyen terme, les conséquences financières annuelles de l'adoption d'une intervention de santé. Cette estimation résulte du calcul de la différence entre les prévisions de dépenses de scénarios intégrant ou non l'intervention de santé étudiée » [HAS]

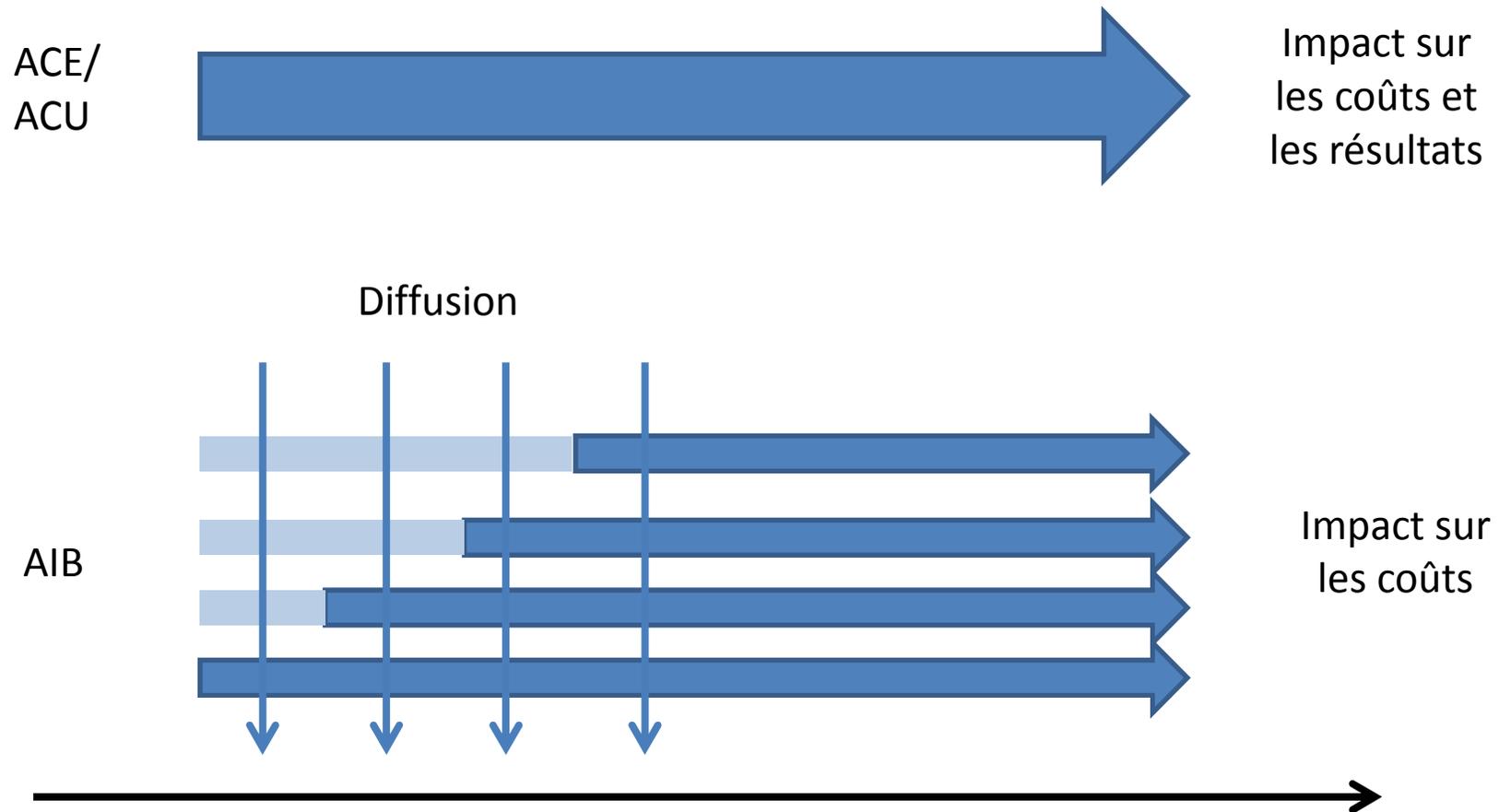
# L'AIB (2)



# Les éléments de contexte

- Le rapport de l'IGAS (2014) sur la place des évaluations médico-économique dans la décision publique en France et à l'étranger
- Le rapport Polton (2015) sur la réforme des modalités d'évaluation des médicaments
- L'accord-cadre entre le CEPS et le (2015) [seuil: 50M€ à 2 ans]
- La production du guide méthodologique HAS pour les AIB (2016)

# AIB vs ACE/ACU (1)



# AIB vs ACE/ACU (2)

Tableau 1 Différences méthodologiques entre l'analyse de l'impact budgétaire (AIB) et l'analyse coût/résultat (ACR) d'après la Haute Autorité de santé (HAS). Avec l'aimable autorisation de la Haute Autorité de santé (HAS), 2016.

	AIB	ACR
Perspective	Assurance-maladie obligatoire (à titre principal) <sup>a</sup>	Perspective « collective »
Objectif	Conséquences financières annuelles de l'adoption d'une intervention de santé (accessibilité financière)	Comparaison de la différence de résultat de santé et de la différence de coût total engendrées par une intervention relativement à ses alternatives pertinentes
Spécificités de la population intégrée dans le modèle	Prise en compte d'une population effectivement traitée correspondant à des cohortes successives	Simulation du devenir d'un individu représentatif (ou de plusieurs individus) d'une cohorte fermée
Comparateur(s)	Comparaisons d'ensemble d'interventions (scénarios avant/après introduction de l'intervention) plutôt que d'interventions individuelles	Comparaisons « individuelles » : toutes les interventions en concurrence avec l'intervention évaluée auprès d'une population donnée
Coûts pris en compte	Prise en compte des coûts supportés par l'assurance-maladie obligatoire (perspective principale)	Prise en compte des coûts selon la perspective collective (intégration de l'ensemble des parties prenantes concernées par les interventions étudiées dans le contexte du système de santé français)
Horizon temporel	Adoption d'un horizon défini selon un « cycle » budgétaire compris entre 3 et 5 ans	Adoption d'un horizon suffisamment long pour tenir compte des effets de l'intervention évaluée
Actualisation	Présentation de flux financiers annuels sous forme de coûts non actualisés. Actualisation des résultats non nécessaire	Actualisation des coûts et des résultats futurs selon le taux d'actualisation en vigueur
Résultats	Présentation des résultats en termes de dépenses par scénario et de différences de dépenses entre les deux schémas d'intervention comparés <sup>b</sup>	Présentation des résultats en termes de ratio différentiel coût/résultat
Analyse de sensibilité	Réalisation d'analyses de sensibilité essentiellement déterministes (en scénarios)	Réalisation d'analyses de sensibilité déterministes et probabilistes

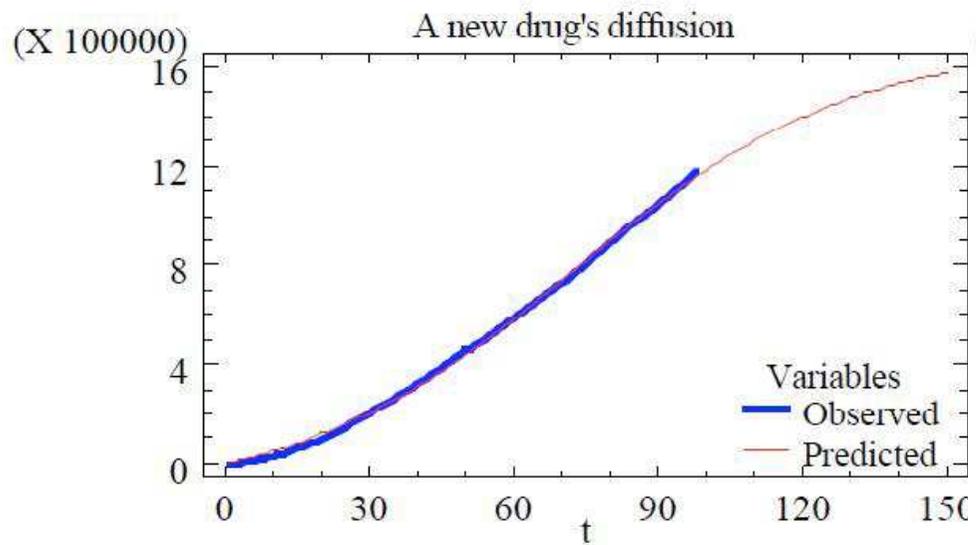
<sup>a</sup> D'autres perspectives sont possibles (hôpital...).

<sup>b</sup> Avec et sans l'intervention évaluée.

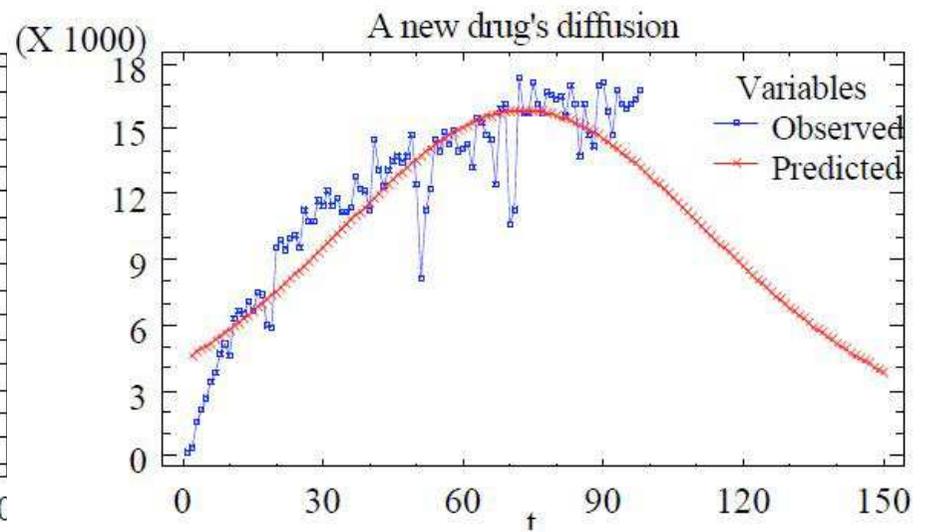
# Quelle finalité ?

- ACE/ACU et AIB : 2 analyses complémentaires avec des objectifs différents
- AIB :
  - La question de la fongibilité des enveloppes
  - Deux perspectives :
    - une perspective contractuelle
      - Forte incertitude liée à la vitesse de diffusion de l'innovation et à la définition de la population-cible
      - Gestion du risque et partage d'informations
    - une perspective de prédiction
      - Possibilité de conduire des AIB globale par classe thérapeutique ou groupes de produits dans lesquelles les AIB par produit pourraient venir se nicher
      - Possible contribution à une gestion pluriannuelle de l'ONDAM

# Etude de Guidolin



Ventes cumulées



Ventes instantanées

# Des tentatives de modélisation en France

- Cemka-Eval : Travail exploratoire sur données Medicam

$$p_i = \beta_1 + \beta_2 * prix_i + \beta_3 * invest_{i,t} + \beta_4 * \mathbb{1}_{\{ASMR=1\}} + \beta_5 * \mathbb{1}_{\{ASMR=2\}} + \beta_6 * \mathbb{1}_{\{ASMR=3\}} + \beta_7 * \mathbb{1}_{\{ASMR=4\}} + \beta_8 * \mathbb{1}_{\{cuntanée=1\}} + \beta_9 * \mathbb{1}_{\{transmuqueuse=1\}} + \beta_{10} * \mathbb{1}_{\{injectable=1\}} + \beta_{11} * \mathbb{1}_{\{spécialité=1\}} + \beta_{12} * population_i + \varepsilon_{i,t}$$

$p_i$  la pente des ventes du produit  $i$  entre le troisième et le douzième mois

$prix_i$  représente le prix du médicament  $i$

$invest_{i,t}$  correspond au montant des investissements promotionnels pour le médicament  $i$  pour la période  $t$

$population_i$  représente la population cible du médicament  $i$

$\mathbb{1}_{\{ASMR=1\}}, \mathbb{1}_{\{ASMR=2\}}, \mathbb{1}_{\{ASMR=3\}}, \mathbb{1}_{\{ASMR=4\}}$  sont des indicatrices pour le niveau d'ASMR

$\mathbb{1}_{\{cuntanée=1\}}, \mathbb{1}_{\{transmuqueuse=1\}}, \mathbb{1}_{\{injectable=1\}}$  sont des indicatrices correspondant à la forme galénique

$\mathbb{1}_{\{spécialité=1\}}$  est une indicatrice de la spécialisation ou non du laboratoire dans la classe thérapeutique de l'innovation.

$\varepsilon_{i,t}$  est l'aléa

# Les recommandations

## - L'utilisation des AIB -

### Recommandations de la table ronde sur l'utilisation des AIB

- L'ACR et l'AIB sont des analyses complémentaires. L'ACR est la méthodologie de référence pour l'analyse de l'efficience.
- L'AIB n'a pas vocation à se substituer à l'ACR puisque son objectif est différent, sa perspective plus étroite et sa temporalité plus courte.
- L'AIB, lorsqu'elle est présentée, a une vocation d'éclairage pour l'ensemble des parties prenantes, notamment lorsque l'utilisation du nouveau produit peut générer des économies, ce n'est pas qu'une exigence réglementaire.

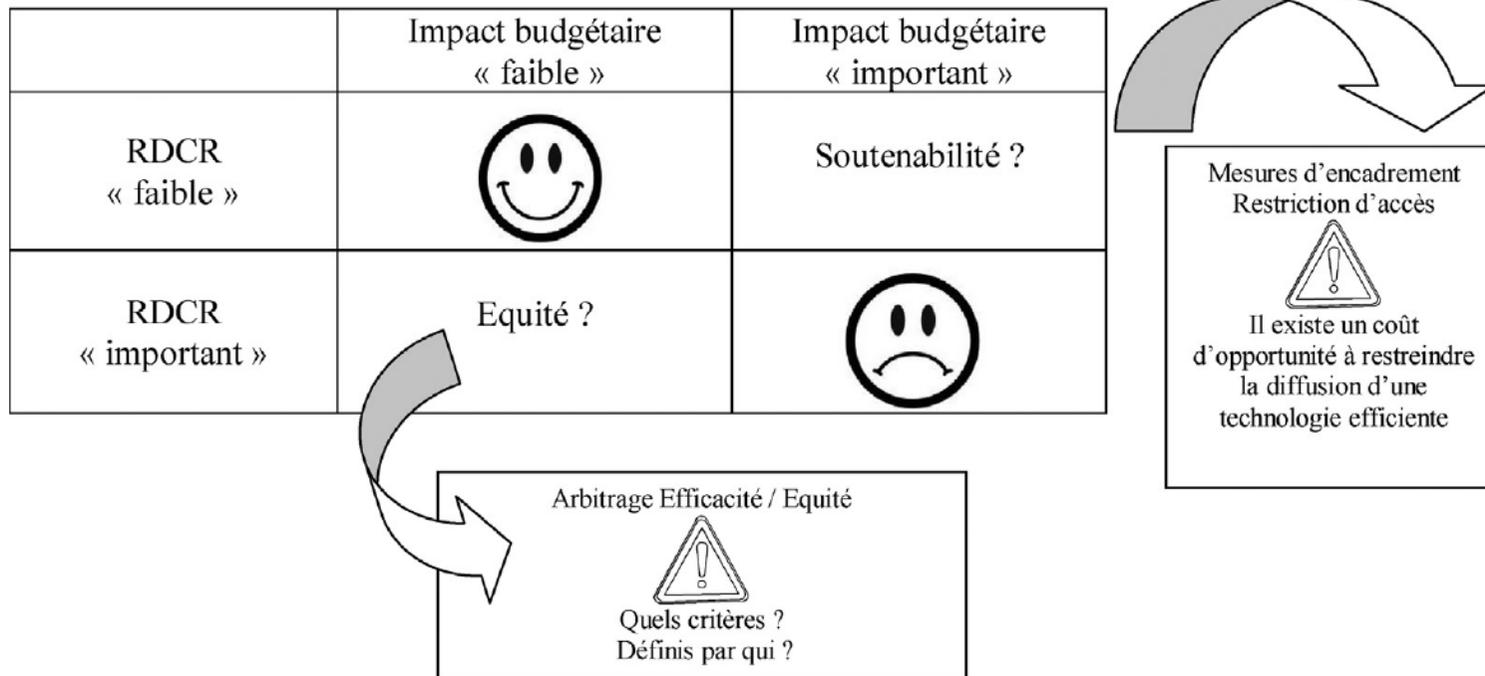
- Une AIB globale, par classe thérapeutique ou par groupe de produits, pourrait être réalisée par les pouvoirs publics et l'assurance-maladie ou une structure académique, en concertation/collaboration avec les industriels. L'objectif serait de fournir des éléments de cadrage global en amont de la mise sur le marché des produits à partir de données de veille technologique et des échanges avec les industriels sur les produits en cours de développement. Ces éléments pourraient être utiles à la fois pour les négociations de prix entre le CEPS et les industriels mais aussi pour la gestion pluriannuelle de l'ONDAM.

- Les deux perspectives de l'AIB (décision/prédiction) doivent être adoptées simultanément. La qualité des estimations de la population-cible (ou population-rejointe) et du rythme de pénétration du nouveau produit sur le marché est un enjeu essentiel pour les industriels eux-mêmes, dans le cadre des négociations entre le CEPS et les industriels mais aussi pour la régulation des dépenses de santé. L'incertitude attachée à l'estimation de ces paramètres est cependant très importante. Cela constitue un enjeu fort de crédibilité des acteurs, tous préoccupés de la soutenabilité du système de santé. Cela suppose qu'une définition claire de la notion de population-cible soit proposée en précisant en particulier l'horizon temporel à considérer, les indications, contre-indications et précautions d'emploi à prendre en compte.

# ACE/ACU et AIB: quelle articulation ?

- Nécessaire cohérence de certains choix méthodologiques entre ACE/ACU et AIB
- Dispose-t-on de critères d'interprétation des résultats de l'AIB (ex. the Institute for Clinical and Economic Review aux USA) ?
- Quel est le rôle de la HAS ?
- Prise en compte des résultats de l'AIB pour l'interprétation des résultats de l'ACE/ACU
  - Interprétation du RDCR (coût d'opportunité)
  - Analyse de sensibilité (effet « levier »)
  - Equité (égale opportunité)

# Quelle interprétation ?



# Les recommandations

## - L'interprétation des résultats -

- La cohérence de certains choix méthodologiques entre l'ACR et l'AIB est absolument nécessaire (impact sur l'état de santé des patients et l'organisation des soins, choix des comparateurs, modalités de valorisation des éléments de coût...).
  - Les résultats de l'AIB doivent être interprétés au regard de la finalité de l'intervention. La réalisation d'une AIB ne doit pas conduire à désavantager les interventions de prévention et les interventions qui conduisent à la guérison des patients (par rapport à celles qui « chronicisent » une prise en charge).
  - La mise en perspective des résultats de l'AIB par rapport à l'évolution du PIB n'apparaît pas souhaitable. La comparaison par rapport à l'ONDAM ou à l'évolution des dépenses de santé attribuables à une classe thérapeutique ou une pathologie fait plus de sens. Mais les participants à la table ronde considèrent qu'il ne faudrait pas, par ce biais, instituer une gestion par enveloppes dans la mesure où les innovations ne surviennent pas au même rythme, ni au même moment entre les classes thérapeutiques et les pathologies (effets de grappe fréquents).
- En ce qui concerne l'articulation entre l'ACR et l'AIB, lorsque les deux sont requises :
    - dans le cadre réglementaire actuel, les deux analyses doivent être transmises, en parallèle, au CEPS qui est en charge de la négociation des prix ;
    - dans le cadre d'une enveloppe budgétaire fortement contrainte, l'attention peut être attirée sur le fait que le volume de ressources capturé par la nouvelle intervention ne sera plus disponible pour d'autres interventions (notion de coût d'opportunité).

# Les recommandations

- Pour quels produits, à quel moment ? -

## Recommandation de la table ronde sur les produits de santé éligibles à l'AIB

- L'AIB devrait prendre en compte l'ensemble des indications d'un même produit alors que l'ACR de focalise sur les indications les plus innovantes (ASMR/ASA I à III).
- L'AIB devrait permettre pour certains médicaments, y compris d'ASMR IV et V, de montrer son intérêt au plan budgétaire, ce qui pourrait alors éventuellement soutenir une demande de prix.

## Recommandations de la table ronde sur le moment où l'AIB peut être utile

- L'AIB doit être mise à jour pour tenir compte du niveau d'ASMR/ASA réellement obtenu et du prix négocié avec le CEPS.
- À la primo-inscription, il est impossible de prendre en compte les futurs entrants dans l'AIB. Des clauses de réévaluation à brève échéance peuvent aider à les prendre en compte dans un deuxième temps (position non unanime des membres de la table ronde).
- L'AIB pourrait être reproduite au moment de la réévaluation du produit.

# La question de l'implémentation

## Recommandations de la table ronde sur les notions d'implémentation

- Ne pas faire du rythme de diffusion d'une innovation une variable d'ajustement et analyser le coût associé à une diffusion non optimale.
- Accompagner les recommandations d'efficience et les conventions par des stratégies d'implémentation, mutualiser les expériences (ex. les analyses d'impact réalisées dans les établissements de santé), accompagner le changement et promouvoir l'amélioration continue en vue d'optimiser le parcours de soins.
- Mettre en place un suivi régulier de la diffusion à partir des bases de données médico-administratives, en associant les industriels aux travaux.

# Health Technologies Adoption Programme: Process guide for adoption support resources for health technologies

Process

Published: 12 January 2015

[nice.org.uk/process/pmg23](http://nice.org.uk/process/pmg23)



SALLY CHISHOLM, Programme Director, Health Technologies  
Adoption Programme  
BRUCE CAMPBELL, Chair, Interventional Procedures and Medical  
Technologies Advisory Committees  
National Institute for Health and Care Excellence  
10 Spring Gardens | London SW1A 2BU | UK

## NICE news in the annals

Adopting medical technologies and diagnostics recommended by NICE:  
The Health Technologies Adoption Programme

SALLY CHISHOLM

*Programme Director, Health Technologies Adoption Programme,  
National Institute for Health and Care Excellence*

**Merci de votre attention**