



**5^{ème} Journée Nationale des Innovations Hospitalières
Bordeaux - 26 Juin 2014**



Modélisation, essais cliniques, exploitation des bases de données et recours à la littérature : mise en perspective et limites en contexte hospitalier

Pr Laurent Molinier, CHU de Toulouse, UPS, INSERM UMR 1027



Evaluation médico-économique des programmes de santé (1)

Objectifs de l'évaluation économique


- Estimer le bilan économique net pour la société d'un programme de santé
 - Ambitieux
 - Valoriser les coûts et les conséquences dans une unité commune
- Aider à choisir parmi plusieurs stratégies tendant à un même but
 - Classement les stratégies en fonction d'un rapport coût-résultat

Evaluation médico-économique des programmes de santé (2)

▀ Dans un contexte hospitalier

- Optimisation des ressources et la réorganisation structurelle
- Consommer le budget d'un hôpital ou d'un pôle clinique affecté au financement de technologies de santé
- Sous contrainte de maximisation des conséquences médicales (survie, QDV...)
- Identifier les technologies de santé susceptibles d'être retenues et préciser les recrutements (médicaux et non médicaux) correspondants

Différentes approches pour répondre à un besoin d'évaluation



J'ai besoin d'un essai clinique, d'un modèle, d'une revue de la littérature, d'une méta-analyse... ou de tout à la fois ?

Quelques questions à se poser dans un contexte hospitalier (1)

Décision

Une nouvelle intervention accompagnée d'un dispositif coûteux peut-elle être financée dans le cadre d'un budget contraint ?

Quelle est la décision appropriée en contexte d'incertitude ?

Evaluation

Les bénéfices et les coûts de la nouvelle intervention sont-ils plus importants que ceux de l'ancienne (coût d'opportunité) ?

Quelle décision va produire le bénéfice le plus important pour la population (point de vue) ?

Analyse

Evaluation coût-efficacité: ICER ? Quel est le seuil de rentabilité de la nouvelle intervention ?

Analyse de l'incertitude: analyse de sensibilité (probabiliste ?), valeur de l'information, coûts irréversibles ...

Quelques questions à se poser dans un contexte hospitalier (2)

▲ Objectifs ?

▲ Point de vue ?

▶ Etablissements, payeurs, patients, familles, société

▲ Méthodes existantes ?

▶ Essai clinique, étude observationnelle, modèle, données de la littérature ...

▲ Disponibilité de l'information ?

▲ Faisabilité ?

Outils méthodologiques

- Revue de la littérature
- Essai clinique
- Etudes d'observation
- Modélisation
- ...

Revue de la littérature

Comment ?

- Par une synthèse méthodique et objective des données disponibles sur la technologie de santé : analyse des implications médicales, économiques et juridiques

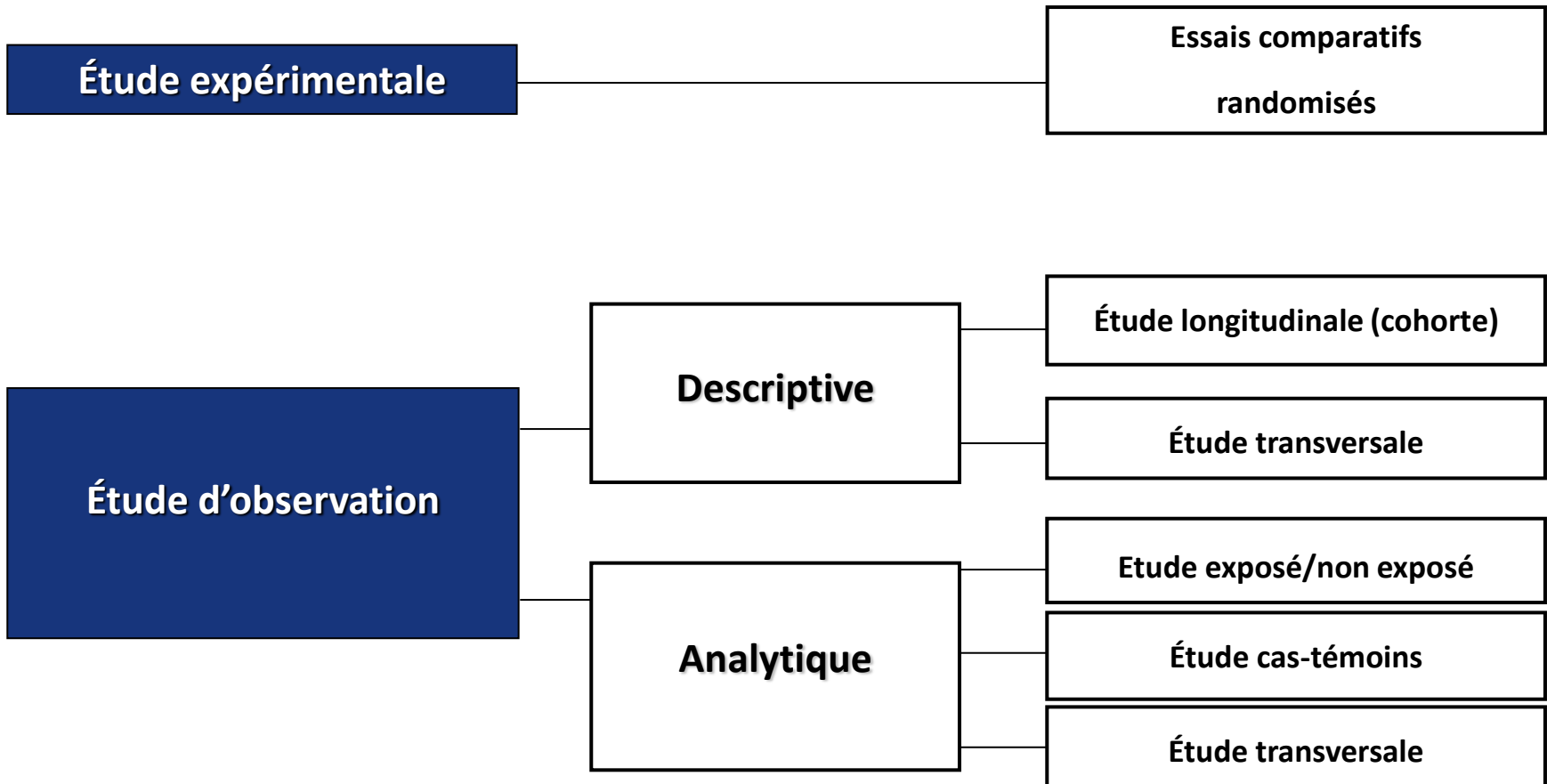
Quel que soit le choix effectué, une revue de la littérature est indispensable

- Meilleurs choix sur la base de données scientifiques et/ou probantes

Limite en contexte hospitalier

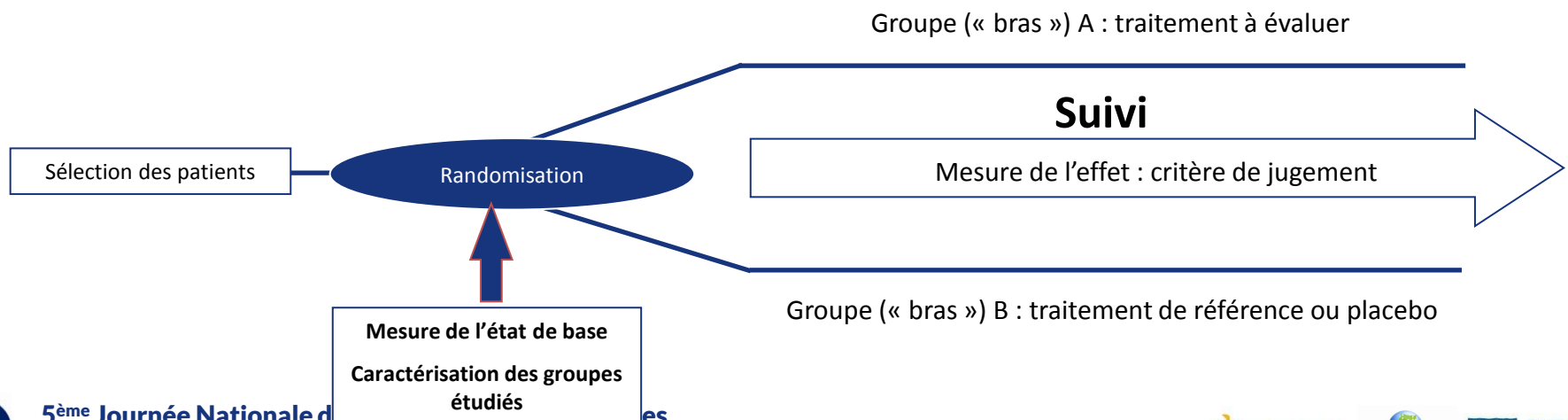
- Ne répond pas toujours à la question posée (contexte, objectifs)

Typologie des études cliniques



Essai clinique (1)

- Expérimentation dont l'objectif est d'évaluer l'efficacité ou la tolérance d'un traitement
 - Étude des médicaments, traitements chirurgicaux, technologies de santé, stratégies thérapeutiques, ...
- Plan expérimental permet une interprétation causale de l'effet du « traitement » évalué



Essai clinique (2)

▲ Gold standard (AAP institutionnels)

- ▶ Le résultat peut être imputé au seul traitement à l'étude

▲ Limites en contexte hospitalier

- ▶ Essai monocentrique vs essai multicentrique

▶ Données hospitalières

- ▶ Populations sélectionnées: prises en charge réalisées dans un nombre limité d'établissements spécialisés et le plus souvent à vocation universitaire
- ▶ Ne rendent pas compte véritablement de l'impact réel des innovations thérapeutiques ou des recommandations sur la population (organisation des soins, accessibilité, acceptabilité sociale ...)

Autres études cliniques

Etudes d'observation

Descriptives ou analytiques

Comparatives, non comparatives, prospectives, rétrospectives ...

Bases de données médico-administratives

BDD hospitalières

BDD hospitalières et extra-hospitalières

BDD médico-administratives (1)

🏹 BDD hospitalières

- 🏹 BDD *ad hoc* mises en place par les équipes cliniques
- 🏹 PMSI (séjours hospitaliers)
- 🏹 ENCC (coûts décomposés par séjour)
- 🏹 Base d'Angers (coûts de production des services médico-techniques et logistico-administratifs)
- 🏹 Comptabilité analytique des établissements

🏹 BDD hospitalières et extrahospitalières

- 🏹 SNIIRAM (Système National d'Information Inter-Régimes d'Assurance Maladie)
- 🏹 EGB (Echantillon Généraliste de Bénéficiaires)
- 🏹 BDD *ad hoc* Assurance Maladie

BDD médico-administratives (2)

Intérêts multiples

- Répondre aux questions posées
- Utilité BDD = $f(\text{objectif, méthode})$ étude
- Seuil de rentabilité d'une technologie de santé (business plan)

Limites dans un contexte hospitalier

- Disponibilité des informations (coûts liés aux pertes de production, coûts informels)
- Capacité à exploiter et analyser ces données

Bases de données *ad hoc*

➤ Fonction des objectifs et de la méthode de l'étude

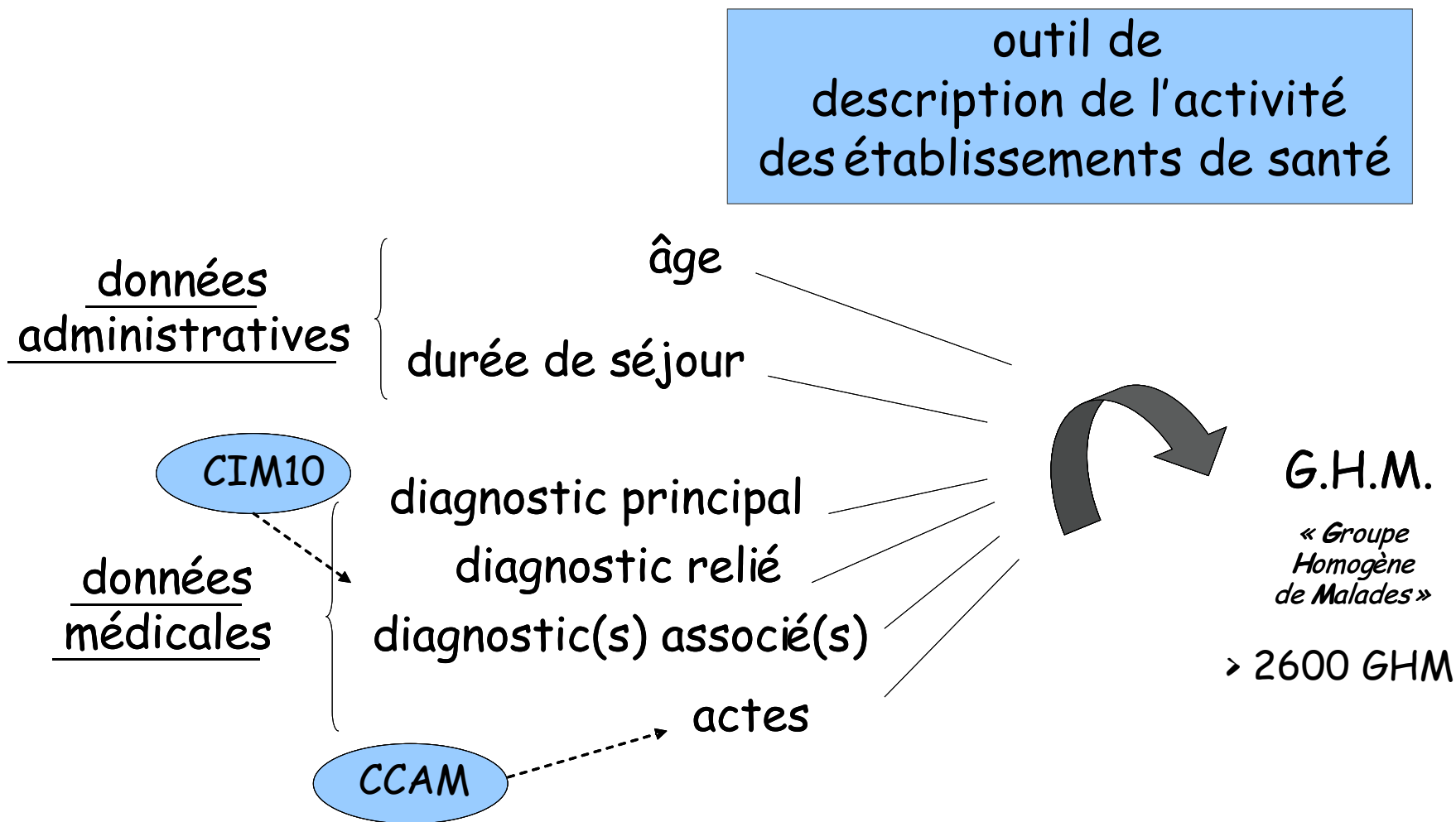
👉 Questions à se poser

- Contexte, justification, objectifs, méthode ...
- Réflexion associant les équipes médicales et méthodologiques lors des phases d'élaboration, de mise en œuvre, d'exploitation et d'analyse des données du projet

➤ Limites en contexte hospitalier

- 👉 Point de vue qui peut se limiter au contexte hospitalier
- 👉 Cohérence et qualité des données (data-management)
- 👉 Exploitation et analyse des données *ex post*

PMSI (1)



Base PMSI et tarifs hospitaliers (T2A)

- Technologies de santé et stratégies innovantes: outils de pilotage de la budgétisation hospitalière
- Calculer et comparer les coûts des séjours hospitaliers
 - Point de vue du payeur (AM)
- Disposer toujours d'un résultat !

Limites en contexte hospitalier

- Qualité et hétérogénéité des données, analyse par séjour...
- Construction de la fonction groupage et de l'échelle de tarifs se « marient assez difficilement » avec les innovations technologiques et médicales (année N-2)

BDD de l'Assurance Maladie (1)

Intérêt majeur

- Données hospitalières et extrahospitalières
- Recul (10 ans SNIIRAM, 20 ans EGB)
- Aider à répondre utilement à des questions portant sur des stratégies de prises en charge innovantes
- Evaluation médico-économique comparative et prospective → BDD *ad hoc* Assurance Maladie
 - Rapprochement des données de l'étude et des consommations de soins

BDD de l'Assurance Maladie (2)

Limites en contexte hospitalier

- ▶ Dissocier les consommations propres à la pathologie ou la technologie de santé étudiée du reste
- ▶ Bases rétrospectives (SNIIRAM, EGB) → Possibilités d'analyse comparative plus limitées
- ▶ BDD *ad hoc* Assurance Maladie
 - ▶ Délai de conservation ≈ 2 ans
 - ▶ Collaboration *ex ante* fondée sur des « relations de confiance »

Modélisation (1)

Modélisation dans les évaluations économiques

- Outils développés pour analyser les décisions collectives dans le domaine de la santé
- Quantifier des risques, de l'efficacité, des utilités, des bénéfices et des coûts

Différents types de modèles

- Modèle d'analyse de décision
- Modèles d'extrapolation
- Modèles épidémiologiques
- Modèles Markoviens ...

Modélisation (2)

Intérêts de la modélisation dans les évaluations économiques

- Méthodes de choix permettant d'étudier des dynamiques complexes
- Simuler l'impact de l'introduction d'une technologie de santé
- Pallier à l'insuffisance de données
- Calcul fin des coûts des stratégies de prise en charge → aider au suivi économique des pathologies
- Prendre en compte l'incertitude (analyses de sensibilité)

Modélisation (3)

☛ Limites en contexte hospitalier

- ☛ Propres à chaque modèle
- ☛ Faisabilité et la capacité à construire et exploiter ces modèles
- ☛ Outils majoritairement construits et mis en œuvre dans des hôpitaux à vocation universitaire
 - ☛ Equipes disposant d'un haut niveau d'expertise
 - ☛ Cadre académique (structures universitaires et de recherche)

🏹 Outils méthodologiques et moyens techniques

- 🏹 Construire des études dont l'objectif est d'analyser les conséquences médicales et économiques de technologies de santé innovantes
- 🏹 Apporter des réponses utiles aux questions posées

Néanmoins ...

Ce qui compte ne peut pas toujours être
compté, et ce qui peut être compté ne
compte pas forcément

Albert Einstein