

L'analyse coût-efficacité

Qu'est-ce qu'une analyse coût-efficacité (ACE) ?

L'ACE est un type d'évaluation médico-économique fréquemment utilisé (cf Fiche d'économie de la santé N°1) pour **analyser de façon comparative les coûts et l'efficacité de deux stratégies de santé alternatives** dont l'une est souvent une nouvelle stratégie (nouveau mode de prise en charge, nouveau médicament ou dispositif médical...) et l'autre la stratégie de référence. Les deux stratégies peuvent être très différentes, mais doivent être utilisées dans la même indication et évaluables par un critère d'efficacité commun.

L'objectif est d'étudier la contribution à l'efficience dans l'utilisation des ressources de la nouvelle stratégie par rapport à la stratégie de référence. Le critère de jugement principal est donc médico-économique (cf. point 6).

Quelle différence entre efficacité et efficience ?

Une stratégie est efficace lorsqu'elle permet d'atteindre des résultats de santé correspondant aux objectifs fixés a priori. Une stratégie est efficiente lorsqu'elle permet d'atteindre l'objectif aux moindres coûts ou, pour un coût donné, d'obtenir le maximum d'efficacité.

Comment faire une ACE ? (Cf. exemple en fin de page 2)

1. Identifier la stratégie innovante

Il s'agit d'une stratégie dont l'efficacité clinique est de préférence déjà démontrée par des études de bonne qualité et dont on souhaite qu'elle remplace la stratégie de référence actuelle pour l'indication considérée.

2. Identifier la situation de référence

Elle correspond à la stratégie validée de façon consensuelle dans la même indication que la stratégie innovante. Il peut aussi s'agir de « ne rien faire » si c'est le cas actuellement.

3. Choisir le critère d'efficacité

Le critère d'efficacité est un indicateur synthétique (il doit s'exprimer sous forme d'une seule mesure) **commun aux deux stratégies** étudiées. **Son choix doit être rigoureux** puisqu'il est unique et que de nombreuses options sont possibles, et justifié autant que possible par des données de la littérature.

En théorie, il peut s'agir de la valeur réelle d'un paramètre pharmacologique, biologique ou clinique ou de sa variation (ex : TA, densité osseuse, pourcentage de réduction d'IMC), d'une mesure de morbidité/mortalité ou d'un critère composite (ex : absence de plusieurs complications).

Il est important de s'interroger sur plusieurs points :

- S'agit-il d'un **critère d'efficacité intermédiaire** (ex : pression intraoculaire) ou d'un **critère d'efficacité final** (ex : taux de décès, espérance de vie) ? Ce dernier permet de comparer différentes pathologies entre elles mais il est plus difficile à obtenir et ne correspond pas forcément aux mesures d'efficacité cliniques. Le Gold Standard correspond au nombre d'**années de vie gagnées (Life-Years Gained ou LYG)** mais, on peut retenir une mesure d'efficacité intermédiaire et construire un modèle épidémiologique permettant de la relier à une mesure d'efficacité finale.

- S'agit-il d'un **critère d'efficacité individuel** (ex : glycémie du patient) ou d'un **critère d'efficacité collectif** (ex : nombre d'événements indésirables évités dans la population) ?

- S'agit-il d'un **critère d'efficacité théorique « efficacy »** (mesuré en situation expérimentale par des essais cliniques) ou d'un **critère d'efficacité pratique « effectiveness »** (mesuré en environnement réel par des études observationnelles) ? Dans l'ACE, l'**effectiveness** est privilégiée car on cherche à définir l'impact des stratégies en vie réelle (patients, dosages et observance variables).

Selon la HAS, le critère d'efficacité à privilégier est la **durée de vie calculée sur la mortalité toutes causes**. En cas d'impossibilité (données indisponibles, trop chronophage, équivalence de ce critère pour les deux stratégies...), un autre critère d'efficacité, de préférence **prédictif de la durée de vie**, est à privilégier ; le choix devant être argumenté. Il est aussi préférable de choisir un critère d'efficacité et non pas un critère qui se rapporte aux coûts (ex : nombre de ré-hospitalisations évitées).

4. Evaluer les coûts

La notion de coût n'existe pas dans l'absolu mais elle dépend de plusieurs éléments que le protocole de recherche médico-économique doit préciser :

- **Point de vue retenu pour l'étude (perspective) :** C'est la réponse à la question : « les coûts pour qui ? ». Le plus complet, **perspective collective** ou « **point de vue sociétal** », recommandé par la HAS, tient compte de tous les acteurs concernés par les deux stratégies en France.

- **Horizon temporel :** C'est la **durée d'étude sur laquelle les données sont recueillies**. Elle est **identique** pour les 2 stratégies, à la fois **pour les coûts** (recueillis pendant tout l'horizon temporel) **et pour l'efficacité** (évaluée en début et fin d'horizon temporel). Une modélisation (ex : Markov) peut être utilisée pour étendre l'horizon temporel au-delà de la période de recueil.

Attention ! L'horizon temporel ne se limite pas à la période de réalisation de la stratégie mais correspond à la période jusqu'à l'évaluation du critère d'efficacité (ex : 3 mois si le critère d'efficacité est le taux de complications à 3 mois).

L'évaluation des coûts se fait en 3 étapes :

- 1/ Recueil des quantités consommées
- 2/ Valorisation des unités consommées
- 3/ Calcul des coûts totaux

- **Recueil des unités consommées :** Il s'agit de **compter**, en prospectif (ou en rétrospectif), **le nombre d'unités consommées** (médicaments, hospitalisation, transports...) **pour la mise en œuvre de chacune des stratégies étudiées sur l'horizon temporel choisi**. La précision du recueil dépend de l'impact des stratégies étudiées sur la consommation de ressources, du point de vue de l'étude, des sources de données disponibles et du temps consacré au recueil.

- **Valorisation des unités consommées :** Cette étape consiste à **appliquer une valeur monétaire à chaque unité consommée**. Par une multiplication du nombre et de la

valeur monétaire de chaque unité, on obtient le coût global de chaque stratégie.

Astuce ! Il n'est pas utile de dénombrer et de valoriser les unités qui sont identiquement consommées dans les deux stratégies puisqu'elles s'annuleront dans la différence « Δ Coûts » !

• **Actualisation des coûts et de l'efficacité** : Lorsque l'ACE dure plusieurs années, il est nécessaire d'**actualiser les coûts et l'efficacité futurs** pour les ramener à leur valeur présente. Le taux de référence pour l'actualisation est défini par la HAS à 4%.

5. Calculer le nombre de sujets nécessaires

Le calcul doit se faire à partir du critère médico-économique et par l'une des méthodes publiées ; il n'existe cependant pas encore de consensus sur la méthode.

6. Analyser et présenter les résultats

Le critère principal d'une ACE est l'ICER.

• **ICER (Incremental Cost-Effectiveness Ratio)** : Différence de coûts entre les 2 stratégies sur la différence d'efficacité moyenne entre les 2 stratégies.

$$\text{ICER} = \Delta \text{Coûts} / \Delta \text{Efficacité}$$

L'ICER permet d'interpréter directement l'intérêt clinique et économique de la nouvelle stratégie par rapport à la stratégie de référence en donnant le **coût correspondant au gain d'une unité d'efficacité supplémentaire** (ex : coût par année de vie gagnée). On présente autant d'ICER qu'il y a de stratégies innovantes étudiées.

La présentation des résultats peut se faire de différentes manières :

• **Plan coût-efficacité** (cf. fiche EME n°1) : Le plan coût-efficacité de l'ICER permet de représenter visuellement la nouvelle stratégie par rapport à la stratégie de référence.

Exemple d'ACE : N. Mittmann et al. *Prospective Cost-Effectiveness Analysis of Cetuximab in Metastatic Colorectal Cancer: Evaluation of National Cancer Institute of Canada Clinical Trials Group CO.17 Trial*. Journal of the National Cancer Institute. 2009. Vol. 101 Issue 17. P. 1182-1192.

Population : CCR métastatique EGFR+ réfractaire à la chimiothérapie
Stratégies comparées : cetuximab + soins de support (innovation) VS Soins de support seuls (référence)

Critère d'efficacité : gain moyen de survie

Point de vue : Payeur (Gouvernement canadien)

Horizon temporel : 18-19 mois (durée de l'essai clinique)

Recueil des unités consommées : Coûts directs médicaux (médicaments, consultations externes, hospitalisations et chirurgies, biologie et transfusions) non communs aux 2 stratégies (ex : radiothérapie palliative et recherche d'une mutation du gène KRAS sont exclues).

Résultats : La survie et les coûts étaient supérieurs dans le groupe innovation (+0,12 ans ; +15 903€ par patient). **ICER = 15 903€/0,12 = 132 525€/LYG**

→ « Pour gagner 1 année de vie, il faut dépenser 132 525€ en plus dans la stratégie avec le cetuximab. »

Intervalle de confiance de l'ICER (schéma 1) : [83 579€ ; 432 906€], obtenu par bootstrap de 1000 itérations (1000 points représentés).

Analyse de sensibilité : Menée sur toutes les variables (efficacité et coût). Seuls le coût du cetuximab et la survie des patients influençaient les résultats (impact faible sur l'ICER).

Courbe d'acceptabilité (schéma 2) : La probabilité que la stratégie innovante soit coût-efficace est de 0% pour une valeur seuil acceptée par les autorités à 33 173€/LYG et de 43,4% pour une valeur seuil acceptée à 132 693€/LYG.

• **Intervalle de confiance de l'ICER** : Il permet de tenir compte du fait que les données sont recueillies au niveau individuel et que la généralisation des résultats présente une incertitude. Sa présentation est variable : boîte de confiance, ellipse de confiance, nuage de point obtenu par bootstrap non paramétrique (schéma 1)...

• **Courbe d'acceptabilité** (schéma 2) : Elle est construite à partir de l'intervalle de confiance de l'ICER et obtenue par bootstrap. Elle représente la probabilité qu'une stratégie soit coût-efficace en fonction des sommes monétaires maximales acceptées par les décideurs (valeurs seuils) pour gagner une unité d'efficacité.

• **Analyse de sensibilité** : Elle permet de tenir compte de l'incertitude des paramètres étudiés en faisant varier leurs valeurs pour évaluer la robustesse des résultats. Elle peut être simple (univariée ou multivariée), rechercher la valeur seuil du coût de la nouvelle stratégie modifiant les résultats, étudier les scénarios extrêmes (scénario de base, optimiste, pessimiste), ou encore être probabiliste.

• **Analyse d'impact budgétaire** : Une analyse des sources de financement des stratégies étudiées et de l'impact de la généralisation de la nouvelle stratégie sur les dépenses de chaque financeur est souhaitée par la HAS.

Avantages et limites des ACE

Les ACE, facilement compréhensibles par le décideur, permettent d'ajouter une dimension médico-économique aux études cliniques dont les mesures d'efficacité sont objectives, pertinentes et disponibles.

Cependant, l'évaluation des stratégies est limitée par le fait de ne pouvoir considérer qu'un seul critère d'efficacité dans l'ICER et par l'absence de prise en compte de l'impact des stratégies sur la qualité de vie des patients. Ainsi, lorsque la nouvelle stratégie aura surtout pour effet d'améliorer la **qualité de vie** des patients, on préférera une **analyse coût-utilité** (cf. fiche EME n°3).

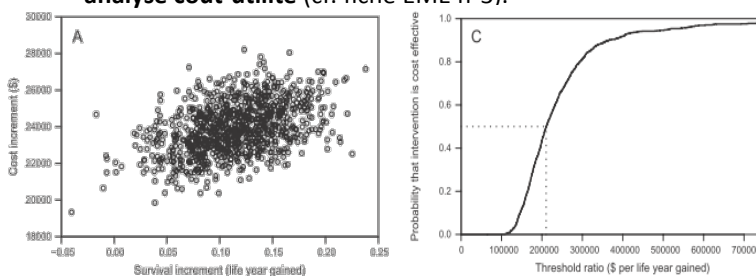


Schéma 1

Schéma 2

Cellule Innovation (Cécile Pierrès), Département partenariats et innovation (A.Royer), Direction de la recherche (S.Delage)

La cellule Innovation est une cellule opérationnelle de soutien et d'accompagnement des équipes médicales qui souhaitent concrétiser et porter des projets d'évaluation d'innovations. Elle facilite l'élaboration de protocoles médico-économiques, assure une veille technologique et le suivi des projets médico-économiques au CHU de Nantes.

Vos contacts :

- Cécile PIERRES - Pharmacien – Responsable de la Cellule innovation - cecile.pierres@chu-nantes.fr - 82.839
- Cécile DERT - Chef de projet - cecile.dert@chu-nantes.fr - 82.852
- Fabienne PERCOT - Chef de projet junior - fabienne.percot@chu-nantes.fr - 82.895
- Philippe TESSIER - Economiste de la santé senior - philippe.tessier@univ-nantes.fr - 02 53 48 46 03
- Valéry-Pierre RICHE - Economiste de la santé junior - valerypierre.riche@chu-nantes.fr - 82.891
- Solène HOUDARD - Interne de santé publique - solene.houdard@chu-nantes.fr - 87.488