

Le cycle de l'innovation

Quelle place pour l'évaluation
médico-économique?

INCA- Le 20 novembre 2006

Le cycle de l'innovation en santé

- Quatre phases dans la vie d'une innovation:
 - La phase recherche, dont la finalité est celle de l'élaboration d'un nouveau concept
 - La phase de développement, dont la finalité est celle de la preuve du concept:
 - Faisabilité technique et économique
 - Démonstration d'un rapport bénéfice-risque satisfaisant
 - La phase de diffusion:
 - Appropriation par les utilisateurs (courbe d'apprentissage)
 - La phase de maturité et de déclin

Le contexte

- En matière de santé, ce processus se déroule dans un contexte institutionnel particulier, où les autorités publiques interviennent de façon massive:
 - Elles doivent s'assurer que les innovations développées présentent bien un bon rapport bénéfice-risque:
 - Evaluation clinique
 - En théorie, dans un système d'assurance-maladie universelle, elles doivent s'assurer de l'optimisation de l'emploi des ressources collectives:
 - Evaluation économique
 - Enfin, elles doivent mettre en place les ressources nécessaires à la diffusion de l'innovation.

Le schéma théorique

- En principe, l'évaluation clinique et l'évaluation économique devraient être réalisées AVANT la diffusion de l'innovation.
- C'est le cas dans certains pays pour le médicament, l'accès au remboursement étant conditionné à la fois par le dossier clinique ET par la présentation d'une étude coût-efficacité.

La fonction de l'évaluation économique (1)

- Dans un contexte de contrainte budgétaire, le financeur doit s'assurer qu'il fait la meilleure utilisation possible des ressources collectives qui lui sont confiées.
- En théorie, cela veut dire que la contrainte budgétaire est d'abord déterminée en fonction du rendement des dépenses de soins de santé par rapport à d'autres emplois collectifs possibles: éducation, sécurité, justice, etc.
- Ensuite, à l'intérieur du budget santé, le payeur s'assure que la combinaison des ressources disponibles permet d'atteindre la production de santé plus élevée possible.

La fonction de l'évaluation économique (2)

- Toute innovation remet donc en cause la situation acquise et l'évaluation économique en santé permet donc de procéder à des réallocations des ressources.
- Le plus souvent, une innovation va se traduire par plus de dépenses pour plus de santé: le payeur doit donc décider comment il finance ce surcroît de dépenses dans sa contrainte budgétaire et éventuellement recommander de ne plus financer d'autres services moins « rentables » collectivement.

La réalité française (1)

- En France, l'évaluation économique n'est pas un préalable à la diffusion des innovations.
- Ce qui compte, c'est l'évaluation clinique seule.
- Mais reste quand même la question du financement de la diffusion, *de telle façon que celle-ci se fasse de façon efficiente.*
- De ce fait, l'évaluation économique garde sa pertinence, mais elle intervient *ex post*.
- Ceci n'est pas sans poser des problèmes méthodologiques qui seront abordés aujourd'hui.

La réalité française (2)

- Les exigences en matière d'évaluation clinique diffèrent selon la nature des innovations.
- La notion de « validation » d'une innovation n'est pas la même pour un médicament, une innovation chirurgicale, un dispositif médical innovant, une innovation en imagerie ou en procédure diagnostique (tests biologiques).

Qu'est-ce qu'une innovation « validée »?

- Pour le médicament, pas de problème:
 - L'essai randomisé contrôlé est le « gold standard », avec des exceptions pour la cancérologie.
- Pour les autres innovations, la diffusion se fait sans l'utilisation du « gold standard »: les conventions de validation n'exigent pas une analyse comparative expérimentale (contrôlée) de l'innovation par rapport aux traitements existants avec le même niveau de preuve.

Quelques exemples

- La chirurgie par voie laparoscopique de la vésicule biliaire s'est diffusée avant toute évaluation par essai clinique randomisé;
- Le premier essai clinique randomisé sur la CHIP a été réalisé plus de 10 ans après la mise au point de la technique;
- La RCMI a été étendue aux cancers ORL sans essai randomisé, il n'y avait pas non plus d'ECR pour son application à la prostate.
- Etc.

Quelles conséquences pour l'évaluation économique?

- *A minima*, l'objectif de l'évaluation économique est de mesurer le différentiel de coût induit par l'innovation par rapport aux traitements antérieurs.
- Sans comparaison contrôlée, cette mesure est sujette à des biais majeurs de sélection, que doivent traiter de façon convaincante les protocoles présentés au STIC:
 - Problème de l'utilisation de données rétrospectives.

Quid des études coût-efficacité?

- On pourrait penser que puisque l'innovation a été validée, il n'y a plus besoin du critère de coût-efficacité, il suffit de financer l'innovation.
- Mais celle-ci est particulièrement pertinente pour étudier les conditions *d'une diffusion efficiente* de cette innovation:
 - Comment celle-ci se positionne-t-elle par rapport aux traitements existants?
 - Quelles sont les nouvelles stratégies optimales de traitement?

Exemples

- Quelle est l'utilisation optimale de la TEP en combinaison avec les autres actes d'imagerie?
- Quelle est la stratégie optimale d'utilisation des tests d'identification de la réponse précoce des patients aux nouveaux traitements médicamenteux?

Conséquences méthodologiques

- Dans ces cas, ne pas disposer d'études comparatives contrôlées expose à des biais de sélection *à la fois sur les effets et sur les coûts.*
- Les techniques de modélisation permettent de traiter *en partie* ces biais, mais la meilleure méthode reste la comparaison directe contrôlée:
 - Au risque de ne pas pouvoir publier les travaux réalisés!

Objection, Votre Honneur!

- « L'essai clinique randomisé ne permet pas d'inférer de l'efficacité et du coût dans la vraie vie »
- *Mais les études observationnelles ouvertes sans comparatif ou peu contrôlées ne permettent pas de mesurer l'efficacité comparative dans la vraie vie non plus!*

Objection, Votre Honneur!

- « Pour évaluer complètement, encore faut-il que la pratique de l'innovation ait été stabilisée par les utilisateurs ».
- *Objection recevable qui justifie que les STIC puissent financer la phase de mise au point de l'innovation et qu'il soit dans ces conditions difficile de procéder à une évaluation clinique et économique complète. Mais cela renvoie à des innovations dont le développement n'est pas encore complètement terminé et qui ne sont pas complètement validées.*

PHRC ou STIC?

- Quelles conséquences sur la place relative du PHRC et des STIC?
- La doctrine actuelle est que les PHRC financent de la recherche clinique, donc du développement d'innovations. Les PHRC participent à la validation clinique des innovations.
- Les STIC répondent à un besoin de financement d'innovations validées: ce financement permet l'accès à l'innovation, et vient compléter le processus de développement en permettant l'apprentissage de l'innovation.

Quelle place pour l'évaluation économique? (1)

- Cette doctrine fait cependant l'impasse sur plusieurs problèmes:
 - Les programmes ne couvrent pas toutes les innovations (pas de recouvrement entre les thèmes PHRC et les thèmes STIC).
 - Les exigences de validation clinique ne sont pas les mêmes pour tous les types d'innovation. En particulier, des innovations dites « validées » ne sont pas nécessairement stabilisées dans leur développement.
 - La validation économique n'est pas obligatoire dans le cadre d'un PHRC (pas de validation économique *ex ante*).

Quelle place pour l'évaluation économique? (2)

- Sur leur volet économique, les STIC doivent donc répondre à deux besoins:
 - Financer l'accès à l'innovation et la fin du développement de celle-ci (phase d'apprentissage)
 - Définir les conditions optimales de diffusion de l'innovation par la réalisation d'études coût-efficacité *ex post*.
- Pour répondre à ce deuxième besoin, l'évaluation économique doit compléter la « validation » de l'innovation avec des exigences méthodologiques acceptables en termes de niveau de preuve. Ces exigences sont de même nature que celles requises en recherche clinique.