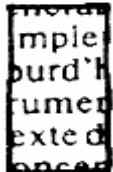


Design des études dans le domaine thérapeutique



M Woronoff-Lemsi



Question posée



• Objet de l'analyse

• Innovation thérapeutique



• Stratégie thérapeutique, ...

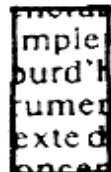


• Le choix du comparateur

• Temps de l'analyse

• Phase de développement

• Parallèle aux essais cliniques : prospectif



• Après le développement

• Études randomisées : prospectif

• Études pragmatiques : rétrospectif





Question économique posée



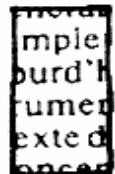
◆ Coût de la stratégie thérapeutique



◆ Analyse comparative par rapport à la(les) stratégies de référence



- ◆ Coût/efficacité
- ◆ Coût/utilité : la préférence du patient



◆ Impact sur

- ◆ L'organisation des soins
- ◆ Les filières de soins (hospitalisation *versus* ambulatoire)





Critères d'efficacité



◆ Critères finaux... = idéal (*efficacy vs effectiveness*)

- Années de vie gagnées / cas évités



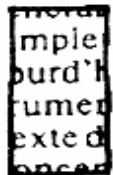
◆ Essais cliniques = critères intermédiaires

- Forte validité interne (effet traitement isolé)
- Faible validité externe (faible reflet des pratiques quotidiennes)
- Néanmoins, majorité des études publiées



◆ Etudes pharmaco-épidémiologiques/ Observationnelles = critères finaux

- Disponibilité limitée des données
- Registres



◆ Agrégation des données

- Modélisation





La représentativité des coûts



• Typologie des coûts

- Perspective



- Données disponibles

- Hôpital/Hôpitaux

- Financement = recettes

- T2A / GHS vs PMSI / ENC

- Engagement = dépenses

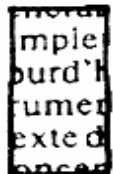
- Prix de revient



- Ambulatoire

- Bases de l'Assurance maladie (2 ans cumul mobile)

- Études *ad hoc*



• Prise en compte du temps



Design



• Prospectif

- randomisé



- En parallèle des essais cliniques

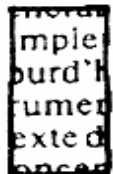
- Études ad hoc



- Approches observationnelles

- Avant/ après (ici/ailleurs)

• Rétrospectif



- Pragmatique

- Études *ad hoc*

- Approche observationnelle



• Modélisation



Interprétation des résultats



Coûts (+)

Plus chère, moins efficace

Plus chère, plus efficace



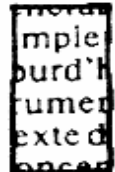
↘ Stratégie dominée

Combien est-on prêt à payer en plus pour avoir plus d'efficacité ?



(-)

Résultat médical : efficacité, utilité (+)



Moins chère, moins efficace

Moins chère, plus efficace

Combien est-on prêt à perdre en efficacité pour réduire les coûts ?

↘ Stratégie dominante



(-)



Exemples



• Études pragmatiques



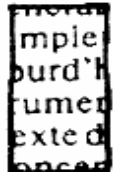
• Nouvelles thérapeutiques

- Paclitaxel / Cancer de l'ovaire (Pharmacoeconomic 2004)



• Prévention des toxicités

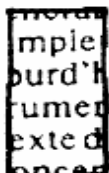
- Cardioprotection / LMNH (Ann Oncol 2003, & Clin Drug Invest, 2005)
- Epo / Cancer du sein (Support Care Cancer 2006)



• Modalités de traitement

- Schéma de Gramont simplifié / Cancer colorectal (Eur J health Econ 2006)





Analyse coût/efficacité de Paclitaxel en 1ère ligne du cancer avancé de l'ovaire



Cancer ovaire / paclitaxel



• Étude observationnelle, rétrospective & pragmatique



• Analyse coût/efficacité



• Comparative

• Cyclophosphamide *versus* paclitaxel

• Efficacité

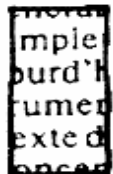
• OS = + 10,8 mois

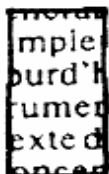
• QALY (Q-TWiST) = + 9,3 mois

• Ratio

• Coût par année de vie gagnée = \$US 11 907

• Coût par QALY gagné = \$US 13 827





Analyse coût/efficacité de la cardioprotection dans les lymphomes non Hodgkiniens



LMNH / Cardioprotection



💧 Cardiotoxicité du CHOP

🔥 Pas de données dans les LMNH



💧 Deux phases :

🔥 1)- production des données nécessaires

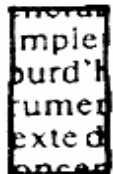
- Etude épidémiologique sur population traitée sur 5 ans

- 2 facteurs de risque de cardiotoxicité

 - 💧 âge : < ou > à 50 ans

 - 💧 dose cumulée de Doxo : < ou > 200mg/m²

- Résultats : 20% événement cardiaque dans l'année





LMNH / Cardioprotection



Deux phases :



2)- Analyse économique

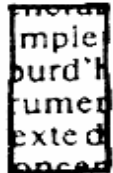
- Recours à la modélisation

- ◆ Agrégation de données disponibles



- Critère final :

- ◆ événement évité (CHF) et années de vie sauvées (DEALE)



- Stratégies comparées

- ◆ Pas de cardioprotection

Versus

- ◆ Cardioprotection

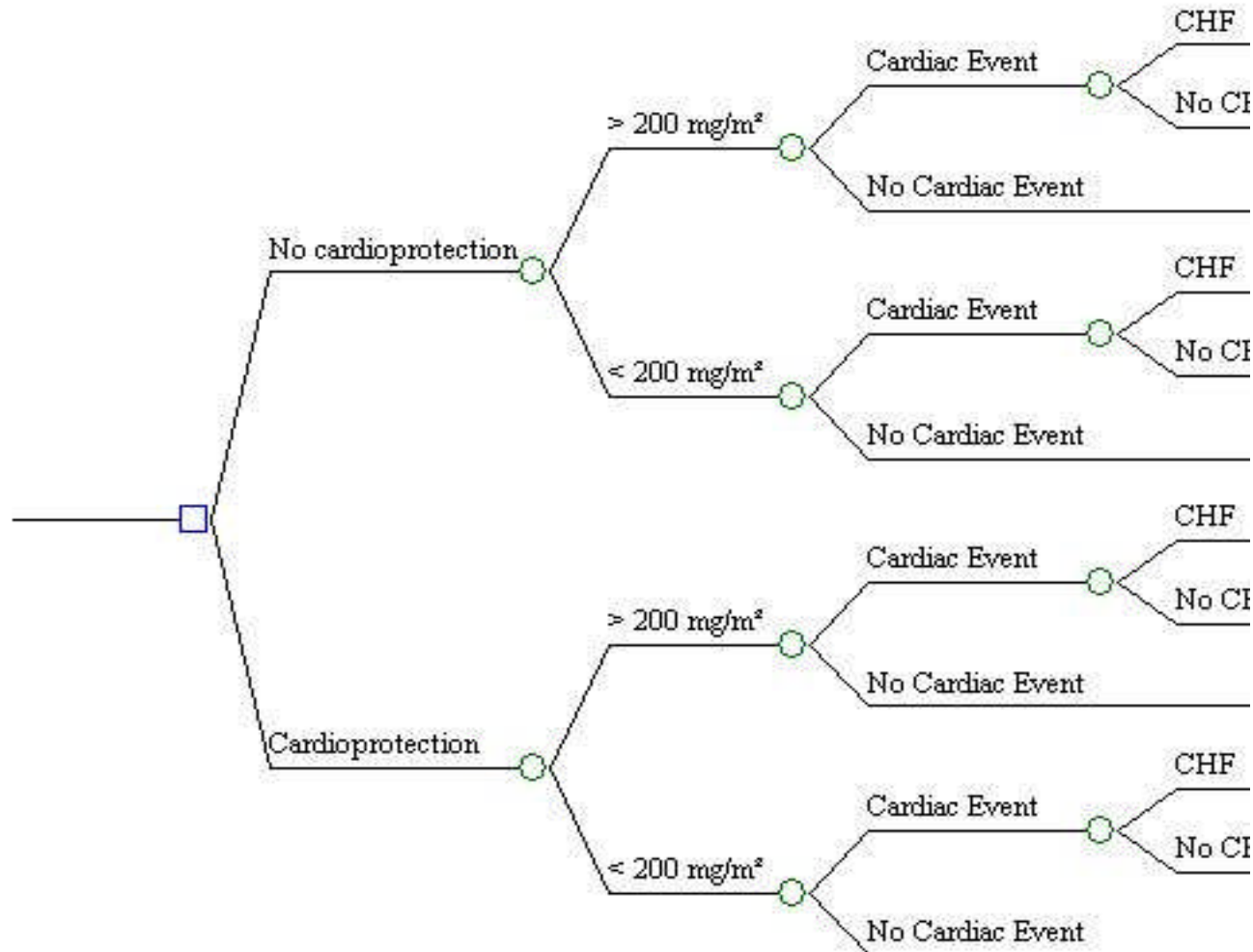
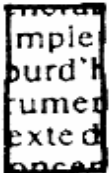
- ◆ Dexrazoxane

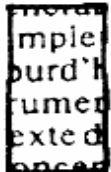
- ◆ Doxo liposomale





Cardioprotection





Profil médico-économique du recours à l'érythropoïétine dans la chimiothérapie adjuvante du cancer du sein



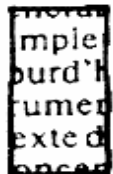
Epo/ Cancer du sein



- Évaluation médico-économique d'une **stratégie de prise en charge de l'anémie avec possible recours à l'EPO (2002-2004) versus stratégie sans EPO (1999-2001)**



- Avant/après
- Analyse **coût-efficacité**



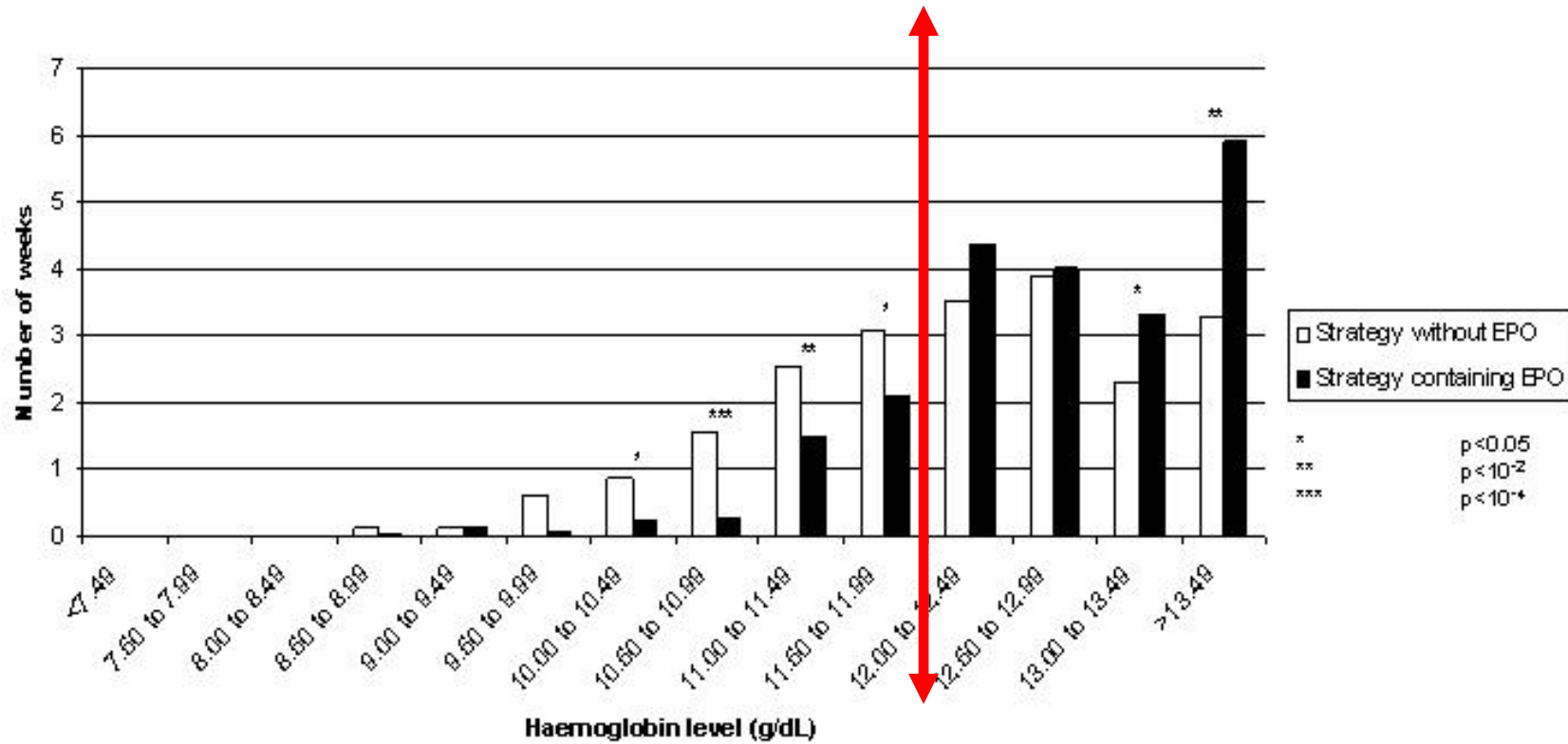
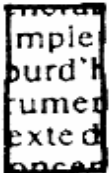
- Efficacité
 - temps pondéré par la qualité de vie, modélisé à partir des taux d'Hb sur une période fixe d'étude de 22 semaines

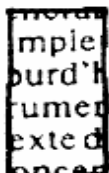


- Coût direct & approche des coûts indirects (arrêt de travail)



Epo/ Cancer du sein





Analyse de minimisation des coûts de la simplification d'administration des protocoles de 1ère ligne dans le cancer colorectal métastatique



Cancer colorectal métastatique



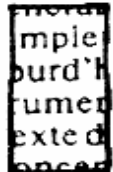
- Analyse de minimisation des coûts
- Comparaison de deux schémas d'administration du 5-FUFOU



- Standard
- Simplifié



- Associé à
 - L'Oxaliplatine FOLFOX
 - Ou l'irinotécan FOLFIRI



- Rétrospectif, cohorte pragmatique
- Perspective : Assurance maladie
- Bénéfices





Conclusion



• La question posée

• Les données disponibles

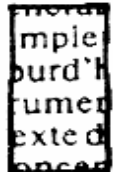


• Les moyens disponibles



• Définissent le protocole à mettre en œuvre

• Pas d'idéal



• Du pragmatisme

• Une liaison permanente avec la pertinence clinique

