

Le projet de l'OCDE sur la santé

Technologies de la santé et prise de décision



Le projet de l'OCDE sur la santé

Technologies de la santé et prise de décision



ORGANISATION DE COOPÉRATION ET DE DÉVELOPPEMENT ÉCONOMIQUES

ORGANISATION DE COOPÉRATION ET DE DÉVELOPPEMENT ÉCONOMIQUES

L'OCDE est un forum unique en son genre où les gouvernements de 30 démocraties œuvrent ensemble pour relever les défis économiques, sociaux et environnementaux, que pose la mondialisation. L'OCDE est aussi à l'avant-garde des efforts entrepris pour comprendre les évolutions du monde actuel et les préoccupations qu'elles font naître. Elle aide les gouvernements à faire face à des situations nouvelles en examinant des thèmes tels que le gouvernement d'entreprise, l'économie de l'information et les défis posés par le vieillissement de la population. L'Organisation offre aux gouvernements un cadre leur permettant de comparer leurs expériences en matière de politiques, de chercher des réponses à des problèmes communs, d'identifier les bonnes pratiques et de travailler à la coordination des politiques nationales et internationales.

Les pays membres de l'OCDE sont : l'Allemagne, l'Australie, l'Autriche, la Belgique, le Canada, la Corée, le Danemark, l'Espagne, les États-Unis, la Finlande, la France, la Grèce, la Hongrie, l'Irlande, l'Islande, l'Italie, le Japon, le Luxembourg, le Mexique, la Norvège, la Nouvelle-Zélande, les Pays-Bas, la Pologne, le Portugal, la République slovaque, la République tchèque, le Royaume-Uni, la Suède, la Suisse et la Turquie. La Commission des Communautés européennes participe aux travaux de l'OCDE.

Les Éditions OCDE assurent une large diffusion aux travaux de l'Organisation. Ces derniers comprennent les résultats de l'activité de collecte de statistiques, les travaux de recherche menés sur des questions économiques, sociales et environnementales, ainsi que les conventions, les principes directeurs et les modèles développés par les pays membres.

Cet ouvrage est publié sous la responsabilité du Secrétaire général de l'OCDE. Les opinions et les interprétations exprimées ne reflètent pas nécessairement les vues de l'OCDE ou des gouvernements de ses pays membres.

Also available in English under the title:

The OECD Health Project

Health Technologies and Decision Making

© OCDE 2005

Toute reproduction, copie, transmission ou traduction de cette publication doit faire l'objet d'une autorisation écrite. Les demandes doivent être adressées aux Éditions OCDE rights@oecd.org ou par fax (33 1) 45 24 13 91. Les demandes d'autorisation de photocopie partielle doivent être adressées directement au Centre français d'exploitation du droit de copie, 20, rue des Grands-Augustins, 75006 Paris, France (contact@cfcopies.com).

Avant-propos

Le Projet de l'OCDE sur la santé a été lancé en 2001 dans le but de répondre aux principaux défis qu'ont à relever les différents pays pour améliorer les performances de leurs systèmes nationaux de santé. En effet, soucieux de véritablement progresser et conscients d'importantes lacunes dans les informations sur lesquelles se fonder pour opérer des changements, les pays ont décidé de soutenir un effort international sur ce sujet. Ce projet, d'une durée de trois ans, a donné aux pays membres de nombreuses occasions de participer à des études centrées sur des problèmes urgents des politiques de santé. En même temps, ils ont pu bénéficier des informations et des échanges qui se sont succédé à l'occasion de la conférence inaugurale d'Ottawa (Canada) en novembre 2001, puis de la vingtaine de réunions de responsables et d'experts qui se sont tenues ultérieurement à Paris, à La Haye et à New York.

Améliorer la performance des systèmes de santé nécessite de s'attaquer à des questions difficiles. Comment faire en sorte que les dépenses de santé soient supportables aujourd'hui comme demain ? Que faire pour améliorer la qualité et la sécurité des soins et faire en sorte que les systèmes de santé répondent aux besoins des patients et des autres acteurs ? Comment assurer un accès équitable et en temps voulu aux soins nécessaires ? Enfin, la question peut-être la plus difficile de toutes : que faire pour optimiser l'utilisation des ressources ?

Le Projet sur la santé a permis aux responsables des pays membres de tirer les enseignements de leurs expériences respectives, de faire appel aux meilleures compétences aussi bien des pays que du Secrétariat de l'OCDE et d'ouvrir de nouvelles pistes pour l'amélioration des performances des systèmes de santé. Une dizaine d'études ont été menées sur de grandes questions – effectifs de personnel de santé, technologies médicales nouvelles et émergentes, soins de longue durée, assurance-maladie privée, maîtrise des coûts de santé, équité d'accès aux soins pour toutes les catégories de revenus, délais d'attente pour la chirurgie non urgente – qui sont au cœur des préoccupations des pays membres de l'OCDE. Il n'était pas possible, dans le temps imparti pour le projet, d'aborder toutes les questions qui avaient une importance pour les ministères de la Santé, mais celles qui ont été retenues sont celles qui paraissaient les plus urgentes.

Le Projet sur la santé s'est inscrit dans le prolongement des travaux déjà réalisés par l'OCDE dans le domaine des statistiques et des politiques de santé sous l'égide de différents Comités et Groupes de travail. L'approche transversale adoptée a été un facteur important de sa réussite. Au fur et à mesure de l'avancement, les travaux ont été examinés par des experts et des groupes de délégués représentant des angles d'approche très divers. Le projet a bénéficié des avis et de l'aide d'un Groupe ad hoc sur la santé composé de délégués des pays membres, et des compétences de diverses directions de l'OCDE. La Direction de l'emploi, du travail et des affaires sociales en a assuré la coordination. Le Département des affaires économiques, la Direction de la science, de la technologie et de l'industrie, et la Direction des affaires financières et des entreprises ont également collaboré au projet.

Fort de ma propre expérience politique, je sais quelle importance les résultats de ce projet auront pour les responsables au plus haut niveau des États membres. Alors qu'ils font face à des défis importants dans le domaine de la santé, je suis persuadé que tous les gouvernements dans, ou hors de, l'OCDE en tireront partie. Il existe peu de solutions idéales ou toutes faites. Mais le Projet de l'OCDE sur la santé montre que les échanges d'informations et les comparaisons entre pays et à l'intérieur d'un même pays peuvent faire surgir de nouvelles idées et aider les autorités responsables à relever ces défis.

Donald J. Johnston
Secrétaire général de l'OCDE

TABLE DES MATIÈRES

PREFACE	7
SYNTHESE	9
CHAPITRE 1. INTRODUCTION	17
CHAPITRE 2. INNOVATION ET INTEGRATION DES TECHNOLOGIES MEDICALES : TOUR D'HORIZON DES ENJEUX ET DES TRAVAUX SUR CE THEME	29
CHAPITRE 3. LA PRODUCTION DE L'EVALUATION DES TECHNOLOGIES MEDICALES : ANALYSE DE RESULTATS D'ENQUETE	51
CHAPITRE 4. LA PRISE DE DECISION ET SON APPLICATION : UNE ANALYSE DE RESULTATS D'ENQUETE	77
CHAPITRE 5. L'UTILISATION DE L'EVALUATION DES TECHNOLOGIES MEDICALES DANS LE SYSTEME DE SANTE : EXPERIENCES ISSUES DE TROIS PAYS DE L'OCDE	103
CHAPITRE 6. EVALUATION DES SOINS DE SANTE : PROBLEMES POSES PAR LE TRANSFERT	117
CHAPITRE 7. LE PROCESSUS DECISIONNEL EN CONDITIONS D'INCERTITUDE : LE POINT DE VUE D'UN ADMINISTRATEUR CENTRAL	131
CHAPITRE 8. LA DECISION POLITIQUE DANS LE DOMAINE DE LA BIOMEDECINE	143
CHAPITRE 9. CONCLUSIONS	159
ANNEXE 1. PARTICIPANTS AUX REUNIONS D'EXPERTS SUR LES TECHNOLOGIES LIEES A LA SANTE	169
ANNEXE 2. « SAISIR LES OPPORTUNITÉS ET REPONDRE AUX ENJEUX DES TECHNOLOGIES MEDICALES NOUVELLES ET EMERGENTES » : PROGRAMME DE L'ATELIER	171
ANNEXE 3. RESUME DES QUESTIONS DE L'ENQUETE	173

Préface

Ce rapport présente les résultats du projet de l'OCDE sur les technologies de la santé, qui s'intégrait dans le projet sur la santé de l'OCDE, sous la direction du groupe Ad Hoc sur la santé. Le projet et le rapport final ont largement bénéficié du soutien et des commentaires formulés par des experts au cours d'une série de réunions qui se sont tenues entre avril 2002 et mars 2004. Les réunions d'experts étaient présidées par le Dr. Jane Cook, le Dr. Bernie Towler et M. Damian Coburn du Ministère australien de la santé et des soins aux personnes âgées. La liste des participants à ces réunions fait l'objet de l'annexe 1.

Les résultats préliminaires et l'analyse du projet ont été présentés lors d'un atelier qui s'est tenu à La Haye, aux Pays-Bas, les 27 et 28 octobre 2003. L'OCDE tient à remercier tous les participants de l'atelier pour leurs contributions (dont on trouvera le programme dans l'annexe 2), ainsi que les gouvernements des Pays-Bas et d'Australie pour leur soutien par un parrainage conjoint. L'OCDE est particulièrement reconnaissant à M. Jeroen Hulleman et ses collègues du Ministère néerlandais de la santé, du bien être et des sports pour leur participation à l'organisation de l'atelier.

M. Kees van Gool et le Dr. Iain Gillespie du Secrétariat de l'OCDE ont contribué aux chapitres 1, 3 et 4 de cet ouvrage. Le chapitre 2 résume deux rapports préliminaires publiés par des consultants dans le cadre de ce projet. Les chapitres 5 à 8 ont été rédigés par des auteurs et des consultants ressortissants de pays emblématiques, et leurs noms apparaissent en tête de ces chapitres. Le chapitre 9 est tiré du rapport préparé par le Professeur John Gabbay à titre de rapporteur de l'atelier.

Enfin, les auteurs souhaitent exprimer leur reconnaissances à M. Dean Huisman pour sa contribution à la conception de l'enquête, au Dr. Philip Haywood pour son aide dans les travaux de recherches, au Dr. Gillian Sykes pour les commentaires préliminaires, à M. Joseph Loux pour la préparation de la publication et à Mme Stella Horsin, Mme Lorna Wilson, Mme Diana Morales et Mme Fabienne Michel pour leur implication dans les tâches de secrétariat.

Ce rapport est publié sous la responsabilité du Secrétaire général de l'OCDE. Les opinions qui y sont exprimées sont propres aux auteurs et ne reflètent pas nécessairement celles de l'OCDE ou de ses gouvernements membres.

SYNTHESE

Ces dernières décennies, l'introduction de nouvelles technologies a considérablement amélioré la santé des citoyens des pays membres de l'OCDE. Pour autant, l'utilisation de ces nouvelles technologies, ainsi que d'autres plus anciennes, est extrêmement variable selon les pays de l'Organisation, ce qui suggère que les technologies les plus efficaces et les plus efficaces ne sont pas toujours celles qui sont le plus fréquemment utilisées. Favoriser l'adoption des technologies médicales efficaces et efficaces demeure un enjeu politique majeur pour de nombreux pays de l'OCDE.

Les travaux auxquels est consacré le présent rapport ont été menés en coopération avec un groupe d'experts issus de pays de l'OCDE. Ils portent sur les mesures qui pourraient être prises pour améliorer l'intégration des technologies efficaces et efficaces dans les systèmes de soins de santé. Les analyses étaient axées sur la production de données probantes, principalement par le biais de l'évaluation des technologies médicales (ETM)¹, et sur l'utilisation de ces données dans la prise de décision. Les modalités de la prise de décision et de la mise en application de ces décisions ont également été étudiées, ainsi que la gamme des instruments d'action utilisés pour les faire entrer dans l'usage.

Les conclusions exposées dans le présent rapport sont le fruit d'une enquête sur les méthodes d'intégration des technologies médicales dans les systèmes de santé, étude qui porte essentiellement sur les questions suivantes :

- Le processus décisionnel aux niveaux national, régional et hospitalier.
- La production de données probantes (en particulier celles de l'ETM) et leur utilisation lors de la prise de décision.
- Les caractéristiques des systèmes de soins de santé qui facilitent ou entravent la mise en application des décisions.

Douze pays membres de l'OCDE² ont participé à cette enquête, à laquelle ont répondu des hauts fonctionnaires, des responsables de l'évaluation des technologies médicales, des administrateurs sanitaires et hospitaliers, des cliniciens et des chercheurs. Des informations comparables ont été recueillies sur des processus de décision réels dans le but de réaliser des études de cas de cinq technologies : la tomographie par émission de positons, le génotypage et le test de la charge virale de l'hépatite C, la télémédecine, le dépistage du cancer de la prostate, et les technologies liées aux accidents vasculaires cérébraux.

-
1. L'ETM a été conçue pour évaluer les retombées plus vastes des technologies médicales, leurs avantages et leurs coûts. Elle comprend généralement trois étapes : *i*) identification des questions, *ii*) collecte systématique de données scientifiques et d'analyse, et *iii*) appréciation des données, incluant des jugements sur la signification des résultats obtenus. Les données et leur appréciation servent ensuite de base au processus décisionnel.
 2. L'Allemagne, l'Australie, l'Autriche, le Canada, l'Espagne, la France, l'Irlande, le Japon, le Mexique, la Norvège, les Pays-Bas et la Suisse.

Le rapport étudie de manière approfondie trois des principaux écueils auxquels sont confrontés les responsables des politiques qui prennent des décisions relatives à l'utilisation de nouvelles technologies. Il s'agit de la gestion de l'incertitude des données de base, des questions liées au transfert des résultats découlant des évaluations à un autre contexte et des décisions politiques dans le domaine des nouvelles biotechnologies liées à la santé. Enfin, les moyens dont se sont dotés trois pays pour adapter et incorporer l'ETM dans la prise de décision seront examinés.

La production d'ETM et l'utilisation des données probantes

Il est largement reconnu que l'ETM est un moyen efficace pour fournir aux dirigeants de l'ensemble des échelons du système de soins de santé des données synthétiques, fiables et de qualité. De nombreux pays de l'OCDE s'emploient d'ailleurs à élaborer et à mettre en place des mesures visant à soutenir la production des approches et des méthodologies employées et à élargir leur gamme. Cependant, les investissements consentis dans ce domaine ne représentent toujours qu'une très faible proportion des dépenses de santé totales et les ETM restent confrontées à des difficultés importantes. En particulier, bien que l'on considère que les données produites par l'ETM sont de qualité globalement élevée, l'efficacité de l'évaluation, mesurée par son influence sur la prise de décision n'est aujourd'hui pas prouvée, de même que son incidence sur l'utilisation des technologies médicales ou sur les résultats en matière de santé.

Diverses initiatives sont en cours dans les pays sélectionnés par l'étude, qui visent à étendre la communication des résultats de l'évaluation officielle à un groupe plus large de dirigeants et d'intervenants, comme les responsables des politiques, les cliniciens, l'industrie et les malades. Dans la majorité des cas, ces efforts sont essentiellement axés sur la diffusion. Si aucune méthode de diffusion ne fait encore l'unanimité, et si l'incertitude demeure quant à la transférabilité des méthodes efficaces, certains éléments tendent à prouver qu'une approche par portefeuille donne de meilleurs résultats que toutes les méthodes isolées. Certains pays de l'OCDE se sont attachés à instaurer une « culture » d'élaboration des politiques et des pratiques fondée sur des données probantes en favorisant les activités qui ont davantage besoin de l'ETM, notamment des programmes pédagogiques portant sur le développement, chez les dirigeants, de compétences d'interprétation et d'analyse des données, à instaurer une infrastructure de l'information destinée à accélérer la diffusion des données, et à mettre en place des processus décisionnaires dans lesquels le rôle de l'ETM est mieux défini.

Les ETM ont davantage de chances d'être utilisées par les responsables politiques si les instruments d'action pour leur donner suite existent, si la volonté d'utiliser leurs résultats a préalablement été affirmée, et si la méthodologie employée est considérée comme « adaptée ». Les résultats de l'enquête de l'OCDE tendent à démontrer que l'évaluation des technologies doit, dans une large mesure, être spécifiquement adaptée aux caractéristiques de chaque système de santé, et tenir compte notamment de l'échelon auquel les décisions relatives à l'adoption et à la diffusion des technologies sont prises, ainsi que, dans certains cas, aux technologies particulières qui sont l'objet de l'évaluation. De manière générale, l'ETM doit être plus en rapport avec l'innovation et d'autres aspects de l'élaboration des politiques.

Le rythme de développement de certaines technologies met à l'épreuve les capacités des concepteurs d'ETM à maintenir le niveau d'actualisation de leurs évaluations. Dans la plupart des cas, celles-ci ne sont, en raison principalement du manque de ressources invoqué par leurs concepteurs, mises à jour qu'occasionnellement afin de suivre les

progrès de la recherche et de l'innovation. Lorsqu'elles ont lieu, ces mises à jour rendent les évaluations plus prospectives et leur permettent d'obtenir un impact réel, en mettant en lumière les domaines souffrant de lacunes, en proposant des recherches complémentaires sur certaines questions et en soulignant les secteurs qui pourraient bénéficier de nouvelles améliorations des technologies. Elles ont même, dans certains cas, contribué à la mise au point d'accords entre producteurs et acheteurs portant sur des technologies spécifiques. Des fournisseurs de services de santé se sont efforcés de recourir, lors de leur processus décisionnel, à des informations plus actualisées, en menant des activités « de prévoyance » (telles que les enquêtes prévisionnelles) afin de tenter de détecter les technologies de l'avenir. Toutefois, pour l'heure, il n'existe aucune preuve concluante des répercussions réelles de ces méthodes sur la prise de décision.

En dépit de ces difficultés, l'étude de l'OCDE a révélé que les dirigeants politiques soutiennent massivement le maintien de l'ETM. Cet engagement est confirmé par plusieurs examens récents de cette méthode d'évaluation menés notamment au Royaume-Uni et au Danemark.

Le processus de décision

L'accès à des données probantes de qualité est une condition nécessaire mais non suffisante pour garantir l'adoption et la diffusion rationnelles des technologies de la santé. Il est de plus en plus admis qu'une utilisation efficace des données probantes dépend, en grande partie, du processus de décision et de la dynamique des systèmes de soins de santé sur les plans institutionnel, organisationnel, politique et culturel.

Pour chacune des technologies qui ont donné lieu à une étude de cas, les décisions relatives à l'adoption et à la diffusion des technologies de la santé sont prises à divers échelons du système des soins de santé. Dans les cas où une infrastructure décisionnelle officielle existe, l'influence des résultats de l'ETM sur la prise de décision semble s'améliorer, peut-être parce que les responsables de la réalisation de l'ETM sont davantage en mesure d'axer leurs évaluations sur des groupes cibles prédéfinis.

Le financement et le remboursement des nouvelles technologies par les prestataires de services de santé sont de plus en plus souvent soumis à des approbations conditionnelles. Ces autorisations permettent « d'entrouvrir la porte » à des technologies encore incertaines et de collecter de nouvelles informations afin de réduire l'incertitude et de minimiser les risques éventuels. Toutefois, pour que l'autorisation conditionnelle soit efficace, il faut que l'ensemble des parties prenantes s'accorde sur la nature des données qui seront collectées, sur les responsables de ces collectes, ainsi que sur la façon dont elles seront utilisées, et à quel stade, pour confirmer ou infirmer l'autorisation. Des craintes existent quant à une utilisation abusive de ces autorisations, et au ralentissement indésirable de l'accès aux nouvelles technologies qu'elle pourrait entraîner, ce qui risquerait de porter préjudice à leur utilisation telle qu'elle est actuellement prévue. Il convient par conséquent de contrôler leur recours.

De manière générale, les décisions relatives aux technologies de la santé seront d'autant mieux acceptées par un large éventail d'acteurs, tels que les professionnels de la santé, l'industrie et les associations de malades, que le processus décisionnel sera considéré comme transparent et fondé sur des données probantes, et qu'il prévoira un dispositif de recours. L'acceptation des décisions par les parties intéressées semble un facteur déterminant de leur mise en application réelle dans les systèmes de santé.

Il est nécessaire d'instaurer un dialogue de meilleure qualité dès les premiers stades du processus d'évaluation entre les producteurs et les utilisateurs des ETM, afin de mieux aligner le contenu de l'ETM, les besoins des dirigeants et les politiques.

La mise en application des décisions

La pertinence de l'ETM doit être avant tout appréciée au regard de ses répercussions en aval sur les résultats en matière de santé et les performances des systèmes sanitaires. Il apparaît clairement que de nombreux pays de l'OCDE adaptent leurs systèmes de santé à une vision de la politique de la santé qui attache davantage d'importance aux questions de mesure, de responsabilité, d'optimisation des ressources et d'élaboration des politiques et des pratiques fondée sur des données probantes. L'enjeu pour de nombreux responsables politiques consiste à mettre au point des instruments d'action permettant d'atteindre simultanément plusieurs objectifs du système de santé, et particulièrement à concevoir des méthodologies dans lesquelles les retombées directes que peuvent avoir des décisions éclairées sur les résultats en matière de santé ressortent plus explicitement.

La tendance actuelle semble être de veiller davantage à présenter les décisions reposant sur des données probantes sous un éclairage susceptible de favoriser leur mise en pratique. Trois facteurs principaux semblent entrer en jeu. Premièrement, le processus de présentation et de diffusion des résultats. En dépit d'une forte hétérogénéité des moyens mis en œuvre, les approches les plus couramment utilisées (du moins dans les pays sélectionnés pour l'étude) sont l'élaboration de lignes directrices ou de recommandations cliniques, ainsi que la conception de programmes de santé spécifiques, comme tend à le démontrer l'enquête de l'OCDE.

Deuxièmement, il semblerait qu'il existe une prise de conscience croissante de l'influence fondamentale des aspects institutionnels et financiers du système de santé sur la réussite, ou l'échec, de la mise en application des décisions. L'octroi d'un financement supplémentaire ou une certaine flexibilité budgétaire sont des critères importants pour faciliter la mise en œuvre des décisions. Les caractéristiques des systèmes de santé, y compris les modalités de paiement des prestataires, peuvent avoir une influence considérable, positive ou négative, sur l'efficacité des prises de décision, et risquer d'entraîner une sous-utilisation des technologies rentables.

Enfin, troisièmement, le niveau de confiance dont font preuve les parties concernées à l'égard des données probantes et des systèmes qui les utilisent, apparaît de plus en plus comme un facteur clé. L'un des moyens de contribuer à susciter cette confiance semble être d'appliquer le principe du partage des risques. Un certain nombre de prestataires de services de santé des pays de l'OCDE innovent dans leurs pratiques, notamment en signant des accords avec des fournisseurs de technologies et avec l'industrie, mettent en application des décisions qui visent à récolter les bénéfices des nouvelles technologies, à gérer l'incertitude et à reconnaître la valeur de la véritable innovation, tout cela en respectant les contraintes budgétaires du système de santé. Ces méthodes exigent certes une évaluation plus rigoureuse mais peuvent s'avérer plus efficaces pour remplir les divers objectifs du système de santé que poursuivent de nombreux pays de l'OCDE.

La prise de décision dans un contexte d'incertitude

L'incertitude est inévitable dans les processus de décision en matière de nouvelles technologies de la santé. Or, les décisions doivent malgré tout être prises, car l'absence de décision ou une procrastination excessive équivalent dans les faits au choix de ne pas délivrer et/ou rembourser telle ou telle prestation. Deux stratégies principales de gestion de l'incertitude semblent cohabiter. La première consiste à tisser des liens plus étroits entre les experts techniques et les responsables politiques, la deuxième, à appliquer des stratégies d'amélioration des risques.

Concernant les décisions prises au niveau national ou à celui de l'état, l'application avisée et pragmatique des données techniques aux politiques est plus aisée s'il existe des liens systématiques entre les utilisateurs et les producteurs des ETM. La présence d'une infrastructure officielle de liaison ou de gestion des ETM au sein des ministères peut favoriser l'émergence des compétences et de l'expertise y afférentes dans les services administratifs des organes de l'État. Cette expertise peut aider les administrateurs à reconnaître l'incertitude, à ne plus s'en remettre à des solutions simplistes mais à élaborer des mesures susceptibles de la gérer plus efficacement.

Comme indiqué précédemment, un certain nombre d'accords de partage des risques entre l'industrie et les pouvoirs publics ou d'autres prestataires de services de santé ont déjà été mis en place pour résoudre le problème de l'incertitude. Il s'agit notamment d'accords prix-volume et/ou d'engagements à recueillir des données supplémentaires. Ces accords doivent avoir des paramètres clairement définis et assimilés par les deux parties, une durée limitée et prévoir des possibilités de révision appropriées.

Le transfert des données économiques probantes

Il est souvent difficile pour les responsables de l'élaboration des politiques de déterminer dans quelle mesure les résultats des évaluations économiques, qui peuvent être menées hors de leur territoire, s'appliquent à leur propre contexte local. Cette difficulté s'explique en partie par le manque d'informations quant à la nature de ces évaluations. Toutefois, même lorsque les données dont on dispose sur un acte clinique particulier permettent d'avoir une opinion tranchée à son égard, et même lorsque l'on ne tient compte que d'éléments objectifs, et plus d'évaluations, il reste difficile de savoir comment exploiter au mieux ces éléments en les adaptant au contexte local.

On se heurte ici à quatre problèmes principaux. Premièrement, un décalage important peut exister entre l'état de la technologie et les évaluations. Celui-ci peut, dans une certaine mesure, être compensé par des accords de partage des risques qui s'avèrent parfois insuffisants s'ils ne sont pas accompagnés d'autres mesures. Il importe par conséquent de renforcer l'analyse nécessaire à l'évaluation, éventuellement par le biais de nouveaux partenariats publics et privés qui permettent un partage des coûts des évaluations.

Deuxièmement, les questions d'équité et de justice distributive doivent être prises en compte. Cet impératif peut varier en fonction de la technologie ou de l'indication concernée, ainsi que du contexte local en matière d'éthique ou de politique sociale. Autoriser la participation d'un ensemble plus vaste d'intervenants (malades, prestataires de soins de santé et représentants des pouvoirs publics) peut favoriser l'apport de points de vue nouveaux sur le processus d'évaluation et de décision.

Troisièmement, des incertitudes demeurent quant à la possibilité de transposer les données probantes dans un contexte étranger. Il semble globalement admis que les décisions fondées sur les évaluations sont de manière générale spécifiques à un contexte, mais en raison du manque d'informations quant à la nature de ces évaluations, il est difficile de savoir si ces dernières ne s'appliquent qu'au contexte local, ou si leurs résultats peuvent être extrapolés. L'élaboration de cadres de notification communs pourrait améliorer la situation.

Enfin, il n'est pas encore prouvé que les évaluations économiques soient efficaces pour déterminer quelles sous-catégories de patients sont susceptibles de bénéficier le plus d'un acte donné. La mise à disposition en ligne des données pharmacogénétiques ne fera que renforcer la pertinence de cette question.

Les biotechnologies et la prise de décision

On attribue aux biotechnologies, et à la formidable évolution à laquelle elles donneront naissance, la capacité d'améliorer considérablement la santé humaine. Toutefois, en raison de certaines caractéristiques de ces mêmes technologies, la production de données économiques les concernant et l'utilisation de ces données dans la prise de décision posent des difficultés particulières. Elles ont, pour l'essentiel, trait à la vitesse du développement technologique, aux risques liés aux investissements et à leur rendement, aux coûts et aux niveaux d'efficacité élevés nécessaires pour les réaliser, ainsi qu'à des considérations d'ordre éthique et d'opinion publique.

Concernant les innovations médicales, et particulièrement depuis l'avènement des nouvelles biotechnologies liées à la santé, les responsables politiques souhaitent disposer de données de plus en plus abondantes sur les effets cliniques et économiques de ces innovations, mais également sur des aspects éthiques, sociaux et macroéconomiques. Il importe ici de savoir si l'ETM peut ou doit adapter ses méthodologies afin de tenir compte de ces aspects, ou si ces derniers doivent être documentés par d'autres sources.

D'autres travaux d'observation sont nécessaires pour décortiquer le processus décisionnel et avoir un meilleur aperçu de la manière dont les responsables des politiques utilisent les divers instruments et données dont ils disposent. La méthodologie des ETM doit être perfectionnée, notamment dans le domaine de l'utilisation des données pharmacogénétiques. Il serait en revanche plus approprié que certaines questions, comme celles qui ont trait à l'éthique, soient traitées par d'autres moyens.

Il serait par conséquent judicieux d'étudier dans quels cadres d'action peut s'inscrire l'examen de ces questions plus globales. L'absence de tels cadres, susceptibles de fournir des informations précieuses aux dirigeants, peut être un facteur d'incertitude considérable pour les concepteurs de nouvelles technologies. La valorisation des retombées technologiques sur la santé et l'économie semble passer par le ciblage de ces cadres sur la réduction des risques pour les innovateurs et sur l'intégration de considérations concrètes plus vastes dans la prise de décisions relatives aux biotechnologies. Les enseignements que l'on ne manquerait pas de tirer d'une telle activité pourraient être appliqués à d'autres technologies d'un même niveau de complexité.

Les progrès récents de la science biomédicale font cruellement ressentir la nécessité d'améliorer le dialogue sur les questions clés en matière de technologies, et sur les moyens adaptés – techniques et politiques – pour y répondre. Ce dialogue exige quant à lui que soit rapidement améliorée la formation des responsables des évaluations et des

dirigeants politiques, et que des liens plus étroits se nouent avec les concepteurs des nouvelles technologies.

L'exemple de trois pays

Pour que les résultats de l'ETM soient utilisés lors de la prise de décision, un accès doit être possible à des données probantes fiables qui répondent aux besoins des dirigeants politiques. Les expériences accumulées dans ce domaine par trois pays de l'OCDE renseignent sur les moyens mis en œuvre, dans le contexte des cadres organisationnels et institutionnels propres à leurs systèmes de soins de santé respectifs, pour relever ce défi.

En Australie, la production et l'utilisation d'ETM au niveau fédéral ont été introduites pour répondre aux besoins de deux programmes de remboursement s'appliquant aux produits pharmaceutiques et aux services médicaux privés. Les activités des ETM se sont par conséquent orientées sur les besoins des responsables de l'élaboration des politiques. Les répercussions de l'ETM sont toutefois plus limitées pour la pratique clinique et les domaines qui n'entrent pas dans le champ d'application des deux programmes fédéraux. Des efforts récents visent à donner une portée plus large à l'ETM.

Au Canada, les activités d'ETM sont du ressort des provinces et sont coordonnées par l'Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé (OCCETS). Depuis peu, les efforts portent essentiellement sur le développement d'une stratégie globale pour l'ETM, lui permettant d'étudier les retombées des technologies et de valoriser leur efficacité, tout en améliorant sa fonction et son utilité. Au niveau national, des activités en cours s'efforcent de reconnaître et de promouvoir l'évaluation des technologies médicales en tant qu'instrument nécessaire du processus décisionnel dans le domaine de la santé, et d'investir dans la coordination et la collaboration nationales, deux éléments considérés comme essentiels pour garantir une production plus efficace d'ETM et son utilisation dans la prise de décision.

Au sein du système de santé complexe du **Mexique**, la coordination des activités d'ETM et les mesures visant à faciliter l'utilisation de leurs résultats dans le processus décisionnel continuent de mobiliser les pouvoirs publics, alors même que les efforts déployés récemment commencent à porter leurs fruits. Afin d'encourager l'utilisation de l'ETM, le Centre pour l'excellence technologique a été créé récemment. Il est principalement dédié à l'élaboration des politiques nationales d'ETM. Parallèlement, l'Institut mexicain de la sécurité sociale (le principal prestataire public de soins de santé pour près de 50 millions de Mexicains) est en train de mettre au point des dispositifs visant à faciliter l'utilisation de l'ETM à tous les échelons du processus décisionnel. Les activités d'intégration et de coordination dans la prise de décision à proprement parler n'en sont qu'à leurs débuts mais semblent déjà prometteuses. Pour le Mexique, il s'agit désormais de faire bénéficier un groupe plus vaste de dirigeants politiques des résultats de l'ETM.

Les expériences de l'Australie, du Canada et du Mexique montrent que l'utilité de l'ETM pour les dirigeants politiques dépend de son adéquation aux caractéristiques spécifiques de chaque système de soins de santé, et à sa prise en considération de l'échelon responsable des décisions relatives à l'adoption et à la diffusion des technologies. Une meilleure collaboration entre les producteurs des ETM, leurs utilisateurs et les fournisseurs de technologies est considérée comme un facteur essentiel de réussite de l'intégration de l'ETM dans le système de soins de santé, et de sa contribution à l'amélioration des performances des systèmes sanitaires et des résultats en matière de santé.

Chapitre 1

INTRODUCTION

Les technologies médicales ont contribué au prolongement de la vie humaine et à la réduction de la douleur, du risque pathologique et de l'invalidité. Elles sont cependant assimilées et diffusées selon des modalités très variables dans les différents pays de l'OCDE, ce qui laisse espérer qu'il est possible de les intégrer plus efficacement dans les systèmes de santé. Dans ce chapitre d'introduction, sont énoncés les objectifs et la méthodologie du projet de l'OCDE sur les technologies médicales. Il expose également aux lecteurs les concepts et les définitions utilisés dans l'ouvrage.

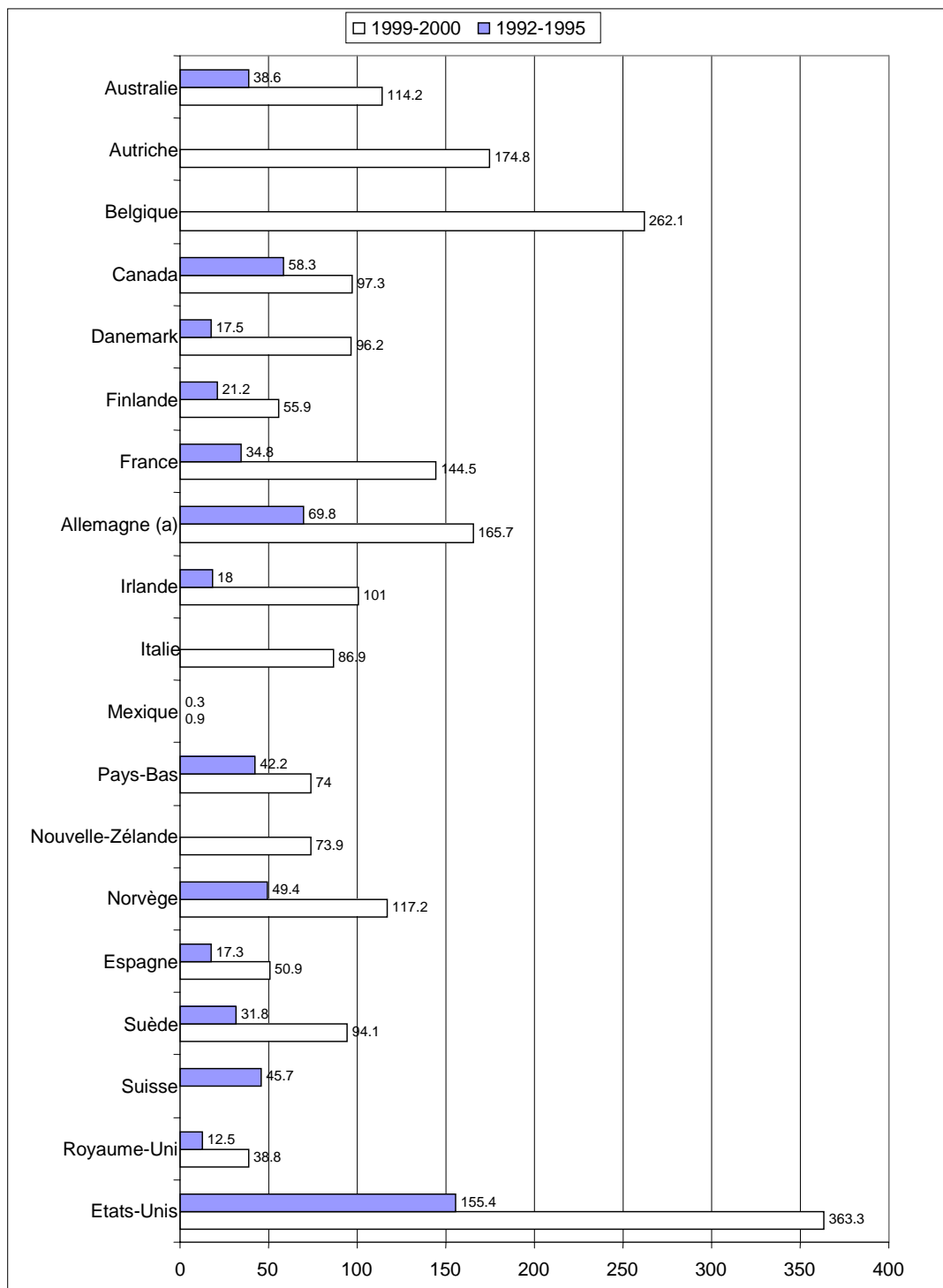
Les soins de santé représentent un défi économique, scientifique et social considérable pour les pays de l'OCDE. Ils ont contribué au prolongement de la vie humaine et à la réduction de la douleur, du risque pathologique et de l'invalidité. L'application des nouvelles connaissances et des progrès technologiques est universellement reconnue comme un moteur essentiel de ces avancées. Par exemple, la recherche montre que le rythme du progrès technologique dans les pays de l'OCDE est positivement corrélé aux résultats sur le plan de la santé et à la qualité de vie des patients qui ont subi des attaques cardiaques (Atella, 2003).

Toutefois, au cours des dernières décennies, les activités liées à la santé ont absorbé des proportions croissantes du PIB. En 1990, le taux moyen des dépenses de santé dans les pays de l'OCDE atteignait 7,3 % du PIB. En 2001, cette moyenne s'élevait à 8,4 %, c'est-à-dire une augmentation de 15 % de plus que celle du PIB (OCDE, 2003). Dans un contexte de faible croissance économique, de vieillissement de la population et d'augmentation des dépenses de santé, de nombreux gouvernements de l'OCDE cherchent à garantir la durabilité du financement public de la santé.

Le rôle de la technologie est considéré comme déterminant dans les coûts de la santé. Il ressort d'études menées par Aaron (1991), Jones (2002) et Newhouse (1992) que jusqu'à 50 % de l'accroissement des dépenses de santé totales peuvent être attribuée au progrès technologique. De surcroît, selon une étude de Fuchs (1996), c'est cette thèse qui prédomine maintenant dans la communauté des économistes de la santé. Cependant, d'autres allèguent que « l'on ne dispose pas de preuves directes du rôle du progrès technologique dans l'augmentation des coûts » (Cutler et McClellan, 1996)¹.

1. Les mêmes auteurs ont montré dans une étude postérieure que les avantages globaux des progrès technologiques l'emportaient sur les coûts afférents pour au moins quatre des cinq conditions étudiées sur la période (les résultats concernant le cancer du sein étaient équivoques) (Cutler et McClellan, 2001).

Figure 1.1. Nombre d'interventions coronariennes percutanées (angioplastie transluminale percutanée et stenting) pour 100 000 habitants, 1992-95 et 1999-2000



(a) Les chiffres datent de 1992 et 1997.

Source : *Eco-Santé OCDE 2003, 3e édition.*

L'observation empirique suggère également que l'utilisation et la diffusion des technologies varient sensiblement entre les différents pays de l'OCDE et à l'intérieur même de ces pays. La figure 1.1, pour ne donner qu'un exemple, représente le nombre d'interventions coronariennes percutanées (PTCA et stenting) pour 100 000 habitants dans 19 pays de l'OCDE entre 1992 et 1995 et 1999 et 2000. Le nombre moyen d'actes pour 100 000 habitants dans ces 19 pays était de 41 entre 1992 et 1995, et a atteint 118 en 1999-2000. L'ampleur de la variation est présentée à la figure 1.1, qui montre qu'en 1999-2000, le nombre d'actes atteignait au Mexique 0,9, tandis que ce chiffre était de 363 aux Etats-Unis.

La variabilité observée dans l'assimilation et la diffusion pourrait témoigner d'une utilisation sub-optimale de la technologie, certains pays en abusant, et d'autres la sous-exploitant. Par exemple, une technologie est abusivement utilisée lorsque les coûts excèdent les avantages obtenus par une plus large diffusion ou utilisation de la technologie. En revanche, une sous-exploitation correspond au cas où le manque à gagner excède les dépenses engagées par l'élargissement de la diffusion ou de l'utilisation. Aucun de ces scénarios n'est optimal et tous deux peuvent impliquer des coûts économiques et/ou de moins bons résultats sur le plan de la santé. Il convient cependant de noter que les variations relatives à la technologie ne traduisent pas nécessairement une sur-utilisation ou une sous-utilisation.

En effet, la variabilité de la diffusion de la technologie peut s'expliquer par de multiples raisons, en particulier :

- *Des besoins en soins variables.* Par exemple, les taux de prévalence des maladies peuvent différer entre les pays, et la variabilité de l'utilisation des technologies peut par conséquent répondre à des besoins différents en matière de santé.
- *Conditions économiques.* Par exemple, de très nombreuses données corroborent la théorie selon laquelle les pays les plus riches sont en général disposés à consacrer une proportion plus importante de leur PIB aux soins de santé (et aux technologies).
- *Caractéristiques culturelles et organisationnelles des systèmes de santé.* Par exemple, les systèmes de remboursement et les incitations proposées aux prestataires de soins et aux établissements peuvent les encourager à acquérir et utiliser de nouvelles technologies médicales.
- *Les réglementations nationales,* qui malgré des efforts permanents d'harmonisation peuvent encore considérablement diverger.

Le processus décisionnel dans le système de santé : évaluation, estimation et application

Prendre de meilleures décisions concernant l'adoption et la diffusion des technologies médicales est un problème toujours plus pressant pour les responsables politiques. Les consommateurs mieux informés, les prestataires de services de santé, l'industrie médicale de dimension internationale, les reportages et les publicités dans les médias peuvent inciter à penser que certaines technologies médicales seraient disponibles en temps opportun (voire instantanément). Bien souvent, un financement par les pouvoirs publics fait aussi partie des attentes. Toutes ces espérances font donc peser des pressions sur les responsables politiques et les décideurs des systèmes de santé, que l'on caractérise parfois « d'impératif technologique ».

Pour de nombreux responsables, l'enjeu est de mettre en place des politiques permettant d'exploiter les avantages offerts par la technologie et l'innovation, mais de remplir en même temps de nombreux objectifs du système de santé tout en respectant les contraintes de la politique budgétaire.

Depuis les années 70, les pays de l'OCDE sont de plus en plus nombreux à reconnaître la valeur des décisions prises dans le cadre d'un paradigme fondé sur des données probantes. Ces données permettent d'effectuer des choix informés concernant la diffusion et l'utilisation des technologies médicales nouvelles et émergentes pour prévenir, traiter, et prendre en charge la maladie. En l'absence de preuves convaincantes, l'intégration et la diffusion des technologies risquent d'être influencées par tout une série de facteurs sociaux, financiers, professionnels et institutionnels et de produire des résultats sur le plan de la santé qui ne sont pas optimaux ou avec une moindre efficacité. C'est pourquoi de nombreux pays de l'OCDE ont investi dans la production de données probantes, souvent à l'aide d'une évaluation des technologies médicales (ETM), pour prendre en compte les effets plus larges des technologies médicales et apprécier leurs avantages et leurs coûts. L'ETM a été décrite comme « le lien entre données probantes et décision » (Battista & Hodge, 1999). Elle apporte des informations aux responsables en matière de soins de santé qui sont chargés des décisions de financement, de planification, d'acquisition et d'investissement.

Le procédé d'ETM comprend trois étapes :

- Identification des questions, en particulier le classement des sujets par priorités (par exemple, quel est l'avantage additionnel apporté par la technologie « X » par rapport à la technologie « Y » dans le diagnostic de la maladie « Z » ?, ou bien « quelle est la stratégie optimale pour le traitement de la maladie Z ? ») et l'élaboration d'une stratégie permettant de répondre à ces questions.
- Collecte systématique de données scientifiques et d'analyse, examen critique et résumé des données, incluant des commentaires sur la validité et la solidité des preuves².
- Appréciation des données, incluant des jugements sur la signification des résultats obtenus par l'examen systématique et la formulation d'avis quant à la valeur d'une technologie dans le système de santé. Les données et leur appréciation servent ensuite de base au processus décisionnel.³

Les modalités de réalisation d'une ETM varient considérablement selon les pays. Certains disposent d'organismes d'évaluation nationaux qui dirigent ou coordonnent toutes les activités d'ETM, tandis que d'autres ont délégué leurs responsabilités dans ce domaine. L'ETM étudie, au minimum, l'efficacité des technologies et en particulier : 1) les avantages sanitaires apportés aux patients, 2) les effets secondaires potentiels et 3) des comparaisons (en termes de bénéfices sanitaires) avec d'autres technologies. Une ETM de portée plus large intègre fréquemment une évaluation économique, le plus souvent sous la forme d'une analyse coût-efficacité. Les organismes d'ETM s'accordent

2. Bien qu'il ne s'agisse pas d'un « examen » au sens strict, cette composante de l'ETM peut également comprendre une modélisation, en particulier pour étayer une analyse économique.

3. Cette division spécifique n'est pas universellement appliquée ; la décision fait parfois partie du processus d'ETM, et dans certains cas, l'évaluation et la prise de décision relèvent des mêmes personnes. Le point important est que l'examen, l'évaluation et la décision sont des éléments conceptuellement distincts d'un processus s'appuyant sur une ETM.

largement sur la définition de l'ETM. Une enquête auprès des principaux organismes et l'analyse de leurs directives révèle que la définition comprend toujours des références à l'efficacité et à la rentabilité, et mentionne également la prise en compte des conséquences plus larges des technologies médicales, telles que les implications légales, éthiques, psychologiques et sociales. Toutefois, on observe des variations considérables dans les modalités de mise en œuvre de l'ETM et de son intégration dans les systèmes de santé des pays membres de l'OCDE.

Bien que relevant d'un concept relativement nouveau, l'ETM se développe rapidement. Le bureau d'évaluation des technologies médicales du Congrès américain a été un pionnier en la matière, et on lui doit des contributions notables au concept de l'ETM au milieu des années 70, ainsi que la publication de rapports majeurs, par exemple sur la tomodensitométrie, en 1978. En 1987, le conseil suédois sur l'évaluation des technologies médicales (SBU) a été mis en place, et en 1988, les Néerlandais ont créé un fonds pour l'évaluation des techniques et procédures médicales (Banta, 2003). Au Royaume-Uni, a été célébré en 2003, le dixième anniversaire de l'ETM par le service national de santé (NHS).

L'analyse systématique de l'impact de l'ETM sur les décideurs ou l'application des décisions reste limitée à ce jour. Deux rapports récents signalent qu'il est difficile de trouver des exemples concrets de l'impact de l'évaluation des technologies médicales, et que les données montrant comment transposer des données probantes en pratiques cliniques sont rares (ECHTA, 2002 ; Maynard, 2000). Les nombreux facteurs susceptibles d'améliorer l'utilisation de l'ETM dans le processus décisionnel et l'intégration des technologies médicales dans le système de santé sont mal connus, alors même qu'un ensemble de stratégies de dissémination pourrait contribuer à convaincre davantage de décideurs concernés par les problèmes de santé (Lehoux *et al.*, 2003).

Toutefois, il paraît essentiel de disposer de données de haute qualité, même si cette condition ne suffit pas à coordonner efficacement l'assimilation et l'utilisation des technologies médicales. Le processus décisionnel lui-même est de plus en plus considéré comme une composante déterminante de l'utilisation des données et de la mise en œuvre des recommandations formulées à l'issue de l'analyse factuelle.

Il est nécessaire de considérer le processus décisionnel comme un tout dans le système de santé, afin de mieux appréhender son fonctionnement et l'utilisation des données probantes. Une meilleure connaissance du processus décisionnel permettra de mieux comprendre les très grandes variations observées dans la diffusion et l'utilisation des technologies.

Le projet de l'OCDE sur les technologies liées à la santé

Le projet de l'OCDE sur les technologies liées à la santé faisait partie du projet de l'OCDE sur la santé, échelonné sur trois ans. Il a été supervisé par le groupe ad hoc chargé du projet OCDE sur la santé et mené par des délégués (désignés ci-après groupes d'experts), issus des sphères gouvernementales, universitaires, de l'évaluation des technologies médicales et de l'industrie. Ils se sont réunis à cinq reprises, entre avril 2002 et mars 2004. La liste des participants figure à l'annexe 1.

Ce projet de l'OCDE avait pour objectif de montrer comment les pays peuvent améliorer l'intégration des technologies dans leurs systèmes de santé. Axé sur le processus décisionnel et les instruments d'action utilisés pour appliquer les décisions, ainsi

que sur la transition entre ETM et décision, il a analysé la production d'ETM et l'utilisation des données probantes dans la prise de décision.

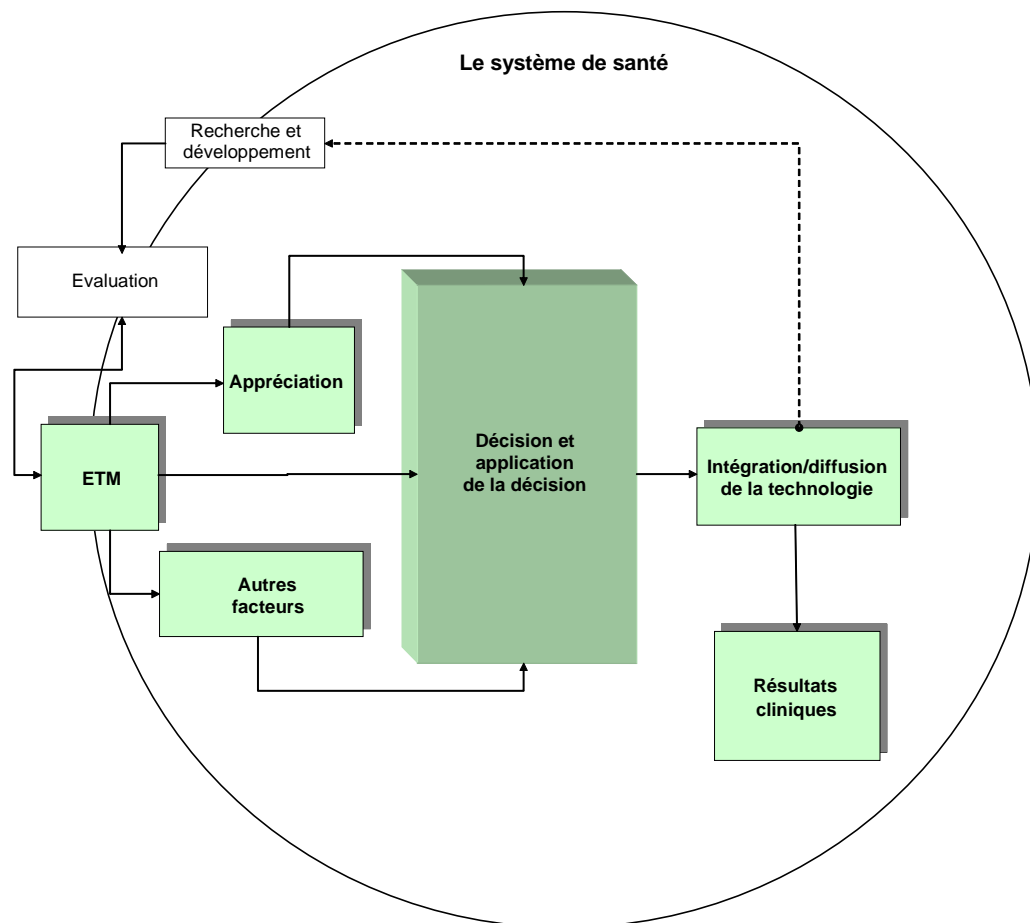
La figure 1.2 illustre le processus décisionnel conceptuel, intégré aux systèmes de santé, qui a été utilisé dans ce projet. Il place la prise de décision au centre du système ; l'ETM et les données sur l'impact des nouvelles technologies constituent des contributions importantes au processus, de même que l'évaluation de ces données et d'autres facteurs tels que les conditions économiques, les caractéristiques organisationnelles et les réglementations nationales et internationales.

Lorsqu'ils disposent des données requises, les décideurs peuvent alors choisir d'adopter et d'appliquer la nouvelle technologie et en déterminer les modalités de mise en œuvre. Par exemple, ils peuvent décider d'ajouter une nouvelle technologie aux dispositifs de remboursements nationaux en fonction des données entrant dans la décision qui suggèrent que l'investissement est rentable. Le processus décisionnel et les modalités d'application des décisions peuvent influencer sur les schémas d'assimilation et de diffusion des technologies médicales, et de ce fait, sur les résultats sanitaires.

La figure 1.2 donne un aperçu général du processus décisionnel en matière de soins de santé, mais ce modèle est bien évidemment soumis à de larges variations. Le développement historique et l'évolution des systèmes de santé jouent des rôles importants dans la détermination des caractéristiques institutionnelles des processus décisionnels. Par exemple, l'importance attachée à l'incorporation de l'ETM dans le processus diffère selon les pays Membres, certains en faisant une obligation et d'autres une démarche volontaire. Le niveau de prise de décision varie également. Dans certains pays, les décisions sont arrêtées au niveau national, tandis que dans d'autres, elles peuvent l'être au niveau régional. Par exemple, la décision de rembourser une nouvelle technologie peut être prise par des gouvernements nationaux ou provinciaux, mais aussi par des régimes d'assurance-maladie privés.

Il ressort de la figure 1.2 que certaines activités telles que la recherche, le développement et l'évaluation des services de santé ignorent parfois les frontières nationales. De surcroît, les évaluations de technologies médicales peuvent tirer (et tirent en effet) profit des résultats de la recherche internationale et les évaluations sont parfois menées conjointement par plusieurs agences d'ETM. Enfin, la figure 1.2 établit un lien entre l'intégration et la diffusion des technologies et les activités de recherche et de développement. Ce lien est créé par les divers signaux (en particulier prix et volumes) envoyés par le système de santé à la communauté de recherche et de développement.

Figure 1.2. Schéma général de l'ETM, de la prise de décision et de son application

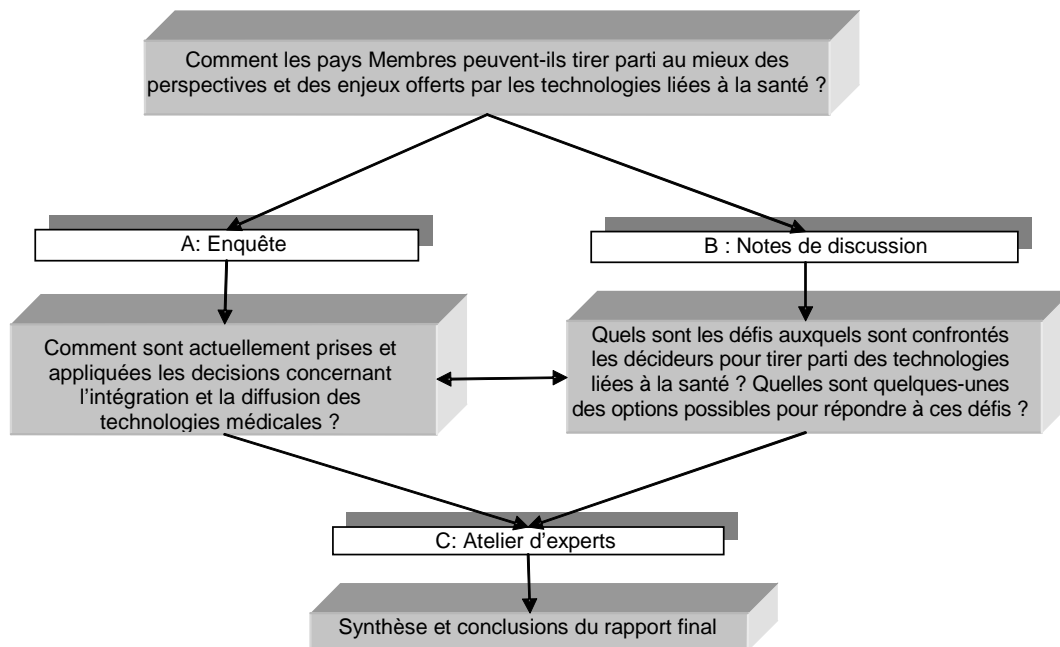


Le projet de l'OCDE comportait trois parties, comme l'illustre la figure 1.3. La partie A avait pour objectif d'examiner les pratiques actuelles en matière de prise et d'application des décisions, et l'utilisation de l'ETM ; la partie B a passé en revue les enjeux essentiels qui interviennent dans le processus décisionnel et l'utilisation de l'ETM ; et la partie C a établi une synthèse des résultats des parties A et B, lesquels ont été discutés à l'occasion d'un atelier d'experts.

Partie A : Développement, mise en place et analyse d'une enquête⁴ sur les modalités d'intégration des technologies médicales par les pays de l'OCDE. L'enquête était axée sur les processus décisionnels passés et présents et la production d'ETM, l'objectif étant de rechercher des informations sur les thèmes suivants :

- Comment sont prises les décisions concernant les technologies médicales ?
- Comment les données probantes, et en particulier l'ETM sont-elles prises en compte dans cette décision ?
- Comment a été menée l'ETM ?
- Comment les décisions ont-elles été mises en œuvre dans les systèmes de santé ?

Figure 1.3. Structure du projet de l'OCDE sur les technologies médicales



Dans tout système de santé, le processus décisionnel met en jeu un ensemble complexe d'interactions entre de nombreux acteurs. Il est néanmoins possible de classer les différents types de décision intervenant à différents niveaux des systèmes de santé. D'une manière générale, les décisions peuvent se répartir entre trois niveaux :

- Macro (décisions prises au niveau national, provincial ou par la compagnie d'assurance).
- Méso (décisions prises au niveau des autorités sanitaires régionales ou de l'hôpital).
- Micro (décisions prises au niveau du prestataire ou du patient).

4. On trouvera un résumé des questions de l'enquête dans l'annexe 3.

L'enquête a surtout porté sur les décisions aux macro- et méso-niveaux, mais elle a également cherché à établir comment ces décisions ont été appliquées pour influencer sur les décisions du micro-niveau. En particulier, elle a étudié 1) les décisions de pré-commercialisation : la décision d'autoriser l'utilisation d'un produit ou d'un service dans le système de santé ; 2) les décisions de financement et de couverture : la décision de financer ou de couvrir un produit ou un service par les dispositifs d'assurance privés ou publics ; et 3) l'investissement et la planification : la décision d'investir dans une technologie, notamment les décisions de planification des soins de santé. Les travaux d'analyse ont principalement été axés sur les décisions de financement et de couverture et les décisions d'investissement et de planification.

Pour permettre la collecte d'informations comparables, le groupe d'experts a mis au point et approuvé une méthodologie pour réaliser des études de cas de cinq technologies dans le cadre de l'enquête de l'OCDE. Il s'agissait de la tomographie par émission de positons, du génotypage et du test de la charge virale de l'hépatite C, de la télémédecine, du dépistage du cancer de la prostate et des technologies liées aux accidents vasculaires cérébraux (AVC). Le groupe d'experts a sélectionné ces technologies en se fondant sur un ensemble déterminé de critères visant à garantir que les études de cas reflèteront la diversité des utilisations des technologies médicales (par exemple, l'utilisation des technologies pour le dépistage, le diagnostic, le traitement et la prise en charge) et les environnements de soins (par exemple soins ambulatoires, soins hospitaliers). Considérées globalement ces études de cas illustrent le processus décisionnel à divers niveaux du système de santé.

Douze pays ont participé à l'enquête : l'Australie, l'Autriche, le Canada, la France, l'Allemagne, l'Irlande, le Japon, le Mexique, les Pays-Bas, la Norvège, l'Espagne et la Suisse. Les personnes interrogées ont été identifiées par des membres du groupe d'experts et choisies en fonction de leurs compétences en matière de processus décisionnel et/ou de production d'ETM pour l'une quelconque des cinq technologies étudiées. Il s'agissait de hauts fonctionnaires, de responsables de l'évaluation des technologies médicales, d'administrateurs sanitaires et hospitaliers, de cliniciens et de chercheurs.

Partie B : Alors que la partie A portait sur les processus décisionnels actuels, la partie B était centrée sur plusieurs enjeux plus larges liés aux décisions et à l'ETM. Les quatre enjeux essentiels identifiés par le groupe d'experts étaient les suivants :

- Prise de décision dans un contexte d'incertitude.
- Transfert entre pays des résultats issus des évaluations.
- Facilitation de l'utilisation des données dans différents systèmes de santé de l'OCDE.
- Décisions politiques dans le domaine des nouvelles biotechnologies liées à la santé.

Les membres du groupe d'experts ont produit pour chacun de ces thèmes des notes de discussion⁵ adoptant une démarche prospective pour décrire et anticiper les enjeux essentiels de l'évaluation et du processus décisionnel, et proposer en outre quelques conclusions et recommandations éventuelles. Les notes de discussion ont bénéficié par la

5. Les délégués des pays principaux ont élaboré trois de ces notes et la quatrième a été préparée par des consultants externes.

suite des débats au sein du groupe de travail (partie C, ci-après) et des consultations du groupe d'experts.

Partie C : un atelier d'experts internationaux s'est réuni pour regrouper les données disponibles issues du projet. Outre les exposés des experts, l'atelier a pris connaissance et débattu des résultats intermédiaires de l'enquête et des projets de note de discussion. L'atelier s'est réuni à La Haye les 27-28 octobre 2003 sous le co-patronage du Ministère néerlandais de la santé du bien-être et des sports et du Ministère australien de la santé et des personnes âgées.

Les participants à l'atelier ont joué un rôle essentiel en analysant et en interprétant les résultats du projet et en les replaçant dans les contextes nationaux des pays de l'OCDE. Des présentations par des spécialistes mondiaux de l'évaluation des technologies médicales et du processus décisionnel ont complété les résultats du projet. L'annexe 2 de ce rapport contient une liste des participants à l'atelier.

Ces trois parties du projet de l'OCDE sur les technologies médicales ont servi de base à l'élaboration du présent rapport.

Structure du rapport

Le chapitre 2 de ce rapport contient une analyse des travaux reflétant l'état actuel des connaissances sur la dynamique de l'innovation dans le domaine des technologies médicales et les mécanismes qui affectent l'adoption et la diffusion des technologies médicales. Il présente également une étude critique des moyens d'action utilisés pour faciliter l'intégration des technologies dans les systèmes de santé. Ce chapitre s'appuie sur deux rapports préliminaires rédigés par des consultants pour ce projet.

Les chapitres 3 et 4 présentent les résultats de l'enquête de l'OCDE sur les technologies médicales. Le chapitre 3 est consacré la production d'ETM dans les pays étudiés, et le chapitre 4 porte sur le processus décisionnel et les méthodes d'application dans ces mêmes pays. Des résultats de l'enquête comparative et une analyse plus détaillée sont fournis pour les études de cas de deux technologies (TEP et AVC). Ces deux exemples offrent une illustration circonstanciée du niveau élevé des activités d'ETM dans les pays étudiés et mettent en évidence la variabilité des modalités de prise de décisions et de leur application.

Les chapitres 5 à 8 présentent une analyse des enjeux à plus grande échelle liés au processus décisionnel et de l'ETM, fondée sur les notes de discussion des experts. Le chapitre 5 propose des études de cas portant sur trois pays de l'OCDE et montrant quels moyens ils se sont donné pour créer un environnement de système de santé favorable à l'incorporation de données probantes dans la prise de décision. Le chapitre 6 recense les écueils potentiels auxquels sont confrontés les décideurs lors du transfert des résultats issus des évaluations économiques d'un environnement à un autre. Il présente trois types de mesures possibles pouvant contribuer à éviter ces écueils. Le chapitre 7 s'intéresse à l'incertitude entourant le processus décisionnel et propose quelques pistes possibles pour aider à la contrôler. Le chapitre 8 pose la question de savoir si les responsables politiques disposent des instruments appropriés pour tirer parti des opportunités et relever les enjeux inhérents aux progrès biomédicaux.

Le chapitre 9 formule en conclusion quelques observations et présente les conséquences pour l'action des pouvoirs publics qui découlent du projet de l'OCDE sur les technologies médicales. Il identifie les points forts et les points faibles du projet et met en évidence quelques domaines où subsistent d'importantes lacunes par rapport aux connaissances actuelles, et auxquels il pourrait être justifié que l'OCDE consacre à l'avenir des travaux.

Références

- Aaron, H. (1991), *Serious and Unstable Condition : Financing America's Health Care*, The Brookings Institute, Washington, DC.
- Atella, V. (2003), *The Relationship Between Health Policies, Medical Technology Trends and Outcomes, in A Diseased Based Comparison of Health Systems : What is Best at What Costs?* OCDE
- Banat, D. (2003), "The Development of Health Technology Assessment", *Health Policy*, 63, 121-132.
- Battista, R. and M.J. Hodge. (1999), "The Evolving Paradigm of Health Technology Assessment : Reflections for the Millennium", *Journal of the Canadian Medical Association* 1999 ; 160 (10) : 1464-1467.
- Cutler, D. and M. McClellan (1996), "The Determinants of Technological Change in Heart Attack Treatment", Working Paper 5751, *New Working Paper Series*, National Bureau of Economic Research.
- Cutler, D. and M. McClellan (2001), "Is Technological Change in Medicine Worth It?", *Health Affairs*, 20 : 11-29.
- ECHTA (European Collaboration for Health Technology Assessment Project) (2002), "Working Group 6 Report", *International Journal of Health Technology Assessment in Health Care*, Vol. 18, No. 2 : 447-455.
- Fuchs, V. (1996), "Economics, Values and Health-Care Reform", *American Economics Review*, March, 1-24.
- Lehoux P., J.L. Denis, M. Hivon and S. Tailliez (2003), "Dissemination and Use of Health Technology Assessment in Canada : The Perception of Providers, Health-care Administrators, Patients and Industry", Université de Montréal, Mai.
- Maynard, A. and D. McDaid (2000), ASTEC : The implications for policy makers, in R. Cookson, A.D. Maynard, D. McDaid, F. Sassi and T. Sheldon (eds.) (2000), "Analysis of the Scientific and Technical Evaluation of Health-care Interventions in the European Union. Report to European Commission", disponible à l'adresse suivante : www.lse.ac.uk/Depts/lsehsc/astec_report.htm
- Newhouse, J.P. (1992), "Medical Care Costs : How Much Welfare Loss?" *Journal of Economic Perspectives*, 6 : 3-21.
- OCDE (Organisation de Coopération et de Développement Economiques) (2003) *Eco-Santé*, 3^e édition.

Chapitre 2

INNOVATION ET INTEGRATION DES TECHNOLOGIES MEDICALES : TOUR D'HORIZON DES ENJEUX ET DES TRAVAUX SUR CE THEME

Loin de se développer en autarcie, l'innovation médicale procède des nombreuses interactions entre les systèmes de santé et les activités de R-D des pays de l'OCDE qui déterminent le rythme et l'orientation des progrès médicaux. Ce chapitre propose un tour d'horizon des travaux consacrés à la dynamique de l'innovation en technologie médicale et aux mécanismes qui jouent sur l'intégration et la diffusion des technologies médicales. Il présente également un examen critique des études relatives aux instruments d'action utilisés dans plusieurs pays de l'OCDE pour favoriser l'intégration de technologies dans les systèmes de santé.

Introduction

La technologie¹ est un moteur de l'amélioration des résultats sanitaires. Tout au long du 20^e siècle, le progrès technologique a donné naissance à de nouvelles formes de soins médicaux qui ont contribué au prolongement de la vie humaine et à la diminution de la douleur, du risque pathologique et de l'invalidité. Parallèlement, les technologies sont un facteur important de dépenses et les modes de diffusion des technologies montrent que celles qui sont efficaces et efficientes ne sont pas toujours adoptées le plus rapidement (Greer, 1988 ; Cowan et Berkowitz, 1996 ; Davidson, 1995). Il n'est donc pas étonnant que les responsables politiques soient soumis à l'impératif de plus en plus pressant de gérer les impacts sociaux, sanitaires et économiques des technologies nouvelles et émergentes.

L'intégration efficace des technologies dans les systèmes de santé est complexe et laborieuse. Plusieurs milliers de décideurs influencent collectivement leur diffusion et leur assimilation, et les décisions en matière de diffusion conduisent directement à des décisions concernant la couverture, autrement dit, il faut déterminer qui sont les bénéficiaires des soins médicaux et à quelles conditions, décisions qui mobilisent toujours l'attention du public sur ces enjeux.

En outre, la médecine est un domaine très innovant. L'un des baromètres de l'évolution technologique est le nombre d'autorisations de nouveaux médicaments et dispositifs délivrées par la Food and Drug Administration (FDA) des Etats-Unis. En 2002, la FDA a approuvé quelque 78 nouvelles applications de médicaments et 152 indications élargies pour des technologies existantes. La FDA a également autorisé 34 nouveaux agents biologiques majeurs et 34 agents biotechnologiques sensiblement équivalents à des produits existants ainsi que 4 949 dispositifs nouveaux ou modifiés,

1. Dans ce contexte, le terme technologie est pris au sens large et englobe « les médicaments, les dispositifs, les protocoles médicaux ou chirurgicaux utilisés en soins médicaux ainsi que les systèmes d'organisation et d'aide dans lesquels sont dispensés ces soins » (Juzwishin *et al.*, 1996).

dont 41 nouveaux dispositifs majeurs. Ces autorisations s’ajoutent à de nombreuses améliorations apportées aux protocoles cliniques, non recensées dans les activités de la FDA. L’invention est une chose mais l’adoption en est une autre : les fruits du progrès médical subissent encore des transformations avant d’entrer sous leur forme finale et définitive dans le cabinet du médecin.

Ce chapitre traite de la dynamique des innovations médicales et identifie les principaux déterminants des changements technologiques dans le système de santé. Il étudie les forces et les faiblesses des instruments d’action utilisés pour gérer les progrès technologiques, et s’intéresse en particulier à l’évaluation des technologies médicales (ETM) et à l’analyse coût-efficacité. L’analyse tient compte des nombreux objectifs politiques des systèmes de santé communs aux pays Membres de l’OCDE. Ce chapitre est tiré de deux notes rédigées par des consultants, la première par le Dr. Clive Pritchard, Office of Health Economics, et la seconde par Annetine Gelijns, Lawrence Brown, Daniel Heitjan et Alan Moskowitz de l’université de Columbia.

La dynamique de l’innovation médicale

Pour comprendre les conséquences économiques de l’évolution technologique, il faut analyser les « mécanismes d’action » par lesquels ces technologies influent sur les dépenses de santé et les résultats globaux associés à leur utilisation (Gelijns, 1994). L’introduction de nouvelles technologies ou de technologies modifiées dans la pratique constitue la première étape de cette dynamique. Les décideurs doivent savoir si les inventions successives remplacent les approches diagnostiques et thérapeutiques existantes ou les complètent. Ils souhaitent aussi savoir si ces technologies permettent de réduire les coûts, sont sans effet sur ces derniers ou si elles sont rentables, et quelle est la population cible : quelle est l’ampleur de l’effet attendu ?

Les technologies ne sont pas créées dans les laboratoires de manière spontanée ; elles sont façonnées par la demande formulée par les acquéreurs. Par le passé, les caractéristiques du marché des soins de santé définissaient un environnement dans lequel les considérations de prix pesaient beaucoup moins sur l’adoption des nouvelles technologies que dans les domaines non médicaux. C’est pourquoi l’orientation des travaux axés sur ces améliorations était essentiellement impulsée par les décisions des spécialistes compétents concernant les performances cliniques des technologies. Les signaux adressés en retour par les utilisateurs au secteur de la R-D soulignaient souvent des défaillances en termes d’efficacité, de sécurité et de simplicité de mise en œuvre, tandis que la convergence avec les priorités sanitaires nationales ou la nécessité d’une réduction de coût étaient rarement évoquées. Cependant, plus récemment, ces signaux ont changé. L’importance croissante des considérations économiques dans les dépenses hospitalières et les choix cliniques favorisent explicitement les technologies permettant de réduire les coûts, ou, à tout le moins, les technologies présentant un rapport coût-efficacité raisonnable.

Les paragraphes suivants s’intéressent aux « mécanismes d’innovation » dans les domaines du diagnostic, des produits pharmaceutiques, des protocoles et des dispositifs. Ils examinent également les impacts médicaux et économiques de l’extension des indications après l’introduction des innovations dans le système de santé.

Innovation en technologies de diagnostic

L'imagerie et les marqueurs biologiques des maladies sont deux domaines de diagnostic où les avancées technologiques se poursuivent à un rythme soutenu.

Simple productrice à l'origine d'images planes, l'imagerie offre à présent des représentations en 3D de l'anatomie corporelle, qui permettent également des interprétations de l'activité physiologique. Il est probable que les améliorations apportées aux appareils d'imagerie, en particulier les analyseurs de tomographie à haute vitesse (par exemple pour le cancer du poumon), les appareils à ultrasons, l'imagerie par résonance magnétique (IRM) et la tomographie par émission de positons (TEP) se prolongeront dans l'avenir. Ces progrès cherchent à réduire la morbidité, à multiplier les informations collectées, et à réduire les coûts grâce à une production d'images plus rapide et de meilleure qualité.

Le développement de la cartographie du génome humain et chez d'autres espèces a ouvert la voie à de nouvelles technologies fondées sur la génétique qui permettent de définir quels patients, parmi un groupe d'individus présentant les mêmes symptômes devraient bénéficier d'un traitement. Ces développements technologiques visent à détecter les maladies au niveau cellulaire, avant qu'elles ne se manifestent à l'examen direct ou radiographique, et à prédire les résultats. Quel est l'impact de ces progrès en matière de diagnostic sur la demande de services de soins de santé, et donc sur l'économie des soins de santé ? On peut distinguer trois catégories.

Premièrement, l'identification précoce d'une maladie peut prévenir son apparition ou retarder son évolution. Ces avancées, susceptibles de retarder ou de prévenir les maladies graves, pourraient réduire l'utilisation des soins de santé et diminuer ainsi les coûts de traitement.

La deuxième catégorie est celle des technologies de diagnostic qui pourraient devancer nos connaissances en matière de pronostic ou de thérapie. Lorsque les progrès du diagnostic permettent une détection plus précoce de la maladie mais ne vont pas de pair avec des améliorations du traitement, la proportion globale de la population totale dans laquelle on a identifié une maladie augmente, de même que la demande de nouveaux tests diagnostics et traitements, dont beaucoup peuvent être inefficaces ou inefficients. Par exemple, le test de l'antigène spécifique de la prostate (PSA) peut potentiellement dépister des cancers de la prostate au stade précoce de la maladie. Toutefois, l'effet sur le prolongement de la vie des traitements du cancer de la prostate, tels que la radiothérapie et la chirurgie, n'a pas été démontré avec certitude. De plus, les effets secondaires associés au traitement, comme l'impuissance et l'incontinence peuvent être dévastateurs et coûteux (Olsen and Gotzsche, 2001 ; Horton, 2001 ; Barry, 2000). En l'absence de consensus sur le dépistage et le traitement, on constate des variations significatives entre les méthodes de traitement du cancer de la prostate aux Etats-Unis et en Europe. Les Américains ont plus fréquemment recours à de nouveaux tests, à une prostatectomie ou à une irradiation que certains Européens (Waymont, 1993).

Une troisième catégorie est issue des technologies qui donnent une information plus précise que les outils de diagnostic actuels et que l'on peut utiliser par la suite pour modifier les méthodes de traitements. Par exemple, on traite souvent les femmes atteintes d'un cancer du sein par la radiothérapie et la chimiothérapie (avec des risques et des effets secondaires importants) pour réduire l'occurrence des tumeurs secondaires, alors que l'on estime que 70-90 % des femmes ne souffriront d'aucune récurrence et n'ont aucun besoin de ces thérapies. Dans cet exemple, l'introduction des diagnostics géniques

pourrait prédire plus précisément une telle récurrence, et désigner par conséquent les femmes qui pourraient bénéficier de cette thérapie (He, 2001). L’application de cette technologie dans des essais à grande échelle réduirait sans aucun doute le coût des soins dispensés à cette cohorte de patientes, sans compter les avantages qui résulteraient de l’élimination des effets indésirables inutiles.

Innovation pharmaceutique

Traditionnellement, les produits pharmaceutiques sont plutôt ciblés sur les manifestations symptomatiques de la maladie. Les médicaments qui diminuent le taux de cholestérol et les agents anti-inflammatoires jouent sans conteste un rôle positif dans l’évolution des maladies vasculaires, à la fois en tant que mesures préventives primaires et secondaires, et constituent à présent la base de la thérapie des maladies coronariennes, cérébro-vasculaires et vasculaires périphériques. Ces thérapies sont généralement coûteuses et nécessitent un suivi à long terme, mais elles permettent de réduire l’invalidité et donc l’utilisation d’autres services de santé. En effet, selon une étude récente, l’utilisation d’un grand nombre de nouveaux médicaments tend à réduire la fréquence et la durée des hospitalisations, entraînant ainsi une baisse sensible des coûts dans d’autres secteurs du système de santé (Lichtenberg, 2001).

Dans le domaine pharmaceutique, le développement d’alternatives pharmacologiques aux interventions largement pratiquées, telles que le pontage coronarien, les prostatectomies transurétrales, et les cholécystectomies, suscite un intérêt croissant. Elles sont placées au rang des priorités de la R-D dans l’industrie pharmaceutique, de même que la recherche de solutions de remplacement pour les soins chroniques coûteux (par exemple, pour la maladie d’Alzheimer).

Les progrès en biologie moléculaire permettent de mieux adapter les médicaments aux différents patients. C’est le cas des nouvelles classes de médicaments destinés à retarder ou à prévenir le déclenchement des maladies dégénératives ou progressives, telles que la maladie d’Alzheimer ou la polyarthrite rhumatoïde. Ces innovations visent à augmenter la probabilité de réaction individuelle aux médicaments, et également de réduire le risque d’effets secondaires, mais ils pourraient soulever un certain nombre de difficultés liées au respect de la vie privée et à la discrimination (voir chapitre 8).

Les évolutions futures dans les domaines des médicaments sur mesure et des diagnostics basés sur la génétique (présentés ci-dessus) pourraient conduire à une certaine convergence des marchés des produits diagnostics et pharmaceutiques. Toutefois, si ces évolutions offrent des perspectives médicales avantageuses, elles risquent aussi de soulever de nombreuses questions relatives aux mécanismes d’autorisation, aux modifications de la délivrance des services et aux mécanismes de financement.

Innovation dans le domaine des protocoles et des dispositifs

La mortalité et la morbidité associées aux interventions chirurgicales ont chuté de façon spectaculaire ces dernières années. Les transplantations d’organes sont certes onéreuses, mais elles sont généralement efficaces en termes de coûts, et les restrictions naturelles liées à la disponibilité des organes en font un poste peu dispendieux dans le budget global de la santé. Or, une grande part des activités d’innovation porte sur l’assistance aux organes défaillants ou sur leur remplacement par des dispositifs artificiels. Récemment, on a constaté que des dispositifs d’assistance ventriculaire gauche (LVAD) amélioraient notablement la survie à un an par rapport à un traitement médical, et offraient également une meilleure qualité de vie (Rose, 2001). Même si ces

technologies peuvent se révéler rentables, (des études sont actuellement en cours à ce sujet), l'effectif de la population souffrant d'insuffisance cardiaque chronique pourrait en faire un poste budgétaire considérable. Les prothèses de la hanche et les autres appareillages orthopédiques n'ont pas d'incidence sur les taux de survie, mais jouent considérablement sur la qualité de la vie et la capacité fonctionnelle. En permettant aux individus de conserver leur mobilité et leur autonomie ils peuvent réduire l'utilisation d'autres services de soins. Par exemple, une ETM canadienne récente a montré que les patients ayant subi un accident vasculaire cérébral (AVC) et présentant une incapacité légère ou modérée, qui reçoivent des soins intégrés dans une unité d'urgence cérébro-vasculaire (unité AVC) ont plus de chances de survie, d'être indépendants et de vivre à domicile après une attaque que ceux qui reçoivent des soins dans une unité générale. L'étude révèle également, dans certains cas, une légère réduction des dépenses (Noorani *et al.*, 2003).

La chirurgie traditionnelle et d'autres domaines d'intervention cliniques semblent s'orienter principalement vers la thérapie à accès minimal. Les avancées technologiques en optique, en miniaturisation et en électronique transforment de nombreux actes chirurgicaux ouverts à visualisation directe en interventions à visualisation indirecte et à accès minimal. Si ces progrès ont souvent pour effet de réduire le coût par unité, ils peuvent aussi provoquer un accroissement de la demande : les patients en meilleure ou en moins bonne santé peuvent opter pour la thérapie dès lors que le protocole est devenu moins risqué et plus confortable.

L'impact économique des indications élargies

L'impact économique de la technologie dépend des modalités selon lesquelles la profession influence l'utilisation de ces technologies après leur introduction et de l'extension de leurs indications d'utilisation. La recherche a montré que l'utilisation de produits existants (par exemple, produits pharmaceutiques) pour de nouvelles indications est répandue, et constitue jusqu'à 40 % des ventes totales (Gelijns, 1998). Par exemple, on a découvert que l'aspirine, utilisée depuis plus d'un siècle pour soulager la douleur et diminuer la fièvre, avait des applications cardio-vasculaires importantes dues à son rôle récemment mis en évidence dans l'agrégation des plaquettes et l'inflammation vasculaire.

Une autre tendance courante est l'accroissement de la population de patients relevant d'une indication donnée. La cholécystectomie laparoscopique, l'une des formes les plus largement pratiquées de chirurgie laparoscopique dans les nations industrialisées en est un exemple frappant. Une étude, qui rend compte de l'expérience d'un grand réseau de soins coordonnés (HMO) dans la région de Philadelphie sur une période de cinq ans, a montré que 83 % des patients atteints d'une maladie de la vésicule biliaire avaient opté pour le protocole laparoscopique en 1992 (Legorreta, 1993). Selon cet HMO, le coût de l'opération avait diminué de 25 % pendant la période de l'enquête, mais les dépenses totales de l'HMO au titre d'actes de chirurgie de la vésicule biliaire avaient augmenté de 18 %, pour une simple raison : la réduction de 25 % du coût par patient était allée de pair avec une augmentation d'au moins 60 % du nombre d'ablations de la vésicule biliaire. En effet, ce protocole beaucoup moins invasif permet au médecin d'enlever la vésicule biliaire de patients pour lesquels, en raison de fragilités dues à l'âge ou de la coexistence d'autres facteurs de morbidité, le risque était considéré comme trop important pour l'opération à « incision ouverte » traditionnelle. De surcroît, le protocole laparoscopique est à l'origine d'une augmentation des cholécystectomies chez les patients plus jeunes dont les symptômes n'étaient que modérés.

On observe le même schéma pour le traitement de la dépression clinique par des inhibiteurs sélectifs du recaptage de la sérotonine (ISRS), qui représente un progrès majeur. Les ISRS ne sont pas significativement plus efficaces que les produits pharmaceutiques qu’ils remplacent, mais ils sont considérablement mieux tolérés. Les patients sont donc plus désireux de poursuivre leur thérapie, ce qui réduit les probabilités et la durée des récurrences. Parallèlement à cette évolution thérapeutique, la gamme des prestataires s’est étendue, la plupart d’entre eux étant étrangers au domaine psychiatrique, et ils ont fait bénéficier du traitement un groupe de patients jusqu’alors non pris en charge. La population sous traitement a ainsi augmenté, mais selon une récente analyse coûts-avantages, l’ampleur de la réduction de morbidité globale compense les dépenses (Frank, 1999). Toutefois, toute généralisation est délicate : l’extension de l’utilisation d’une technologie existante à une nouvelle population cible peut entraîner des coûts et des avantages différents, et de ce fait l’efficacité en termes de budget de soins de santé peut tout aussi bien chuter qu’augmenter.

Cette discussion met en évidence plusieurs thèmes. Tout d’abord, lors de leur introduction dans les pratiques médicales, les nouvelles technologies sont souvent assez mal connues. L’apprentissage en aval suscite de nombreuses améliorations, qui peuvent à leur tour entraîner des modifications de la technologie elle-même ou de ses applications. Ensuite, les changements technologiques peuvent à la fois réduire le coût par patient, améliorer la qualité et diminuer le risque pour les patients, ce qui accroît la population cible en termes d’utilisation et/ou de demande. De ce fait, les avancées technologiques qui augmentent l’efficacité ne s’accompagnent pas nécessairement d’économies pour les budgets de santé ou la société.

La valorisation des technologies suppose des efforts multiples, induits par des dynamiques différentes. L’élargissement des applications technologiques en médecine est rarement homogène, et les rythmes d’adoption et d’utilisation varient significativement entre des régions et des pays différents affichant un niveau de développement économique similaire. Quels sont, dans ce contexte, les outils disponibles pour gérer l’évolution technologique ?

Déterminants de l’assimilation et de la diffusion des technologies des soins de santé

Le taux de diffusion et le niveau d’assimilation des nouvelles technologies médicales dépendent des résultats combinés d’un grand nombre de décisions émanant de politiciens, d’administrateurs du domaine de la santé, de médecins et de patients, pour n’en citer que quelques-uns. Ces décisions sont généralement modelées par les environnements politiques, organisationnels et économiques. En effet, les décisions qui déterminent la diffusion et l’assimilation sont influencées par les paramètres suivants :

- *Niveau de revenu global* : le montant des fonds disponibles, c’est-à-dire le niveau global de revenus/taille du PIB et le budget des soins de santé.
- *Mécanismes de remboursement* : incitations financières proposées aux acquéreurs pour acheter, et aux prestataires - organismes et cliniciens individuels - pour adopter de nouvelles technologies, en particulier modes de financement et d’organisation des soins de santé, par exemple, la concurrence entre les prestataires.
- *Réglementation* : environnement réglementaire.
- *Déterminants comportementaux* : environnement comportementaux, organisationnels et culturels, par exemple le degré de liberté en matière de décisions au niveau

local (opposé à un contrôle central), le niveau de concurrence entre les établissements de soins ou l'impératif culturel selon lequel « plus c'est nouveau, mieux c'est » (opposé au conservatisme dans la prescription).

De surcroît, l'évaluation des technologies médicales associée à une planification fondée sur des données cliniques devra constituer un déterminant essentiel de la politique et de la pratique car son objectif est d'influencer le processus décisionnel par l'application de données de haute qualité et d'évaluation de ces données.

L'importance de certains de ces facteurs varie en fonction de la technologie considérée. Par exemple, alors que les médicaments et les dispositifs sont formellement réglementés afin de garantir leur innocuité et leur fonctionnalité, il n'en est pas de même pour toutes les technologies. De plus, les médicaments font le plus souvent l'objet d'une réglementation postérieure plus minutieuse que les autres technologies car ils sont considérés comme l'un des principaux facteurs de l'accroissement des dépenses de santé. Les médicaments ont plus souvent fait l'objet d'évaluations économiques que les autres technologies.

Niveaux de revenu global

De nombreux ouvrages ont été consacrés au lien entre revenu (généralement par le biais du PIB par habitant), dépenses de santé et assimilation et diffusion des technologies médicales. Les économistes qualifient parfois les soins de santé de *biens de luxe*, considérant que les sociétés acceptent de dépenser proportionnellement davantage pour ces biens lorsque leurs revenus augmentent.

Dans une étude qui s'appuie sur des données collectées entre 1975 et 1995, Slade et Anderson (2001) cherchent à déterminer pourquoi les pays les plus riches adoptent plus précocement les nouvelles technologies et si les différences de vitesses de diffusion perdurent à terme. Ils analysent le modèle de diffusion de cinq nouvelles technologies dans les pays de l'OCDE et mettent en évidence une relation positive entre le revenu national et le niveau et la vitesse de diffusion technologique. Les pays à revenus plus élevés ont adopté les nouvelles technologies plus tôt, mais après une période initiale de diffusion rapide, les variations entre pays se sont atténuées. A cela quelques explications possibles : 1) dans les pays où les revenus sont plus faibles, les autorités de réglementation sont davantage incitées à limiter la vitesse de diffusion de nouvelles technologies médicales coûteuses, et 2) la probabilité d'inventer et de produire des technologies médicales coûteuses est plus élevée dans les pays à revenus élevés, avec un effet lié à la localisation de la production initiale.

Lázaro et Fitch (1995) ont tenté d'expliquer les différences de taux de diffusion par des mesures globales du PBI et des dépenses de santé par habitant. Grâce à une régression linéaire, les auteurs ont mis en évidence une corrélation significative entre le PIB par habitant et les unités par millions de personnes (pmp) d'appareils de tomodensitométrie, d'appareils d'imagerie de résonance magnétique, d'accélérateurs linéaires et d'unités de radiothérapie. Ils ont corrélé les dépenses de santé par habitant avec le niveau de diffusion de toutes ces technologies, à l'exclusion des appareils de tomodensitométrie (cette technologie montrait cependant également une forte corrélation après exclusion d'un cas aberrant, le Japon). Néanmoins, aucune relation n'a été observée entre les dépenses de santé et le niveau de diffusion des litotriteurs à ondes de choc extracorporels et des unités au cobalt.

L’étude a également montré qu’il n’y avait aucune corrélation entre la diffusion de la technologie et le nombre de médecins par habitant. Une variation significative entre les modèles de diffusion de technologies reste inexpliquée, même après prise en compte des différences épidémiologiques.

Si le revenu global et les dépenses de santé totales expliquent certains aspects de la diffusion des technologies, ils échappent cependant au contrôle de la plupart des responsables politiques du secteur de la santé, et même si l’on parvenait à contrôler les dépenses de santé totales, un instrument d’action aussi rudimentaire ne pourrait garantir la diffusion des technologies les plus efficaces et les plus efficaces.

Mécanismes de remboursement

Les différents types de dispositifs de remboursement peuvent avoir une influence considérable sur les incitations à assimiler et diffuser les technologies. Ces incitations peuvent encourager les prestataires, les patients et les établissements de soins à utiliser les technologies médicales ou au contraire les en dissuader. La plupart des données sur l’impact des différents dispositifs de remboursement proviennent des Etats-Unis, car ce pays offre l’exemple d’une expérience naturelle de méthodes très diverses pour ce qui est du paiement des soins de santé.

Romeo *et al.* (1984) ont mené une des premières études de l’impact des systèmes de paiements prospectifs² sur la décision par les hôpitaux d’adopter de nouvelles technologies dites « peu coûteuses ». Ils comparent les décisions prises dans trois états des Etats-Unis disposant de systèmes de paiements prospectifs et dans trois autres qui en sont dépourvus. Après avoir étudié les taux d’adoption de cinq technologies ils ont constaté que de faibles niveaux de paiements prospectifs (en termes de profits hospitaliers) exerçaient un effet négatif sur l’adoption des trois technologies augmentant les coûts. Une telle situation avait néanmoins un impact positif sur la probabilité d’adoption de l’une des deux technologies susceptibles de réduire les coûts. L’étude a par conséquent démontré que le remboursement prospectif pouvait accélérer ou ralentir l’adoption, mais que son impact variait en fonction de l’effet de la technologie sur les coûts et du taux de remboursement fixé. Halm et Gelijns (1991) ont signalé que dans le cadre du programme Medicare, la couverture pour l’intégration d’une technologie soumise au système des paiements prospectifs et la diffusion de cette technologie pouvaient dépendre de façon déterminante du groupe homogène de malades (GHM) auquel est affectée la technologie. Toute différence entre le taux de remboursement dans le cadre du GHM et le coût d’application de la technologie incitera ou découragera l’utilisation de la technologie. Les auteurs ont montré que l’angioplastie coronarienne transluminale percutanée (ACTP) avait été affectée initialement à un GHM chirurgical, ce qui assurait un niveau de remboursement plus élevé que le coût de l’intervention et avait encouragé son adoption. En revanche, les implants cochléaires étaient remboursés à un tarif inférieur au coût du dispositif, ce qui explique une diffusion considérée comme insuffisante et « des effets indésirables sur les investissements ultérieurs en R-D ».

2. Les systèmes de paiements prospectifs fixent un tarif par cas selon les conditions médicales diagnostiquées et des coûts de traitement standardisés. Le système le mieux connu est celui des groupes homogène de malades (GHM) en vertu duquel le patient est affecté à un groupe à son entrée à l’hôpital et le prestataire reçoit une somme globale pour le traitement. (Docteur et Oxley, 2003).

Dans le même ordre d'idée, Ikegami (1988) s'est intéressé au taux initial relativement élevé de remboursement destiné à promouvoir la dialyse rénale au Japon : il attribue principalement la diffusion rapide de cette technologie à l'effet d'un taux de remboursement relativement généreux.

Hirth *et al.* (2000) ont voulu déterminer si les changements technologiques pourraient permettre des économies par le biais de la reconfiguration des services concernés. L'étude a passé en revue les équipements de dialyse qui utilisaient des technologies améliorant la qualité, mais augmentant les coûts, et a cherché à savoir si les établissements avaient mis en place les stratégies d'économie rendues possibles par l'introduction des nouvelles technologies. Les mesures d'économies de coûts qu'ils ont recensées étaient les suivantes : 1) possibilité accrue de réutilisation des membranes de dialyseur des équipements, 2) réduction du personnel par patient en équivalent plein temps et 3) évolution vers du personnel moins qualifié.

L'analyse transnationale effectuée par Slade et Anderson (2001), évoquée précédemment, portait également sur l'effet du système de remboursement sur le taux de diffusion des technologies. En comparant les taux de diffusion des technologies avec le type de mécanisme de remboursement hospitalier, ils ont découvert que les transplantations de foie, les transplantations de reins et les hémodialyses étaient proposées plus souvent dans un contexte de paiement par subvention globale que dans le cas d'un système de paiement à l'acte.

Les modes de remboursement semblent avoir des répercussions sur la diffusion. Les systèmes de paiements prospectifs peuvent freiner l'utilisation des technologies, mais les interactions sont en fait plus complexes car l'utilisation de technologies particulière peut être encouragée (ou découragée) en fonction du taux de paiement prospectif par rapport au coût de la technologie.

Les enveloppes budgétaires au niveau national, régional ou hospitalier imposent explicitement aux décideurs de choisir entre les technologies. Par exemple, au Royaume-Uni, où les décisions sur les dépenses en infrastructure sont prises au niveau régional, les administrateurs du National Health Service (NHS) peuvent avoir à arbitrer entre l'achat d'une IRM pour un ou deux grands centres ou des équipements de mammographie, par exemple, pour sept hôpitaux de district. Ils peuvent aussi avoir à procéder à des arbitrages entre des technologies diagnostiques et thérapeutiques, qui ralentissent la vitesse globale de diffusion des technologies.

Les contraintes budgétaires qui pèsent sur le rythme général de diffusion des technologies onéreuses n'incitent pas nécessairement à choisir les technologies les plus efficaces ou les plus rentables. Dans un régime déterminé, l'information sur l'efficacité relative et les coûts des interventions médicales est une condition préalable à l'affectation rationnelle des ressources, et cette information détaillée n'est souvent pas disponible (Williams, 1992).

Dans le passé, ce sont souvent les groupements médicaux et professionnels qui ont dirigé le système en fonction de leur conception de l'efficacité de la technologie en termes de résultats, sans tenir compte explicitement des coûts. En revanche, les problèmes de coûts ont été laissés à la compétence des administrateurs dans les hôpitaux ou à celle d'autres autorités sanitaires, qui, disposant de trop peu d'informations, semblent prendre des décisions arbitraires pour tenter d'équilibrer les budgets fixés par les autorités publiques. Les systèmes de santé ont récemment investi dans le renforcement des fonctions d'analyse afin d'assurer une meilleure synergie entre ces deux paramètres de

décision (efficacité et coûts) ; par exemple, le Royaume-Uni a créé le National Institute for Clinical Excellence (NICE) qui prodigue des recommandations au NHS sur l’utilisation de traitements particuliers.

Réglementation

Il est largement admis que les différences qui caractérisent les dispositifs réglementaires dans les différentes parties du monde expliquent parfois pourquoi l’accès aux nouveaux médicaments est plus rapide dans certains pays que dans d’autres (PICTF, 2001). Cette section analyse comment les pays de l’OCDE utilisent des outils de planification et de réglementation pour dispenser, limiter ou répartir les technologies médicales disponibles après autorisation. Par exemple, dans de nombreux pays Membres de l’OCDE les hôpitaux sont tenus d’obtenir une licence publique pour les dispositifs et les protocoles coûteux. Ces mécanismes de planification concernent principalement les interventions de haute technologie, mais sont également utilisés pour la planification des équipements et de la main-d’œuvre.

Les incidences de la législation relative aux certificats de nécessité (CDN), qui est du ressort des Etats aux Etats-Unis, sur la diffusion des technologies médicales ont fait l’objet d’études approfondies. Les lois CDN exigent que les hôpitaux fournissent la preuve de leurs besoins aux organismes de planification de l’Etat pour obtenir une autorisation de remboursement. Elles ont permis aux organismes de planification des différents Etats de refuser aux hôpitaux le remboursement de dépenses en infrastructure lourde, sauf à en reconnaître le réel besoin dans les services concernés (OTA, 1986). Bryce et Cline (1998) relatent que les exigences en matière de CDN ont limité le nombre des lithotriteurs à cinq unités en Pennsylvanie jusqu’en 1986, année au cours de laquelle une modification de la législation a levé la restriction. Le nombre de machines disponibles a ensuite plus que doublé entre 1988 et 1994, avec une augmentation des actes de 40 %. Des effets similaires ont été observés dans le cas des laboratoires de cathétérisation cardiaque et des machines d’imagerie par résonance magnétique (IRM).

Selon un rapport de l’OTA (Office of Technology Assessment) (OTA, 1986) concernant l’impact de la législation relative aux CDN sur la diffusion des lithotriteurs à ondes de choc extracorporels, l’application variable de ces réglementations selon les Etats a atténué leur impact. Quelques Etats ont activement utilisé leur autorité pour refuser l’utilisation de certaines technologies alors que d’autres étaient moins restrictifs. Dans certains cas, il n’y avait pas de législation de ce type. Le rapport souligne que globalement aux Etats-Unis, les régulations en matière de certificat de nécessité n’ont pas suffi à restreindre la diffusion à un niveau généralement considéré comme adéquat. Cela pourrait s’expliquer par la large intégration des technologies dans les établissements de soins échappant à la législation des Etats en matière de CDN, et la possibilité pour les patients d’être traités en dehors de leur Etat de résidence.

Hormis aux Etats-Unis, peu d’informations sont disponibles sur l’impact des contrôles réglementaires sur la diffusion des technologies. Toutefois, Wild (2000) a étudié le rôle du Fonds de coopération hospitalière (*Krankenanstalten-Zusammenarbeitsfonds*, KRAZAF) en Autriche. Jusqu’en 1996, cet organisme était responsable de la réglementation et de l’acquisition des appareils médicaux onéreux. L’auteur note que l’utilisation des grandes machines, en particulier, celles en rapport avec l’imagerie diagnostique dans les hôpitaux, a augmenté après les recommandations formulées dans deux études du KRAZAF. Cependant, l’organisme n’a pas été en mesure de restreindre la diffusion rapide de ces technologies dans le secteur privé au-delà des niveaux

recommandés par le KRAZAF ; en fait, les assureurs privilégient la médecine de haute technologie et dans certains cas, des appareils de grandes dimensions ont été acquis pour des raisons de concurrence et de prestige.

Les outils de planification peuvent influencer sur la répartition géographique des services médicaux, en particulier dans le cas des technologies nécessitant un investissement important - parfois désignées par « articles coûteux ». Toutefois, ce sont les « articles peu coûteux » (technologies exigeant de faibles investissements) qui absorbent l'essentiel du budget des soins de santé, et leur utilisation n'est pas sensiblement affectée par les outils de planification. C'est pourquoi on considère souvent les contrôles réglementaires comme un outil puissant, mais sommaire, (nécessaire mais insuffisant) d'affectation rationnelle des technologies. On s'oriente par conséquent vers des méthodes complémentaires pour intégrer efficacement les technologies.

Déterminants comportementaux

Les travaux de Rogers (par exemple, Rogers, 1995) s'attachent à définir l'interaction entre les individus et les organisations pour expliquer comment se diffusent les innovations à l'intérieur des systèmes sociaux. Rogers constate que, même dans des champs d'activités économiques très divers, la diffusion s'opère habituellement selon un modèle en S (Figure 2.1), en vertu duquel quelques innovateurs adoptent l'innovation en premier, suivis d'un groupe de leaders d'opinion dans leur domaine qui l'adoptent précocement. Le rythme d'adoption décolle lorsqu'il y a communication entre ces leaders d'opinion et leurs pairs. Les connaissances acquises par ce canal influeraient davantage sur les décisions d'adoption que l'examen des données scientifiques. Les différences de vitesses de diffusion peuvent partiellement s'expliquer par les caractéristiques perçues de l'innovation, lesquelles sont déterminées par les réponses aux questions suivantes :

- Avantage relatif : est-il supérieur à la pratique actuelle ?
- Compatibilité : est-elle similaire à l'expérience ou aux croyances et aux valeurs acquises ?
- Complexité : est-elle relativement difficile à comprendre ?
- « Aptitude aux tests » : se prête-t-elle à une utilisation expérimentale par un individu ?

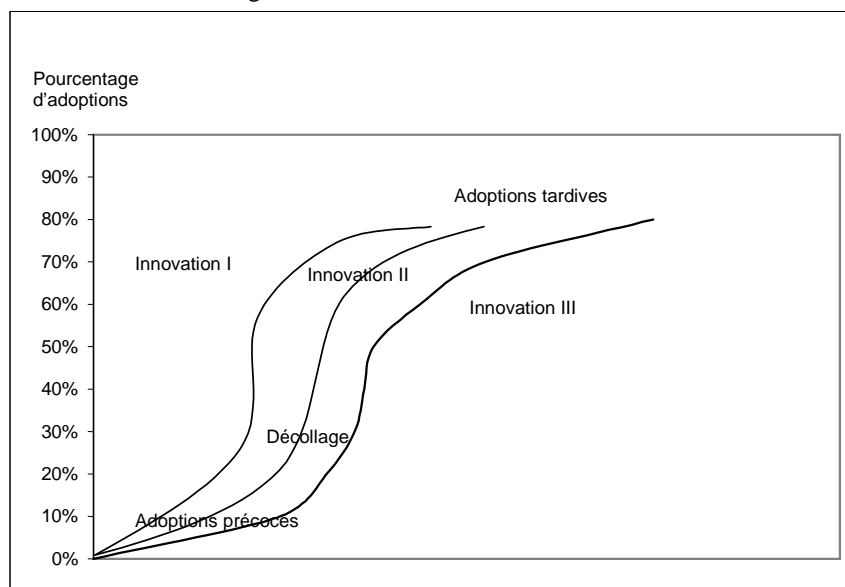
Greer (1988) corrobore dans une certaine mesure la dynamique décrite par Rogers. Dans toutes les communautés étudiées, Greer a pu identifier des innovateurs. Ils se comportent fréquemment comme « les champions d'une idée » en promouvant activement l'adoption d'une nouvelle technologie. A ce stade, le rôle du leader d'opinion reconnu pour ses compétences à évaluer la nouvelle technologie est important pour élaborer un consensus autour de son adoption. Ces acteurs locaux semblent déterminants pour le procédé de diffusion, et les sources de données externes, sous forme, par exemple, de littérature scientifique peuvent difficilement modifier les comportements médicaux. Dans de nombreux pays, les leaders d'opinion cliniques participent à l'évaluation et à l'appréciation des technologies liées à la santé, ainsi qu'à la propagation des résultats d'ETM.

Ketley et Woods (1993) ont constaté que l'implication des cliniciens dans les essais d'une technologie est importante lors des décisions d'adoption. Par exemple, des études ont montré que la thérapie thrombolytique réduisait la mortalité après infarctus

myocardique aigu (IMA). Après publication des résultats des essais, l’utilisation de la thérapie thrombolytique, faible au départ, a augmenté pendant plusieurs années, mais dans certaines régions, le taux d’utilisation pour 1000 patients admis avec un IMA était deux fois plus élevé. Cette différence a été étroitement corrélée à la participation préalable des régions à des essais multicentres de thrombolyse. En effet, 64 % des écarts entre régions ont pu être expliqués par leur participation à des essais dans les deux années précédentes.

Plusieurs autres études ont relevé le modèle de diffusion en S, notamment les travaux de Sillup (1992) et Hillman et Schwartz (1985).

Figure 2.1. Courbes de diffusion en S



Source : Rogers (1995).

Teplensky *et al.* (1995) ont cherché à expliquer les taux de diffusion de l’IRM par le comportement au niveau de l’organisation individuelle. A partir de données portant sur les unités d’IRM détenues ou installées dans les hôpitaux à la fin de 1998, et celles d’un échantillon d’hôpitaux n’en possédant pas, les auteurs ont établi que les facteurs principaux jouant sur le comportement d’adoption étaient l’importance accordée par un hôpital à la position de leader technologique, le poids des services cliniques utilisant l’IRM, et l’évolution des revenus censés résulter de l’adoption de l’IRM. L’ampleur de la rivalité entre spécialités est un aspect du comportement du prestataire qui n’a pas été pris en compte. Gelijns et Rosenberg (1994) considèrent cependant que ce facteur influe fortement sur la promotion des changements technologiques, en particulier dans les contextes impliquant des spécialités médicales différentes.

Déterminants organisationnels

Des études ont été consacrées à un certain nombre de facteurs agissant sur la diffusion de la technologie qui sont liés à l’organisation des soins de santé, par exemple le degré de concurrence entre prestataires et hôpitaux. Certaines études ont également pris en compte les effets de la taille, de la localisation, du statut (public ou privé) des hôpitaux et de l’affiliation ou non de l’hôpital à une école de médecine. Il ressort de l’étude de Romeo *et al.* (1984) que l’adoption d’une technologie est plus probable dans les hôpitaux de plus

grande taille et dans les hôpitaux universitaires, tandis que ni le statut d'établissement public ou privé ni le degré de concurrence entre hôpitaux et prestataires ne semblent être à l'origine de différences nettes.

L'étude sur les équipements de dialyse de Hirth *et al.* (2000) révèle que moins les marchés sont compétitifs, moins ils utilisent de nouvelles technologies. Ces observations sont confirmées par celles de Bryce et Cline (1998) en Pennsylvanie. Ceux-ci déclarent que « la concurrence entre hôpitaux se situe, en partie, au niveau de l'acquisition des technologies afin d'attirer et de retenir les médecins et leurs patients », avec pour résultat, par exemple, « une pléthore de laboratoires de cathétérisation cardiaque ».

Hill et Wolfe (1997) ont étudié l'effet de la formule des soins coordonnés.³ Ils révèlent que deux ans après la mise en place d'une filière de soins coordonnés (HMO) dans l'Etat du Wisconsin, trois hôpitaux d'une même région ont décidé de coopérer pour l'achat d'un équipement d'IRM. La construction partagée d'un équipement d'IRM a réduit les coûts et augmenté les chances d'obtention du CDN. Les auteurs estiment que si la concurrence administrée peut certes réduire les dépenses en nouveaux équipements, les résultats sont mitigés. Il semble que si le pourcentage de personnes affiliées à un réseau de HMO est élevé, la diffusion des technologies dans les installations de soins ambulatoires est plus faible. Toutefois, l'affiliation à des HMO n'a guère d'impact sur les taux de diffusion des technologies dans les hôpitaux.

Les réformes visant à séparer les acheteurs des prestataires mises en œuvre par le National Health Service au Royaume-Uni au début des années 90 fait jouer la concurrence entre les prestataires pour passer des contrats avec les acheteurs. L'introduction de contrats entre acheteurs et prestataires, a, selon Rosen et Mays (1998a), permis de recourir à des incitations financières destinées à s'assurer que la diffusion était basée sur des données cliniques. Les auteurs font valoir cependant que la plupart des contrats étaient « trop rudimentaires pour influencer l'innovation technologique ».

Ces mêmes auteurs (Rosen et Mays, 1998b) ont interrogé des intervenants impliqués dans l'introduction de trois technologies faisant l'objet d'une étude de cas dans trois hôpitaux. Ces entretiens ont révélé que dans un seul des neuf exemples une nouvelle technologie avait été introduite sous l'impulsion d'un acheteur. Les auteurs ont conclu que les acheteurs n'ont qu'un rôle limité dans le processus décisionnel lorsqu'ils ne disposent pas de financement supplémentaire, situation qui, selon eux, est similaire à celle qui prévalait avant les réformes de 1991.

Des études montrent que si la diffusion de certaines technologies suit une courbe en S comme le prévoit un modèle mathématique, cela n'explique pas les différences temporelles ou géographiques des taux de diffusion. Une diffusion plus large semble associée à la taille de l'hôpital et à son statut universitaire. Toutefois, là encore, les données relatives aux caractéristiques du prestataire ne sont pas très claires. De la même manière, si la séparation entre acheteur et prestataire incite plus largement à l'acquisition efficace des technologies, l'absence d'informations détaillées sur lesquelles fonder les décisions, et la non-disponibilité de financement supplémentaire risquent d'enrayer ces évolutions.

3. On peut définir les soins coordonnés comme l'ensemble des activités cliniques, financières et organisationnelles destinées à garantir que des services de soins de santé appropriés seront administrés selon des critères de rentabilité. Les techniques de soins coordonnés sont le plus souvent adoptées par des organismes et des professionnels qui prennent en charge un risque pour une population définie (par exemple, les organismes de soins coordonnés, HMO) (Docteur and Oxley, 2003).

L’ETM et l’évaluation économique dans le processus décisionnel

L’impact des ETM

Un facteur qui transcende la classification des moyens d’action présentés ici est l’ETM. Comme il est indiqué dans le chapitre 1, l’ETM permet de prendre des décisions informées dans le domaine de la diffusion et de l’intégration des technologies. En principe, les activités d’ETM, malgré leur introduction relativement récente dans l’environnement décisionnel, pourraient jouer un rôle significatif dans l’adoption et la diffusion des technologies médicales.

La non-concordance entre données probantes et pratique clinique est une source de préoccupation pour la communauté de la médecine factuelle (Haynes *et al.*, 1997). On peut citer plusieurs exemples de technologies dont la diffusion a été rapide avant que ne soient disponibles des preuves fiables de leur efficacité et de leur rentabilité ; la tomodensitométrie en est un exemple (Drummond et Weatherly, 2000). Une étude récente portant sur les initiatives d’ETM dans l’Union Européenne a conclu qu’« il était largement reconnu que les cliniciens n’ont pas réellement modifié leur pratique pour se conformer aux résultats d’ETM » (Banta et Oortwijn, 2000).

Plusieurs études fondées sur des entretiens ont été engagées pour examiner les processus décisionnels au niveau des prestataires de soins individuels. Juzwishin *et al.* (1996) résumant quatre de ces études et concluent que si un grand nombre de personnes interrogées ont déclaré que des évaluations avaient été menées dans leur hôpital, un nombre beaucoup plus faible ont indiqué avoir utilisé cette information lors des acquisitions ultérieures, en partie faute des structures organisationnelles requises pour entreprendre des ETM et du fait de l’absence de critères explicites sur lesquels fonder les processus décisionnels ; ces processus étaient décrits comme « politiques », « informels », ou « ad hoc ».

Cependant, selon d’autres études, l’ETM a une influence dans certains cas. Par exemple, Jacob et McGregor (1997) ont mesuré l’effet de 16 rapports d’évaluation de technologies médicales sur des décisions des pouvoirs publics (à savoir, le nombre de réglementations proposées, adoptées et appliquées) et en ont conclu que 12 de ces rapports avaient eu un impact considérable.

Une enquête réalisée en Suède a mis en évidence des changements dans la pratique liés à des recommandations d’ETM dans six des sept domaines étudiés, bien que les auteurs (Britton et Jonsson, 2002) reconnaissent que l’impact de l’ETM dépend d’un ensemble de circonstances, en particulier le niveau d’acceptation des recommandations d’ETM par les parties prenantes, le niveau de pénétration des rapports d’ETM, l’opportunité du rapport au regard de la décision à prendre, les caractéristiques de la technologie et la concordance entre les incitations propres au système de soins de santé et les recommandations de l’ETM.

Au Québec, Battista *et al.* (1999) ont examiné les relations entre le Conseil d’évaluation des technologies médicales (CETS) du Québec et le processus décisionnel. Ils ont constaté qu’un rapport du CETS sur le dépistage du cancer de la prostate avait donné lieu à l’élaboration de directives cliniques et « avait permis au Ministère de la santé et des services sociaux de s’abstenir de lancer un programme de dépistage à l’échelle de la province ».

En Alberta, Hailey *et al.* (2000) ont décrit l'impact de plusieurs rapports d'ETM rapide (« Technotes ») établis pour répondre à des demandes spécifiques du Ministère de la santé ou des autorités sanitaires de la province. Les questions abordées dans le rapport concernaient l'orientation éventuelle des patients vers un traitement dispensé à l'extérieur de la province, les arguments en faveur de l'introduction d'une nouvelle technologie, l'acquisition de pièces d'équipement particulières et le bien-fondé de la pratique clinique existante. A partir d'entretiens avec les requérants et de réponses écrites, les auteurs ont conclu que 14 des 20 rapports avaient influencé d'une manière ou d'une autre la prise de décision.

Ces observations sont analogues à celles présentées dans une précédente étude de Hailey (1993) portant sur l'impact des évaluations détaillées réalisées sur 26 technologies par des conseils consultatifs australiens, et surtout le National Health Technology Advisory Panel (NHTAP). Hailey confirme leur influence sur les décisions dans 17 cas et démontre une influence sur la pratique pour au moins 11 technologies. Pour huit d'entre elles, l'ETM semble avoir eu une influence majeure à la fois sur la décision et sur la pratique.

Au Royaume-Uni, le Ministère de la santé a financé la publication d'une série de rapports intitulés « Bulletins de soins de santé efficaces », qui résument des données cliniques à l'usage des décideurs dans le domaine des soins de santé. D'après une évaluation de l'impact du bulletin sur le traitement de l'otite moyenne adhésive persistante chez l'enfant, Mason *et al.* (2001) ont estimé que dans les quatre années qui ont suivi la parution du bulletin, le nombre d'interventions avait diminué de 89 800 par rapport à ce qui était attendu.

Au cours de la dernière décennie, l'analyse coût-efficacité est devenue l'un des critères de décision pour les responsables politiques dans de nombreux pays. Elle sert habituellement à décider s'il convient d'inscrire un nouveau médicament sur la liste des médicaments remboursés par le secteur public. Comme il faut s'attendre à ce que l'utilisation d'un médicament dépende étroitement de l'obligation ou non pour les patients d'en assumer le coût, l'effet de cette forme d'ETM sur la diffusion des produits pharmaceutiques devrait être plus facile à cerner que, par exemple, celui des directives cliniques, ce qui est sans aucun doute le cas lorsque le remboursement public a été refusé. Par exemple Anis et Gagnon (2000) signalent que 65 des 88 soumissions aux autorités en Colombie britannique entre janvier 1996 et avril 1999 ont été rejetées.

Cependant, comme le fait observer Menon (2001), les médicaments qui ne sont pas inscrits sur la liste dans une province peuvent être disponibles dans une autre, et malgré les restrictions imposées au remboursement et d'autres mesures de limitation des coûts, les dépenses consacrées aux médicaments au Canada ne cessent d'augmenter. De même, en Australie, où le critère de rentabilité économique a été introduit pour la première fois, Birkett *et al.* (2001) estiment que les coûts des médicaments continuent de s'accroître à une vitesse potentiellement « insoutenable à long terme ». L'effet global sur la diffusion des technologies pharmaceutiques reste par conséquent incertain. On peut utiliser les données d'analyse coût-efficacité non seulement pour restreindre l'accès aux médicaments ou à d'autres technologies, mais également pour étayer une recommandation positive en faveur d'une technologie, comme l'ont montré certaines décisions prises par le National Institute for Clinical Excellence (NICE) au Royaume-Uni. En mai 2004, le NICE publiera une évaluation de l'effet de ses conseils sur

l’utilisation, en Angleterre et au pays de Galles, des technologies médicales, qu’il a examinées entre 2000 et 2003⁴.

Pour résumer, l’utilisation d’ETM dans les organismes de soins de santé individuels est avérée, mais comme les activités d’évaluation formelles au niveau national ou local sont une pratique relativement récente, les faits attestant l’influence des ETM sur le comportement clinique sont très limités. On déplore fréquemment que l’ETM ne semble avoir eu qu’un impact relativement mineur sur les décisions. Toutefois, certaines études ont montré que la réalisation d’ETM formelle peut favoriser des changements dans la pratique pour des technologies particulières. Cet aspect est de mieux en mieux pris en compte par les décideurs et les producteurs d’évaluation de technologies médicales. Par exemple, la société de Health Technology Assessment International (HTAi) consacra une grande partie de ses travaux au problème de la diffusion et de l’impact des ETM sur les politiques générales et la pratique à l’occasion de sa première conférence qui se tiendra à Cracovie, Pologne.

Utilisation et limites de l’évaluation économique

Aujourd’hui, les décisions s’appuient davantage sur des données d’efficacité et de rentabilité. Par exemple, en Australie, les « promoteurs de médicaments » doivent fournir des données d’analyse coût-efficacité pour obtenir l’autorisation de remboursement public d’un nouveau médicament. Au Canada, à l’exception du Québec, tous les systèmes de remboursement des médicaments financés par le secteur public sont soumis à un programme commun d’évaluation des médicaments (PCEM). Dans le cadre du PCEM les recommandations concernant la liste commune des médicaments s’appuient sur des études cliniques et pharmaco-économiques. Les responsables des « programmes de médicaments » prennent leurs propres décisions d’inscription d’après ces recommandations et d’autres facteurs, notamment le mandat, les priorités et les ressources du programme.

L’analyse coût-efficacité compare les coûts et l’efficacité de traitements différents (par exemple, technologie A et technologie B). Le niveau d’efficacité peut être mesuré sur la base notamment du « nombre d’années de vie sauvées » ou du « nombre de cas évités ». Cette analyse peut aussi inclure une mesure de la morbidité dans le niveau d’efficacité, en utilisant « les années de vie corrigées de la qualité » (QALY) comme mesure des résultats.

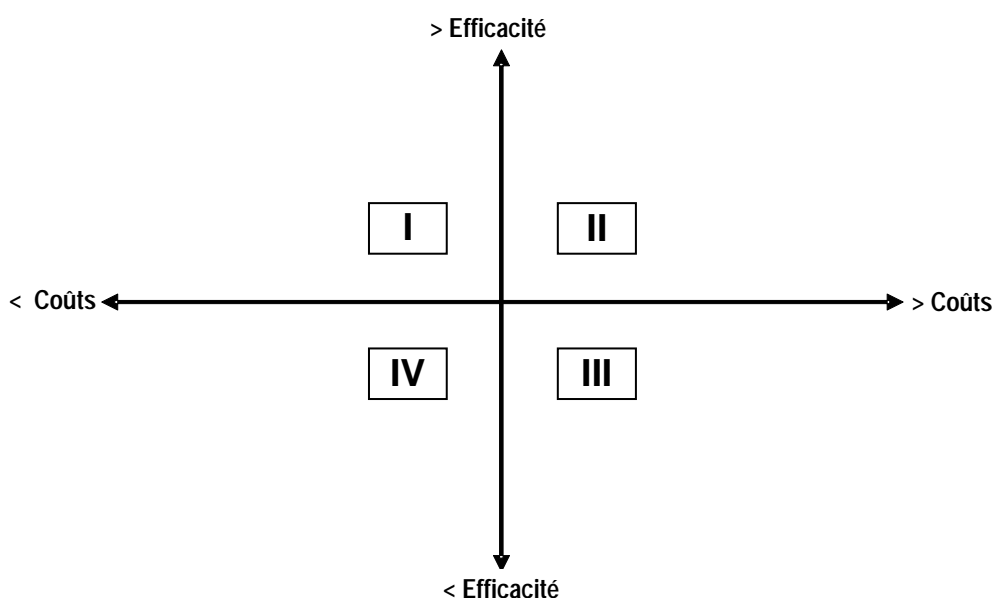
Les résultats de l’analyse sont présentés sous forme d’un ratio. Le numérateur correspond à l’efficacité marginale de la technologie A par rapport à la technologie B. Le dénominateur correspond aux coûts marginaux de la technologie A par rapport à la technologie B. Les résultats d’une analyse coût-efficacité peuvent être reportés sur le diagramme coût-efficacité présenté à la figure 2.2. L’interprétation du résultat d’analyse coût-efficacité situé dans le quadrant I montre que la technologie A a un niveau d’efficacité plus élevé à un moindre coût que la technologie B. Dans le quadrant II, l’efficacité de la technologie A est plus élevée, mais ses coûts le sont également. Dans le quadrant III, la technologie A est plus onéreuse, mais moins efficace, et dans le quadrant IV, la technologie A est moins coûteuse et moins efficace que la technologie B.

4. Le rapport est disponible sur le site internet de NICE : www.nice.org.uk

Pour le responsable désireux d'étayer ses décisions sur une évaluation économique, le résultat d'analyse coût-efficacité situé dans le quadrant I est tout à fait parlant ; en effet, il serait souhaitable d'appliquer une technologie à la fois plus efficace et moins coûteuse. Le quadrant III donne également des indications simples ; il n'est pas souhaitable de mettre en place une technologie moins efficace et plus coûteuse. Le quadrant IV exigera du décideur qu'il sacrifie l'efficacité au profit d'une réduction des coûts, et de nombreux décideurs n'y sont pas prêts.

Le résultat affiché dans le quadrant II impose aux décideurs de s'interroger sur le montant supplémentaire de dépenses qu'ils sont prêts à consentir pour une efficacité accrue. On comprend aisément pourquoi ce cas complique les décisions politiques. Les responsables sont tenus de faire preuve de transparence dans leurs choix quant à la valeur qu'ils accordent aux avantages supplémentaires, sur le plan médical, choix qui impliquent parfois des décisions de vie ou de mort.

Figure 2.2. **Diagramme coût-efficacité**



L'analyse coût-efficacité peut aussi servir à hiérarchiser les priorités. En classant tout d'abord tous les traitements selon leur rapport coût-efficacité (voir tableau 2.1), puis en commençant par celui dont le coût par unité de résultat est le plus faible, les utilisateurs qui paient peuvent parcourir la liste jusqu'à ce que leurs budgets de santé soient épuisés. Toutefois, réaliser un consensus social sur ces types de classements, qui englobent un large éventail d'interventions, tels que les vaccins infantiles, les prothèses de hanche et les transplantations de foie, soulèverait d'énormes difficultés, et pourrait favoriser l'apparition de dissensions politiques en opposant l'intérêt des jeunes à celui des personnes âgées, dont la capacité intrinsèque de bénéficier des interventions (l'espérance de vie) est moindre. En outre, ces catégories et d'autres groupes d'individus sont organisés pour défendre leurs préférences et leurs besoins au niveau politique et pour protéger leurs intérêts contre les tentatives visant à les reléguer à des niveaux de priorités inférieurs. Les rapports coût-efficacité peuvent être un puissant outil d'aide à la décision,

mais comme ils n’intègrent pas les facteurs importants que sont l’effet sur l’équité et la justice redistributive, on ne peut pas les utiliser comme critères de seuil absolus.

Tableau 2.1. Classement coût-efficacité

Analyse du cholestérol et régime R _x	330 USD/QALY
Implantation d’un stimulateur cardiaque	1 650 USD/QALY
CABG (maladie principale gauche)	3 135 USD/QALY
Hémodialyse à domicile	25 890 USD/QALY
Neurochirurgie pour des tumeurs intracrâniennes malignes	161 170 USD/QALY

QALY = années de vie corrigées de la qualité.

Source : Maynard, 1991.

En outre, même si les évaluations économiques jouent un plus grand rôle dans les décisions, il subsiste de très nombreuses incertitudes en ce qui concerne les paramètres de coût et d’efficacité des traitements, ce qui rend difficiles les décisions de couverture.

Certains pays ont instauré une couverture conditionnelle, selon laquelle les assureurs prennent en charge les coûts de traitement des patients dans le cadre d’un protocole de recherche approuvé, les « promoteurs de médicaments » couvrant les coûts de mise en œuvre et d’analyse des travaux de recherche. Lorsque les résultats finals sont disponibles, l’assureur peut prendre une décision finale informée sur la couverture. Aux États-Unis, deux exemples importants, pionniers en matière de couverture conditionnelle, sont la transplantation de moelle osseuse autologue en cas de cancer du sein en stade terminal et la chirurgie de réduction du volume pulmonaire pour les emphysèmes en stade terminal, deux protocoles chirurgicaux très onéreux.

Enfin, les paramètres de coûts et d’efficacité se modifient tout au long du cycle de vie d’une technologie, et les décisions doivent donc être révisées régulièrement pour prendre en compte les informations les plus récentes et les plus précises. La baisse significative des prix de certains extenseurs utilisés dans les interventions coronariennes percutanées en est un bon exemple. Il faudra donc, dans les processus décisionnels, renoncer à l’idée qu’une technologie peut être évaluée une fois pour toutes, sur la base des résultats de recherche collectés préalablement à son utilisation dans la pratique quotidienne.

Quelques observations pour conclure

Dans ce chapitre, ont été examinés quelques uns des mécanismes d’innovation et l’impact de l’innovation dans le secteur de la santé. Les travaux consacrés aux facteurs qui affectent la diffusion des technologies de soins de santé ont également été passés en revue. Les décideurs disposent d’un éventail d’instruments pouvant agir sur la vitesse de diffusion des technologies. Il peut s’agir d’outils de planification et d’évaluation des technologies médicales ou de mécanismes fondés sur l’incitation, tels que des dispositifs de remboursement. Toutefois, les connaissances actuelles ne fournissent pas une base suffisamment solide pour estimer l’impact de mesures particulières appliquées à une technologie spécifique dans le contexte du système de santé globale. Il n’est pas non plus certain que le rythme de diffusion des technologies présente nécessairement un grand intérêt pour les décideurs.

C'est en fonction des objectifs des décideurs, tels que l'efficacité et l'équité, que la diffusion d'une technologie sera jugée trop rapide ou trop lente, comparée à sa vitesse optimale. Lorsque l'aspect financier est crucial, l'important sera de garantir l'adoption à grande échelle des technologies rentables et d'éviter d'introduire celles qui se sont révélées non rentables. Dans cette démarche, l'ETM et les évaluations économiques, telles que l'analyse coût-efficacité, ont leur rôle à jouer pour recenser et diffuser des informations sur les meilleures pratiques.

Cependant, ce serait une erreur de considérer les techniques d'analyses coût-efficacité et autres techniques analytiques de même nature comme des instruments offrant des solutions immédiatement disponibles et pouvant s'intégrer aisément dans les politiques générales. Les sources de données sur les coûts sont moins facilement accessibles que celles mesurant les résultats cliniques. Les méthodes actuelles d'évaluation des coûts en fonction des ressources sont loin d'être satisfaisantes. De surcroît, des travaux récents sur la validité statistique des rapports coût-efficacité mettent en évidence des déficiences dans ces mesures. De nouvelles démarches méthodologiques (telles que le bénéfice santé net) n'en sont qu'à leurs débuts. Sans modélisation épidémiologique permettant de déterminer, par exemple, les transferts des soins aigus aux soins chroniques et les implications de l'apprentissage en aval pour de nouvelles populations et les nouvelles indications d'utilisation, il sera toujours difficile d'évaluer avec une précision adéquate l'impact économique global du changement technologique.

Même si les méthodes analytiques bénéficiaient d'améliorations considérables, les questions éthiques et politiques qui sont en jeu donneraient matière à réflexion aux responsables politiques qui cherchent à les mettre en place. L'opinion générale est que des dispositifs tels que les forfaits de prestations de base correspondent à une reconnaissance tardive de la nécessité de choix difficiles, effectués explicitement et publiquement sur la base de critères et de principes clairs. D'aucuns considèrent également que ces choix difficiles devraient être fondés sur la participation, l'intégration, la consultation, en un mot, être démocratiques. Mais laisser libre jeu à ces vertus sociales risque de rendre impossibles les choix difficiles. Quelles sont les procédures préalables requises pour parvenir à une approche acceptable s'agissant de l'établissement de priorités explicites ? Démocratie et technocratie peuvent-elles coexister en paix ?

Il est important de mieux comprendre les processus décisionnels, c'est-à-dire de déterminer comment ces processus peuvent intégrer des données cliniques ainsi que des questions de justice sociale et d'éthique. De plus, il serait utile de disposer de plus d'informations sur la relation entre la prise de décision et l'ETM, ainsi que sur l'effet positif (ou négatif) des dispositifs de soins de santé sur l'utilisation de l'ETM. Ces sujets seront abordés plus en détails dans les chapitres suivants de ce rapport.

Références

- Anis, A.H. et Y. Gagnon (2000), “Using Economic Evaluations to Make Formulary Coverage Decisions”, *PharmacoEconomics*, 18(1): 55-62.
- Banta D, W. Oortwijn (2000), “Health Technology Assessment and Health Care in the European Union”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16(2): 626-635.
- Banta, H.D. et H. Vondeling (1993), “Diffusion of Minimally Invasive Therapy in Europe”, *Health Policy*, 23: 125-133.
- Barry, M.J. (2000), “Early Detection and Aggressive Treatment of Prostate Cancer: Groping in the Dark”, *Journal of General Internal Medicine*, octobre, 15(10): 749-51.
- Battista, R.N., R. Jacob et M.J. Hodge (1994), “Health-care Technology in Canada (With Special Reference to Quebec)”, *Health Policy*, 30: 73-122.
- Battista R.N., J.-M. Lance, P. Lehoux et G. Régnier (1999), “Health Technology Assessment and the Regulation of Medical Devices and Procedures in Quebec”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 15(3): 593-601.
- Birkett, D.J., A.S. Mitchell et P. McManus (2001), “A Cost-effectiveness Approach to Drug Subsidy and Pricing in Australia”, *Health Affairs*, 20(3): 104-114.
- Bryce, C.L. et K.E. Cline (1998), “The Supply and Use of Selected Medical Technologies”, *Health Affairs* 17(1): 213-224.
- Cowan, J. et D. Berkowitz (1996), “Technology Assessment at Work : Part I – Principles and a Case Study”, *Physician Executive* 22(4): 5-9.
- Davidson, S.N. (1995), “Technological Cancer : Its Causes and Treatment”, *Health Care Forum Journal*, mars/avril, 52-58.
- Docteur, E. et H. Oxley (2003), “Health Care Systems : Lessons from the Reform Experience”, Documents de travail de l’OCDE sur la santé, No. 9.
- Drummond, M. et H. Weatherly (2000), *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16(1):1-12.
- Frank, R.G. *et al.* (1999), “The Value of Mental Health Care at the System Level : The Case of Treating Depression”, *Health Affairs*, septembre/octobre : 71-88.
- Frazier, L.A., G.A. Colditz, C.S. Fuchs et K.M. Kuntz (2000), “Cost-effectiveness of Screening for Colorectal Cancer in the General Population”, *Journal of the American Medical Association*, 284: 1954-1961.
- Gelijns, A. et N. Rosenberg (1994), “The Dynamics of Technological Change in Medicine”, *Health Affairs*, 13(3): 28-46.
- Gelijns, A.C. et N. Rosenberg (1996), “Making Choices about Medical Technology”, dans L.J. Gunning-Schepers, G.J. Kronjee G.J. et R.A. Spasoff, *Fundamental Questions about the Future of Health Care*, Netherlands Scientific Council for Government Policy, SDU Publishers, The Hague, 45-66.

- Gelijns, A.C., N. Rosenberg et A.J. Moskowitz (1998), “Capturing the Unexpected Benefits of Medical Research”, *New England Journal of Medicine*, 339: 693-8.
- Greer, A.L. (1988), “The State of the Art versus the State of the Science : The Diffusion of New Medical Technologies into Practice”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 4: 5-26.
- Hailey, D., P. Corabian, C. Hartsall et W. Schneider (2000), “The Use and Impact of Rapid Health Technology Assessments”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16(2): 651-656.
- Hailey, D.M. (1993), “The Influence of Technology Assessments by Advisory Bodies on Health Policy and Practice”, *Health Policy*, 25: 243-254.
- Halm, E.A. et A.C. Gelijns (1991), “An Introduction to the Changing Economics of Technological Innovation in Medicine”, dans A.C. Gelijns et E.A. Halm (eds), *The Changing Economics of Medical Technology*, National Academy Press, Washington, DC.
- Haynes, R.B., D.L. Sackett, G.H. Guyatt, D.J. Cook et J.A.M. Gray (1997), “Transferring Evidence from Research into Practice : Overcoming Barriers to Application”, *Evidence-Based Medicine*, 2: 68.
- He, Y.D. et S.H. Friend (2001), Microarrays the 21st Century Divining Rod, *Nature Medicine*, juin, 7(6): 658-9
- Hill, S.C. et B.L. Wolfe (1997), “Testing the HMO Competitive Strategy : An Analysis of its Impact on Medical Care Resources”, *Journal of Health Economics*, 16: 261-286.
- Hillman, A.L. et J.S. Schwartz (1985), “The Adoption and Diffusion of CT and MRI in the United States : A Comparative Analysis”, *Medical Care*, 23(11): 1283-1294.
- Hirth R.A., M.E. Chernew et S.M. Orzol (2000), “Ownership, Competition and the Adoption of New Technologies and Cost-Saving Practices in a Fixed-Price Environment”, *Inquiry*, 37: 282-294.
- Horton, R. (2001), “Screening Mammography – An Overview Revisited”, *Lancet*, 358: 1284-1285.
- Ikegami, N. (1988), “Health Technology Development in Japan”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 4: 239-254.
- Juzwishin, D., D. Olmstead et D. Menon (1996), “Hospital-based Technology Assessment Programmes : Two Canadian Examples”, *World Hospitals and Health Services*, 32(2): 2-9.
- Ketley, D. et K.L. Woods (1993), “Impact of Clinical Trials on Clinical Practice : Example of Thrombolysis for Acute Myocardial Infarction”, *Lancet*, 342: 891-894.
- Lázaro P. et K. Fitch (1995), “The Distribution of ‘Big Ticket’ Medical Technologies in OECD Countries”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 11(3): 552-570.
- Légorreta A.P., J.H. Silber, G.N. Costantino *et al.* (1993), “Increased Cholecystectomy Rate after the Introduction of Laparoscopic Cholecystectomy”, *Journal of the American Medical Association*, 270: 1420-32.
- Lichtenberg, F. (2001), “Are the Benefits of Newer Drugs Worth Their Cost? - Evidence from the 1996 MEPS”, *Health Affairs*, 20: 241-251.

- Mason, J., N. Freemantle et G. Browning (2001), “*Impact of Effective Health Care Bulletin on Treatment of Persistent Glue Ear in Children : Time Series Analysis*”, *British Medical Journal*, 323: 1096-1097.
- Menon, D. (2001), “Pharmaceutical Cost Control in Canada : Does it Work?” *Health Affairs*, 20(3): 92-103.
- Noorani, H.Z., B. Brady, L. McGahan, R. Teasell, B. Skidmore et T.J. Doherty (2003), “A Clinical and Economic Review of Stroke Rehabilitation Services”, *Technology Overview No. 10*, Canadian Coordinating Office for Health Technology Assessment, Ottawa.
- Olsen, O. et P.C. Gotzsche (2001), “Cochrane Review on Screening for Breast Cancer with Mammography”, *Lancet*, 358: 1340-1342.
- OTA (1986), “Effects of Federal Policies on Extracorporeal Shock Wave Lithotripsy”, Office of Technology Assessment, Washington, DC.
- Pharmaceutical Industry Competitiveness Task Force (PICTF, 2001), *Competitiveness and Performance Indicators 2001*, UK Department of Health.
- Richardson, J. (1988), “Medical Technology and its Diffusion in Australia”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 4: 407-431.
- Rogers, E.M. (1995), “Lessons for Guidelines from the Diffusion of Innovations”, *Journal on Quality Improvement*, 21(7): 324-328.
- Romeo, A.A., J.L. Wagner et R.H. Lee (1984), “Prospective Reimbursement and the Diffusion of New Technologies in Hospitals”, *Journal of Health Economics*, 3: 1-24.
- Rose, E.A., A.C. Gelijns, A.J. Moskowitz, D.F. Heitjan *et al.* (2001), “Long-term Use of a Left Ventricular Assist Device for End-Stage Heart Failure”, *The New England Journal of Medicine*, 345: 1435-1443.
- Rosen, R. et N. Mays (1998a), “Controlling the Introduction of New and Emerging Medical Technologies : Can We Meet the Challenge?”, *Journal of the Royal Society of Medicine*, 91: 3-6.
- Rosen, R. et N. Mays (1998b), “The Impact of the UK NHS Purchaser-Provider Split on the ‘Rational’ Introduction of New Medical Technologies”, *Health Policy*, 43: 103-123.
- Sillup, G.P. (1992), “Forecasting the Adoption of New Medical Technology Using the Bass Model”, *Journal of Health Care Marketing*, December, 42-51.
- Slade, E.P. et G.F. Anderson (2001), “The Relationship between Per Capita Income and Diffusion of Medical Technologies”, *Health Policy*, 58: 1-14.
- Teplensky, J.D., M.V. Pauly, J.R. Kimberly, A.L. Hillman et J.S. Schwartz (1995), “Hospital Adoption of Medical Technology : An Empirical Test of Alternative Models”, *Health Services Research*, 30(3): 437-465.
- Waymont, B. *et al.* (1993), “Treatment Preferences of Urologists in Great Britain and Ireland in the Management of Prostate Cancer”, *British Journal of Urology*, 71: 577-582.
- Wild, C. (2000), “Health Technology Assessment in Austria”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16(2): 303-324.
- Williams, A. (1992), “Priority Setting in a Needs-based System”, dans A.C. Gelijns (ed.), *Medical Innovation at the Crossroads, Volume III : Technology and Health Care in an Era of Limits*, National Academy Press, Washington, DC.

Chapitre 3

LA PRODUCTION DE L'ÉVALUATION DES TECHNOLOGIES MÉDICALES : ANALYSE DE RESULTATS D'ENQUÊTE

L'information issue de l'évaluation des technologies médicales (ETM) peut être utilisée pour optimiser les décisions relatives à l'utilisation et à la diffusion de la technologie. Dans ce chapitre, sont présentés les résultats de l'enquête de l'OCDE sur les technologies médicales et des informations sur la mise en œuvre de l'ETM, sur ses objectifs, le public qu'elle vise et sa teneur. Les procédés de diffusion de résultats d'ETM sont exposés, ainsi qu'un tableau comparatif des différences de production d'ETM entre les pays.

Introduction

Les progrès technologiques sont à l'origine d'améliorations considérables des résultats cliniques, économiques et sociaux. Pour autant, l'efficacité et la rentabilité des technologies sont loin d'être pleinement démontrées, et il n'est pas toujours attesté qu'elles améliorent véritablement la santé des patients (Fuchs, 1987 ; Maynard et McDaid, 2000). Par exemple, l'étude systématique de 33 interventions ayant pour objet de traiter des lombalgies et des cervicalgies chroniques a montré que dans 44 % des cas, l'efficacité n'était pas démontrée et pour 29 % d'entre eux, elle n'était que limitée ou modérée. Treize pour cent des interventions se sont révélées inefficaces (SBU, 2000). Ce déficit en données probantes ne facilite pas les choix présumés informés des décideurs concernant l'intégration et la diffusion des technologies médicales.

La démarche médicale factuelle cherche à bâtir un socle de preuves plus solides et à fournir aux décideurs, en particulier les cliniciens, les données démontrant avec la meilleure fiabilité possible l'efficacité des actes destinés à prévenir, traiter et prendre en charge la maladie. La collaboration Cochrane est probablement l'exemple le plus célèbre de ce type de médecine.

L'évaluation des technologies médicales (ETM) est une source d'informations précieuse pour de nombreux décideurs en matière de soins médicaux, tels que les politiques, les administrateurs médicaux et les assureurs. Cette forme d'évaluation considère non seulement l'efficacité des technologies, mais cherche également à apprécier leurs implications plus larges, telles que leurs conséquences sociales et légales et leur coût. Son rôle essentiel est de réduire l'écart entre la démonstration scientifique et la prise de décision (Battista et Hodge, 1999).

Les informations produites par l'ETM peuvent servir à éclairer les décisions concernant l'utilisation et la diffusion d'une technologie, et permettre ainsi d'améliorer l'efficacité et d'obtenir de meilleurs résultats cliniques. De surcroît, lorsque l'ETM prend

également en compte la rentabilité des technologies, elle peut également contribuer¹ aux décisions adéquates d'attribution de ressources. Sans ces données, la probabilité pour que l'intégration et la diffusion des technologies soient influencée par une série de facteurs sociaux, financiers, professionnels et institutionnels augmente, et les résultats cliniques ne seront pas forcément optimaux.

De nombreux pays de l'OCDE investissent des ressources dans les ETM et les activités d'évaluation. Par exemple, le Fond hollandais pour la médecine d'investigation alloue 8,6 millions EUR par an aux évaluations médicales. La Suède dépense 5 millions EUR pour financer son agence nationale, le Conseil suédois d'évaluation des technologies de la santé (SBU) et l'Agence nationale d'accréditation et d'évaluation en santé (ANEAS) française reçoit un budget de fonctionnement de presque 20 millions EUR (McDaid et Cookson, 2001). Au Canada, les dépenses combinées de 6 agences d'ETM ont totalisé environ 12,5 millions DCA en 2000-01 (Lehoux *et al.*, 2003), 45 millions de DCA supplémentaires étant engagés pour les cinq prochaines années (2003-2008) pour le CCOHTA, l'agence d'ETM nationale. Le budget total consacré au Centre d'évaluation des technologies médicales danois s'élève à 49,8 millions CD. Dans de nombreux cas, ces programmes absorbent l'essentiel du financement disponible pour la recherche et l'évaluation des technologies des services de santé. Ces chiffres ne représentent cependant que 0,01 % et 0,04 % des dépenses de santé nationales (McDaid et Cookson, 2001 ; Lehoux *et al.*, 2003 ; Eco-Santé OCDE, 2003).

Le faible nombre d'études réalisées témoigne de la contribution des activités d'ETM à l'optimisation des ressources. Par exemple, Rosenau (2000) ont conclu que, globalement, l'influence sur la pratique clinique du Conseil d'évaluation des technologies médicales du Québec avait permis une économie d'environ 25 millions DUS. Au Royaume-Uni, l'économie réalisée par une évaluation du « Bulletin de soins de santé efficace » consacrée au traitement de l'otite adhésive moyenne persistante chez l'enfant s'élevait à 27 millions de livres (Mason *et al.*, 2001). De surcroît, il existe, dans les nombreux pays qui ont investi dans les programmes d'ETM et qui les ont mis en place, des indices convaincants de leur grand intérêt. Une évaluation formelle récente du Centre danois pour l'évaluation et l'ETM montre que celle-ci s'apparente une démarche rentable (National Board of Health, 2003).

Plus l'investissement augmente, plus l'utilisation pratique d'ETM en politique et dans la pratique est reconnue comme un élément de démonstration crucial du succès ou de l'échec de l'ETM (Jonsson, 2002). Un nombre croissant de pays tient à assurer la prise en compte des conclusions issues des ETM (ou d'autres sources) dans le processus décisionnel. En outre, des instituts nationaux ou régionaux ont été ouverts dans de nombreux pays pour coordonner et classer les activités par priorités, et améliorer la diffusion des évaluations.

Ce chapitre s'intéresse aux moyens de *production* d'ETM dans les pays de l'OCDE. Il présente les résultats issus d'une enquête² menée dans le cadre du projet de l'OCDE sur les technologies liées à la santé. Le chapitre s'ouvre par un état des lieux en ETM et

-
1. Néanmoins, l'évaluation des technologies de santé ne peut remplacer la prise de décision. Les choix et les compromis entre les objectifs (par exemple équité et optimisation des ressources) restent à déterminer. L'ETM peut explicitement assister les décideurs pour arbitrer entre ces choix.
 2. Menée en Autriche, en Australie, en France, en Allemagne, en Irlande, au Japon, au Mexique, aux Pays-Bas, en Norvège, en Espagne et en Suisse. Des entretiens téléphoniques ont été réalisés dans tous les pays étudiés, ainsi qu'au Canada, pour compléter les formulaires de réponses.

étudie les raisons de sa propagation dans de nombreux pays de l'OCDE. Une ETM englobe les effets au sens large des technologies médicales, en particulier des évaluations des bénéfices et des coûts (on trouvera une description plus détaillée de l'ETM au chapitre 1). L'enquête nous apprend comment est engagée ETM, et décrit, en particulier, les modalités de son exécution, son objectif, le public visé et sa teneur. Les procédés utilisés pour diffuser les résultats d'une ETM sont examinés, et un tableau comparatif des différences nationales en termes de production d'ETM est présenté, illustré par les études de cas de deux technologies : la tomographie à émission de positons (TEP) et les technologies relatives aux accidents vasculaires cérébraux.

L'ETM : une nécessité croissante

Plusieurs facteurs expliquent la demande en activités d'ETM et les réponses à cette demande :

- L'ETM est née au moment où les responsables politiques s'inquiètent de plus en plus de l'accroissement des dépenses de santé, la technologie étant perçue comme l'un des facteurs majeurs contribuant à ces dépenses.
- Les utilisations éventuellement inefficaces (ou même dangereuses) des technologies non testées soulèvent des interrogations de plus en plus pressantes.
- La disponibilité d'essais de contrôle randomisés et des données ainsi obtenues ont permis des développements méthodologiques significatifs dans les domaines concernés par l'ETM, en particulier les techniques d'évaluation d'économie sanitaire.
- Les fluctuations généralisées auxquelles est soumise l'utilisation de la technologie posent des problèmes d'utilisation optimale, et astreint les décideurs à s'appuyer sur des données probantes pour optimiser les vitesses de diffusion et d'intégration.
- Le développement de la recherche et de la technologie médicales, combiné aux progrès en technologie de l'information, a permis aux décideurs (tels que les acheteurs et les praticiens) de tenir compte de tous les nouveaux développements signalés dans la littérature. La recherche par les décideurs d'informations de haute qualité, exhaustives et utilisables, telles que celles fournies par l'ETM, est croissante.
- L'orientation prise par les réformes des systèmes de santé s'est traduite par une décentralisation des décisions, en sorte que les choix en matière de santé soient plus à l'écoute du patient. La valeur de l'ETM ne peut qu'augmenter dans le contexte d'une telle délégation des processus décisionnel. Un nombre croissant de décideurs à tous les niveaux du système de santé exigeront des données cliniques excellentes pour procéder à des choix informés.

Description de la production d'ETM

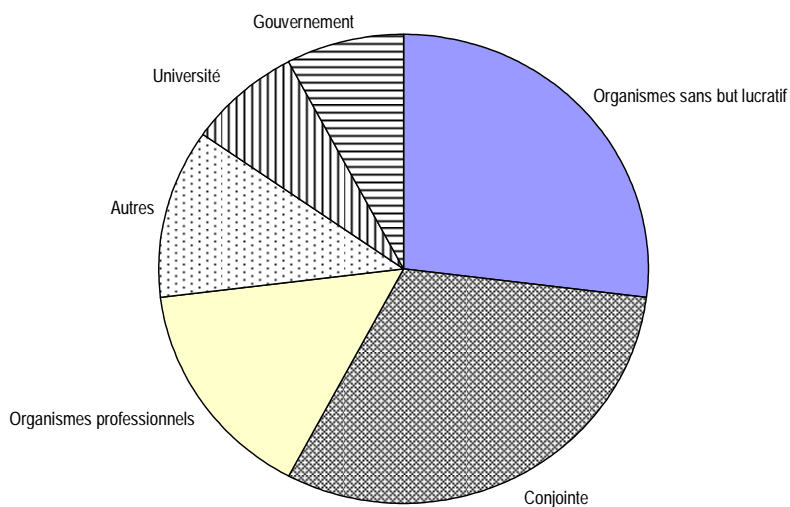
Même si la définition large de l'ETM repose sur une base commune solide, en pratique, l'ETM varie significativement entre et dans les pays de l'OCDE par ses modalités de mise en œuvre, les thèmes qu'elle traite dans les évaluations et son intégration dans le processus décisionnel. Ces différences ne sont pas franchement surprenantes. Si l'ETM a bien pour but de combler l'écart entre politique et données cliniques, alors les conditions de sa mise en pratique renvoient à l'histoire, la culture et les valeurs de chaque système de santé (Banta, 2003). Elle a été conçue et adaptée pour correspondre aux besoins spécifiques des décideurs dans le cadre d'un système spécifique. C'est pourquoi on observe des domaines de variations significatifs.

Les résultats suivants sont dérivés d'évaluations de technologie médicale réalisées sur un échantillon de technologies soumises à une étude de cas. Elles ont été choisies pour offrir un panorama des diverses utilisations des technologies en soins de santé (par exemple l'utilisation de technologies en dépistage, diagnostic, traitement et prise en charge de la maladie) et des environnements de soins (soins ambulatoires, soins hospitaliers). L'approche par études de cas trace le tableau de la production d'ETM dans les pays participant à l'enquête et permet l'analyse comparative des différentes démarches adoptées par chaque pays pour des technologies similaires. Les résultats exposés dans la suite de ce chapitre sont par conséquent représentatifs de la production d'ETM dans les pays étudiés, mais ne prétendent pas à l'exhaustivité.

Qui entreprend une ETM?

Les ETM sont mises en œuvre par des organismes différentes. La figure 3.1 démontre que les praticiens les plus courants étaient des organismes sans but lucratif, qui ont réalisé 27 % des ETM dans cet échantillon (n=26). On observe également que la fréquence élevée des évaluations conjointes (plusieurs organismes impliqués). Les évaluations conjointes incluaient toujours un organisme à but non lucratif et un organisme professionnel et/ou un gouvernement. La majorité des « autres » catégories à la figure 3.2 représentait des hôpitaux qui effectuaient leurs propres ETM.

Figure 3.1. Type d'organismes ayant entrepris une ETM pour les technologies des études de cas



Que comprend une ETM?

Selon les conclusions d'études préalables, de nombreuses ETM ne se conforment pas à la définition complète englobant tous les éléments d'une ETM (voir chapitre 1 pour une description générale). Le rapport ASTEC³, par exemple, définit bien l'ETM comme vecteur des informations sur l'efficacité des technologies médicales, mais établit que l'information sur la rentabilité est beaucoup plus limitée (Cookson *et al.*, 2000). Une comparaison internationale récente des ETM a démontré que seules 14 % d'entre elles fournissaient une évaluation détaillée des conséquences des technologies médicales (Poulsen, 1998). Ces variations correspondent, en partie, aux informations exigées par les décideurs et aux objectifs du système de santé.

L'enquête de l'OCDE révèle des différences significatives dans la teneur de l'ETM entre les cinq études de cas. Le tableau 3.1 démontre qu'alors que si presque toutes les ETM comportaient des résultats sur l'efficacité (à la seule exception de la télémédecine), un nombre beaucoup plus faible d'évaluations envisageait les facteurs psychologiques, sociaux et éthiques. La rentabilité était également bien représentée, mais ce n'était pas le cas des coûts supplémentaires ou des économies réalisées.

Tableau 3.1. Contenu des ETM par technologie faisant l'objet d'une étude de cas

	TEP	Génotypage de l'hépatite C	Télémédecine	Dépistage du cancer de la prostate	Technologies liées à l'ACV
Efficacité	100%	100%	83%	100%	100%
Qualité/innocuité	83%	100%	83%	80%	100%
Considérations psychologiques, sociales et éthiques	0%	33%	50%	20%	71%
Implications organisationnelles et professionnelles	33%	67%	100%	20%	86%
Rentabilité	67%	67%	100%	60%	71%
Coûts supplémentaires ou économies	67%	67%	83%	40%	57%
Charge pathologique dans la population	67%	100%	33%	80%	71%
Gravité de la maladie chez l'individu	33%	100%	17%	100%	86%
Équité	33%	100%	17%	40%	43%
Avantages sociaux	33%	100%	50%	60%	71%
Perspectives pour le patient	0%	0%	33%	40%	71%
Bénéfices économiques	17%	67%	83%	40%	71%
Industrie/RD	0%	0%	50%	0%	29%
Délais d'attente	17%	33%	17%	20%	71%
Absence d'autres traitements	0%	0%	17%	20%	57%

3. Analyse de l'évaluation scientifique et technique des interventions en soins de santé dans l'Union Européenne.

De nombreuses raisons expliquent les variations du contenu de l'ETM, mais il est difficile de déterminer lesquelles s'appliquent dans chaque cas. Parfois, les données réelles sur lesquelles s'appuyer manquent totalement. Par exemple, de nombreuses revues soulignent l'absence de données d'efficacité pour certaines applications de télémédecine. L'ETM répond parfois aux besoins de décideurs différents et de la technologie en question, et insiste plus particulièrement sur certains facteurs plutôt que sur d'autres. Les paramètres culturels peuvent également jouer un rôle. En particulier, certains décideurs choisissent de ne pas signaler explicitement les coûts ou souhaitent fonder essentiellement leurs décisions sur des données d'efficacité. Enfin, la durée et les ressources variables accordées aux activités d'ETM peuvent également affecter inégalement les contenus des ETM.

Qui décide de la réalisation d'une ETM?

L'enquête de l'OCDE a interrogé les participants sur les raisons de la mise en œuvre d'une ETM. Le tableau 3.2 montre que, dans cette enquête, la raison la plus couramment invoquée pour engager une ETM était son statut d'élément d'un programme d'ETM déjà existant. Cependant, des variations intéressantes caractérisent les différentes technologies. Par exemple, l'évaluation d'une technologie onéreuse telle que la tomographie par émission de positons est principalement justifiée par une demande directe adressée par un gouvernement ou un assureur. En revanche, la télémédecine est plus souvent évaluée dans le cadre d'un programme d'ETM. La pression politique et la priorité en recherche nationale ou un programme d'ETM comptent parmi les autres raisons invoquées.

Tableau 3.2. **Raisons expliquant l'engagement d'une ETM par technologie faisant l'objet d'une étude de cas**

	Exigence législative-politique	Élément d'un programme d'ETM en cours	Base volontaire/ad hoc	Demande directe d'un gouvernement ou d'un assureur	Autres
TEP	50%	50%	0%	83%	17%
Génotypage d'hépatite C	67%	67%	0%	33%	33%
Télémédecine	0%	67%	33%	50%	17%
Dépistage du cancer de la prostate	20%	60%	0%	40%	0%
Technologies liées à l'AVC	33%	33%	17%	33%	50%
Total	31%	54%	12%	50%	23%

L'établissement des priorités a pris une part importante dans le processus de l'ETM. Plusieurs mécanismes sont utilisés dans les différents pays. Dans certains programmes, tels que le Medicare et le Pharmaceutical Benefit Scheme australien, la liste des priorités est établie en fonction de demandes émanant de groupes professionnels ou de l'industrie.

Dans d'autres pays, tels que l'Allemagne, le Canada et le Royaume-Uni, des dispositifs permettent de recevoir des suggestions de thématiques d'ETM émises par un large éventail de parties prenantes, incluant le public. Au Canada, les décisions finales sont entérinées par un Comité de directeurs qui représentent les ministères de la santé de toutes les provinces et reposent sur des critères acceptés. En Allemagne, un conseil d'administration, représentant des administrateurs publics, les patients et l'industrie adoptent une résolution sur les sujets d'ETM en utilisant un processus Delphi. Dans le

cadre du programme d'évaluation des technologies médicales du Royaume-Uni, un conseil consultatif (dont les membres sont issus de milieux très divers, et qui accueille des consommateurs) recommande des priorités au directeur de la recherche et du développement.

Des programmes d'identification précoces, parfois désignés par enquête prévisionnelle, peuvent également être utiles pour améliorer les décisions prises dans le domaine des technologies. Une enquête prévisionnelle peut fournir des informations importantes et opportunes aux décideurs grâce à l'identification de nouvelles technologies et à l'évaluation des données cliniques disponibles et de leurs lacunes. Plusieurs pays ont lancé avec succès ces programmes, en particulier le Canada, les Pays-Bas et le Royaume-Uni, et ils fonctionnent également au niveau international dans le cadre du réseau EuroScan⁴. Au Royaume-Uni, l'objectif du centre d'enquête prévisionnelle national est de fournir au ministère de la Santé des avis préalable sur les technologies médicales nouvelles et émergentes dont l'évaluation est urgente, dont il faudrait considérer l'impact clinique et économique, ou modifier les directives cliniques.

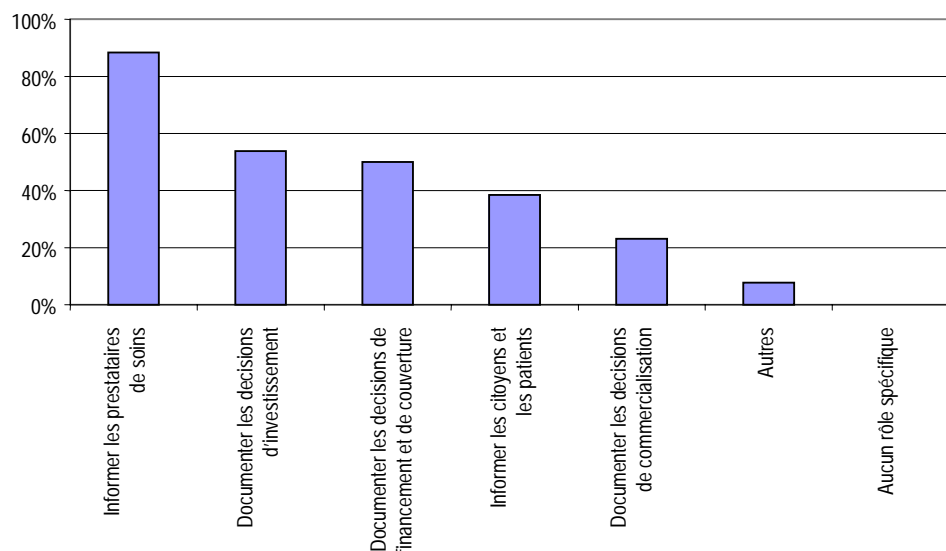
L'ETM : pour qui et pour quoi?

L'ETM joue des rôles différents selon les pays. Certains d'entre eux incitent (ou cherchent à inciter) à la considération formelle de données économiques probantes dans le processus décisionnel, en particulier les décisions de remboursements pharmaceutiques. Par exemple, l'évaluation économique intervenant dans les décisions d'inscription sur les listes de remboursement sous prestations financées par le public a été instauré en Australie en 1993, et est à présent introduite sous une forme ou une autre dans les pays membres de l'OCDE suivants : Autriche, Belgique, Canada, France, Italie, Japon, Pays-Bas, Portugal, Suède, Suisse et Royaume-Uni. (Dickson, Hurst et Jacobzone, 2003).

Hors le domaine des technologies pharmaceutiques, la figure 3.2 montre que le rôle le plus couramment envisagé pour l'ETM est de fournir des informations aux prestataires. Vient immédiatement ensuite une fonction de documentation des décisions concernant l'investissement et l'acquisition en technologie médicale.

4. Le réseau EuroScan comprend douze membres, principalement des organismes d'évaluation des technologies, appartenant à 10 pays, dont deux extérieurs à l'Europe (Canada et Israël). Ses objectifs sont d'évaluer et d'échanger des informations sur les technologies nouvelles et en évolution, de développer les sources d'information utilisées pour identifier les technologies nouvelles et émergentes, de développer des procédés appliqués d'évaluation précoce et de diffuser l'information sur les activités d'identification et d'évaluation précoces.

Figure 3.2. Objectifs de l'ETM



Durée et ressources nécessaires à l'ETM

L'enquête a demandé aux personnes interrogées d'estimer la durée totale requise pour l'ETM. Les résultats pour 19 ETM différentes montrent que certaines durent moins d'un mois tandis que d'autres se prolongent pendant quatre ans. Le tableau 3.3 présente les pourcentages des ETM de différentes durées englobées par l'enquête.

Table 3.3. Durée requise pour réaliser une ETM

Durée requise	Pourcentage d'ETM (n=20)
Moins d'un mois	5%
Entre 1 et 3 mois	10%
Entre 3 et 6 mois	30%
Entre 6 et 12 mois	20%
Entre 1 et 2 ans	20%
Entre 2 et 4 ans	15%

Plusieurs facteurs expliquent les durées variables de mise en œuvre des ETM. Par exemple, quelques intervenants ont signalé que certaines ETM étaient des « panoramas de panoramas », donnant lieu des évaluations rapides et peu coûteuses. La pénurie de données probantes concernant des paramètres de décision essentiels a obligé certains pays à allouer des ressources à la réalisation de recherches et d'essais fondamentaux, qui ont demandé des délais plus longs et ont été considérés comme parties intégrantes des activités d'ETM reportées dans le tableau 3.4. Dans d'autres cas, l'ETM s'est résumée à une revue de la littérature effectuée par un seul chercheur. Les ressources estimées affectées à la réalisation d'ETM s'étagaient entre seulement 12 000 EUR et 2 millions d'EUR pour un essai international multiphase. Les ressources disponibles et la durée

consacrée à l'ETM peuvent influencer sur la qualité et l'exhaustivité des rapports d'ETM, bien qu'il soit difficile d'établir des conclusions solides en se basant sur des informations issues d'enquêtes ou la littérature existante.

De nombreux interlocuteurs ont signalé que l'un des plus épineux problèmes auquel est confronté l'ETM est le rythme soutenu du développement des technologies, qui peut rendre les résultats d'ETM rapidement obsolètes. Dans certains cas, le rythme auquel évoluent et se développent les technologies implique le développement de méthodologies d'ETM adaptées à cette évolution.

Il conviendrait par conséquent réfléchir à l'établissement de directives d'évaluation des technologies à des stades de développement différents. Ces directives pourraient impliquer un examen des modalités appropriées de réalisation et de compte-rendu de l'ETM, en fonction de l'ancienneté et des caractéristiques de la technologie.

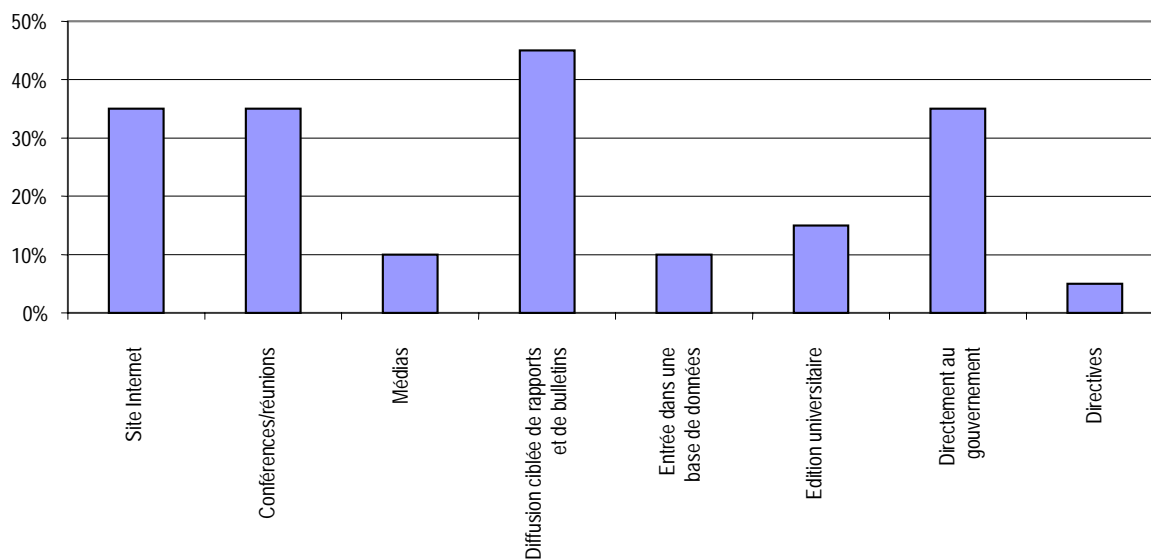
Répartition des activités d'ETM

Divers acteurs interviennent dans les décisions concernant les technologies médicales. Dans Certains pays, la prise de décisions est centralisée, mais seulement en ce qui concerne la couverture et au remboursement. En revanche, les systèmes de santé de l'OCDE délèguent aux cliniciens les décisions concernant les patients, dans le contexte des paramètres précisés par la structure du système de santé global.

Quand il incombe de prendre la décision ultime d'employer ou non une technologie donnée, les responsables des ETM reconnaissent qu'une partie de leur rôle consiste à garantir que les données probantes sont disponibles pour les décideurs locaux.

La figure 3.3 montre que la plupart des producteurs d'ETM utilise plusieurs moyens de propagation des résultats (n = 16). Les formes de diffusion les plus courantes sont les suivantes : rapports ou bulletins largement distribués, publication sur un site internet et conférences et réunions. Plusieurs correspondants signalent qu'ils utilisent des procédés de diffusion différents pour s'adapter à des publics variés. En effet, ils établissent des dossiers de présentation ciblés sur des décideurs particuliers en fonction des messages clés de l'ETM à faire connaître.

Figure 3.3. Procédés de diffusion d'ETM



Plus généralement, plusieurs organismes d'ETM ont mis en place des programmes destinés à améliorer la *capacité d'assimilation* de l'ETM. Par exemple, l'Office Canadien de Coordination de l'évaluation des technologies de la santé a identifié le développement de la capacité d'assimilation comme stratégie prioritaire, ce qui implique essentiellement de développer la demande en ETM chez les décideurs. Une meilleure capacité d'assimilation exigera vraisemblablement des programmes de formation à l'usage des politiques, des établissements de formation, des praticiens et peut être du public (Sanders, 2002).

Dans le même ordre d'idée, le Conseil suédois de l'évaluation des technologies médicales (SBU) a désigné des ambassadeurs d'ETM dans les régions de la Suède, qui ont pour tâche la diffusion intensive, par exemple, par le biais de visites aux médecins pour débattre avec eux des rapports d'ETM.

On peut prédire sans grand risque que le succès de l'intégration des ETM et de la médecine factuelle exige une mutation culturelle en faveur de l'utilisation de données probantes dans le domaine politique et pratique. Cette hypothèse est confirmée par une étude canadienne récente, qui révèle qu'un contact personnel avec un organisme d'ETM est l'un des facteurs clés de la sensibilisation aux activités d'ETM. L'étude démontre également qu'une diffusion par dossier de présentation pourrait être plus efficace qu'une stratégie de diffusion générale (Lehoux *et al.*, 2003). Toutefois, les meilleures méthodes de diffusion n'ont pas été encore définies. Cette observation militerait en faveur d'un accroissement de l'investissement dans l'évaluation de l'efficacité des diverses pratiques de diffusion d'ETM.

Production d'ETM dans les pays de l'OCDE : examen de deux technologies ayant fait l'objet d'une étude de cas

La suite de ce chapitre s'intéresse à la production de données cliniques dans les pays de l'OCDE pour deux études de cas : la TEP et les technologies liées aux accidents vasculaires cérébraux. Chaque technologie est brièvement décrite, les publications les concernant sont dénombrées (en particulier celles renfermant des données économiques)⁵ et les principales conclusions portées dans les rapports d'ETM⁶ sont résumées. Cette dernière partie du chapitre présente également les résultats d'une enquête comparative sur la production et la diffusion d'ETM relatives aux deux technologies.

Tomographie par émission de positons (TEP)

La TEP est une technologie de médecine nucléaire très peu invasive qui permet la visualisation et la mesure de processus biochimiques à l'intérieur des tissus. Comme d'autres techniques de médecine nucléaire, la TEP permet de mesurer la fonction tissulaire et organique locale. Elle peut compléter les informations obtenues grâce à d'autres procédés d'imagerie, tels que la tomодensitométrie (TDM). Ces deux techniques ont récemment été couplées sous la forme TEP-TDM.

La TEP utilise un traceur radioactif pour évaluer la perfusion et l'activité métabolique à l'intérieur du corps humain. Elle requiert l'emploi d'un accélérateur de particules chargées, habituellement un cyclotron, pour produire les traceurs radioactifs. La TEP est considérée comme une dépense en infrastructure considérable.

La TEP a été reconnue à l'origine comme un précieux outil de recherche fondamentale puis comme un outil clinique. Elle a tout d'abord utilisée en neurologie, ensuite en cardiologie, mais c'est actuellement en oncologie qu'elle est massivement adoptée.

Production de données probantes pour la TEP

Le premier article sur la TEP a été publié en 1969, et le premier document à teneur économique 10 ans plus tard en 1979. Le nombre d'articles sur la TEP a rapidement augmenté à partir de 1979. En 1980, 166 articles étaient disponibles, ce chiffre atteignant environ 1800 par an en 2002. Dans l'ensemble, moins de 2 % des articles publiés sur la TEP renfermaient des informations économiques. Ce pourcentage est légèrement plus élevé dans les publications les plus récentes.

Trente-trois rapports sur une ETM de PTE ont été relevés dans la base de données INAHTA⁷. Le premier rapport d'ETM date de 1994, mais la plupart a été publiée après 2000. Dans leur majorité, les ETM sont centrées sur l'utilisation de la TEP en diagnostic et en traitement du cancer, mais quelques-unes concernent des indications pour des maladies neurologiques et la viabilité cardiaque.

5. Les citations ont été comptées à l'aide de Medline.

6. La base de données INAHTA a été utilisée pour cette recherche. Base de données disponible à l'adresse suivante : www.york.ac.uk/inst/crd/htahp.htm.

7. International Network of Agencies for Health Technology Assessment, Réseau international des organismes d'évaluation des technologies de la santé. Le site internet INAHTA : www.inahta.org, donne accès à la base de données.

Les ETM les plus anciennes suggèrent que les données probantes relatives à l'utilisation de TEP étaient rares. La technologie était le plus souvent décrite comme « en cours de développement » et prometteuse, et les recommandations préconisaient une utilisation limitée dans le cadre de travaux de recherches et d'essais cliniques. Plusieurs ETM conseillaient d'assujettir le financement de la TEP à de nouvelles recherches et la collecte de données.

En 1999, l'utilisation de la TEP a fait l'objet d'une revue par l'INAHTA dans les domaines de la neuropsychiatrie, de la maladie d'Alzheimer, des tumeurs cérébrales et de la cardiologie (Adams *et al.*, 1999). Celle-ci a démontré que la TEP pouvait se révéler supérieure à d'autres techniques d'imagerie dans ces domaines, mais l'amélioration des résultats cliniques n'a pas été démontrée. Cependant, la revue de l'INAHTA suggérait que la TEP pourrait être utile pour planifier les traitements en oncologie, encore que les résultats concernant son utilisation dans la stadification de l'épithélioma à grandes cellules fussent contradictoires. Certains organismes concluaient à la rentabilité potentielle de l'utilisation de la TEP, alors que pour d'autres les preuves n'étaient pas suffisantes pour établir son efficacité.

Plusieurs autres ETM, menées pendant la même période, envisageaient une utilisation prépondérante de la TEP en oncologie. Depuis lors, de nouvelles preuves ont suggéré son utilité dans le diagnostic et la stadification du cancer, et une modélisation a encore démontré qu'elle pourrait se révéler rentable dans le diagnostic et la stadification du cancer pulmonaire. Les indications pour l'utilisation de la TEP s'élargissent et un grand nombre d'études sont en cours.

Les utilisations de la TEP se sont multipliées, certaines ETM la décrivant comme « une technologie essentielle dans le domaine du cancer ». D'autres études notent que, malgré les données probantes limitées, la technologie a plusieurs applications qui ne peuvent être reproduites par d'autres techniques. Les données économiques disponibles, bien que rares, suggèrent que si la TEP ne n'est pas source d'économies, elle pourrait être rentable (MSAC 2001, AETMIS, 2001) (par exemple quadrant II décrit à la figure 2.2 dans le chapitre 2).

Parmi les 12 pays étudiés, huit ont mené une ETM sur la TEP. Le tableau 3.4 indique si l'ETM a été réalisée, et, lorsque les données sont disponibles, quelle a été sa durée et le moment auquel la technologie a commencé à être utilisée dans chaque pays. Dans la plupart des cas, la première utilisation de la technologie a été suivie rapidement de la publication d'un rapport d'ETM, excepté en Allemagne et au Canada, où s'écoule un laps de temps significatif entre la première utilisation et l'ETM, ce qui peut s'expliquer par l'établissement précoce de la technologie et de l'absence relative d'activité d'ETM à ce moment. Le tableau 3.4 montre également que cinq des huit pays étudiés ont réalisé plusieurs ETM sur la TEP. Ces répétitions la mise à jour économique des informations à partir des derniers résultats probants et des derniers développements technologiques.

Selon l'enquête, d'autres pays ont également activement contribué à la production de données sur la TEP. Aux Pays-Bas au Canada et en Suisse, des projets sont en cours pour étudier son efficacité et sa rentabilité. En outre, des ETM sur la TEP ont été réalisés aux États-Unis, au Royaume-Uni et au Danemark.

Tableau 3.4. Production d'ETM sur la TEP dans les pays étudiés

	Date de la première utilisation de la technologie	Date des rapports ou publication sur les ETM	Durée
Norvège	1998 (approx.)	1999 et 2003	1999 : 6 mois ; 2003 : 2 mois
Irlande	2002		1 mois
Allemagne	Début des années 80	2002	4 ans
Espagne	1995	1998, 1999, 2001	2001 : 6 mois
Japon	Après 1997	2002	
Australie	1995	2000,2001,2002	6 mois
France	1999	1998, 2001,2002	
Canada	1990	1998, 1999 (Alberta). 2002 (Québec)	

Tableau 3.5. Contenu de l'ETM sur la TEP dans les pays étudiés

	Norvège	Irlande	Allemagne	Espagne	Japon	Australie	France	Canada (Québec)
Efficacité	√	√	√	√	√	√	√	√
Qualité/innocuité	√	√		√	√	√	√	√
Implications psychologiques, sociales et éthiques								
Implications organisationnelles et professionnelles	√	√					√	√
Rentabilité	√	√	√			√		√
Dépense totale		√	√	√		√	√	
Charge de la maladie			√	√	√	√		√
Gravité de la maladie					√	√		
Considérations d'équité		√			√			
Bénéfices sociaux				√	√			
Préférences du patient								
RD/industrie								
Délais d'attente				√				√
Absence de traitement alternatif								

Le tableau 3.5 présente les thèmes couverts par les ETM sur la TEP effectuées dans les pays étudiés. Toutes les ETM traitaient de l'efficacité et cinq de la rentabilité. Aucune ne s'est préoccupée des préférences des patients, alors que ce paramètre pourrait se révéler important dans l'évaluation de la TEP, puisque cette technologie est non invasive et représente un éventuel substitut à la chirurgie. De même, les implications organisationnelles de la TEP pourraient être importantes, en particulier la formation du personnel, l'accès à un cyclotron pour produire des isotopes, et les accords entre établissement sur l'utilisation partagée de la technologie. Plusieurs ETM⁸ tiennent compte de ces observations et proposent des recommandations de planification et d'organisation pour l'usage de la TEP.

On notera avec intérêt que la plupart des ETM mentionnent l'absence de données convaincantes sur l'efficacité et la rentabilité de la technologie et en recommande l'usage contrôlé, de préférence assujéti à la poursuite des recherches sur son efficacité et sa rentabilité

La TEP reste à l'heure actuelle une technologie en cours de développement. Les indications se multiplient, et la recherche d'informations diagnostiques plus complètes a récemment conduit au couplage de la TEP à des appareils de TDM. Parallèlement à l'augmentation des données probantes disponibles, du nombre des utilisations et des indications de la TEP, et du développement technologique, certains pays (voir tableau 3.4) ont réalisé plusieurs ETM. Le secteur innovant pourraient éventuellement tirer des informations importantes des ETM. Celles-ci pourraient mettre en évidence des domaines d'incertitude et suggérer de nouveaux champs de recherche. Elles pourraient également souligner les aspects de la technologie à modifier pour améliorer, par exemple, la rentabilité ; si les analyses étaient plus rapides les rendements augmenteraient, et par conséquent la rentabilité de la technologie aussi.

Le tableau 3.6 présente le rôle envisagé pour l'ETM de TEP et le public visé dans les pays étudiés. Dans la plupart des pays, l'ETM de TEP est dédiée aux décisions de remboursement et de couverture. Son rôle est également de communiquer des informations aux prestataires de soins, bien que ce groupe ne soit pas toujours le premier public visé. L'information des prestataires serait donc un objectif secondaire pour certains pays.

Le public habituellement visé par les ETM en TEP comprend les décideurs politiques et les administrateurs d'hôpitaux et de soins de santé, ce qui n'est pas surprenant au regard des coûts d'investissement et de fonctionnement exigés pour l'installation et la mise en œuvre d'un centre de TEP⁹. Il est très vraisemblable que les décisions de financement et d'investissement relatives à la TEP puissent excéder les ressources d'un seul hôpital et qu'il convienne de les prendre à un niveau plus élevé du système de santé, tel que les Ministères provinciaux ou nationaux de la santé.

8. Par exemple, celle effectuée par l'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS, Québec) et le Comité d'évaluation de diffusion des innovations technologiques (CEDIT, France).

9. Par exemple, le CEDIT indique que les dépenses en infrastructure pour un système de TEP s'élèvent à 1.9 millions d'EUR outre les coûts d'implantation. Le budget de fonctionnement annuel est aux environs de 300 000 EUR.

Tableau 3.6. L'ETM de TEP : pourquoi et pour qui?

	Norvège	Irlande	Allemagne	Espagne	Japon	Australie	France
Rôle envisagé pour l'ETM							
Documenter les décisions de remboursement et de couverture	√	√	√	√	√	√	
Documenter les décisions de planification et d'investissement en soin de santé		√					√
Informer les patients ou les citoyens							
Informer les prestataires	√	√		√	√	√	
Quelle est le public visé par l'ETM?							
Décideurs politiques	√	√	√	√	√	√	√
Tiers payant					√		
Directeurs/administrateurs d'hôpitaux	√	√		√			√
Prestataires de soins				√	√		
Patients/citoyens							

Le tableau 3.7 présente les procédés utilisés pour diffuser les rapports d'ETM. La plupart a été propagée par diverses techniques : l'usage généralisé du réseau internet, des bulletins et des messages par courrier électronique, ainsi que des bases de données telles que celles établies par l'INAHTA. Quatre ETM s'inséraient directement dans le processus décisionnel (décision de financement ou de planification et d'investissement).

Tableau 3.7. Techniques de diffusion des ETM sur la TEP

	Norvège	Irlande	Allemagne	Espagne	Japon	Australie	France
Site Internet	√		√	√		√	√
Conférences							
Média							
Distribution ciblée de rapports et de bulletins	√			√	√	√	
Entrée dans une base de données	√		√	√		√	√
Edition universitaire			√				
Lien direct avec un décideur		√	√			√	√
Directives							

Technologies relatives à l'AVC¹⁰

L'accident vasculaire cérébral est une cause majeure de morbidité et de mortalité dans les pays développés. Il peut être provoqué par une diminution du flux sanguin irriguant une partie du cerveau (ischémique) ou par une hémorragie cérébrale (hémorragique). Ces deux causes entraînent un infarctus ou la mort d'une partie du cerveau. La majorité des AVC sont de nature ischémique (85 %). Les signes cliniques d'une attaque dépendent de la zone du cerveau affectée et comprennent l'engourdissement, la faiblesse, des troubles de la parole et de la vision. L'incidence augmente avec l'âge ; les facteurs de risque incluent l'hypertension et le diabète. Les AVC grèvent une part importante des ressources en traitement et en soins de longue durée, mais grâce à l'amélioration du contrôle des facteurs de risques, ce poste diminue. La thérapie thrombolytique est depuis récemment envisagée pour le traitement dans les trois heures qui suivent le déclenchement d'une attaque ischémique aiguë.

Le traitement administré aux patients subissant une attaque commence par les soins actifs aux stades initiaux et se poursuit par les soins de réadaptation de longue durée. Cet enchaînement peut suivre différents modèles d'organisation, dont l'un des exemples spécialisés est l'unité d'AVC. Dans ce cas, un groupe de spécialistes multidisciplinaire prend exclusivement en charge des patients AVC et ne les mêle pas aux autres patients admis, et ceci dans un cadre général ou gériatrique. Une unité d'AVC peut couvrir la phase aiguë, la phase de réadaptation ou les deux. Une planification minutieuse des sorties caractérise également les unités d'AVC. Les services d'AVC, tels que ceux proposés aux Pays-Bas, se prolongent au-delà de la phase de soins hospitaliers et englobent des services communautaires élargis qui sont dispensés après la sortie de l'hôpital.

La production de données probantes relatives aux unités d'AVC

La première occurrence sur les unités d'AVC date de 1969 et la première citation contenant des informations économiques apparaît en 1979. Relativement peu d'articles ont été publiés avant 1992 et l'augmentation du volume de la littérature est restée relativement lente. En 2002, on compte 67 citations sur les unités d'AVC, et parmi celles-ci, seulement trois mentionnent des références économiques.

Six ETM traitant des unités d'AVC ont été identifiées dans la base de données INAHTA et publiées entre 1992 et 2003. Le premier rapport suggère que même si les unités d'AVC améliorent les résultats cliniques, de nouvelles données sont nécessaires. Le terme « unités d'AVC » recouvre des types de services extrêmement différents, et en particulier des services dispensés en aval des soins hospitaliers (par exemple, des services communautaires). Les premières ETM présentant des essais sur les unités d'AVC qui comportaient des services de soins intensifs étaient décevantes. Les résultats concernant les unités d'AVC de réadaptation étaient plus encourageants, mais il était malgré tout difficile de déterminer à quelle composante des services d'unités d'AVC attribuer les résultats.

10. La plupart des pays étudiés se sont spécialement intéressés aux unités d'urgence cérébro-vasculaire dans cette étude de cas. L'approche a été élargie aux Pays-Bas et a mis en évidence l'expérience dans les services d'AVC, tandis qu'en Norvège, elle s'est centrée sur l'utilisation de la thrombolyse dans le traitement des accidents vasculaires cérébraux.

Les dernières ETM réalisées entre 1999 et 2003 ont conclu que les unités d'AVC réduisaient la mortalité et que les preuves étaient convaincantes. Les chances de survies et de retour au domicile des patients accueillis dans les unités d'AVC de réadaptation étaient plus élevées que celles des patients ayant reçu les mêmes services dans l'environnement général. Une méta-analyse Cochrane des influences a confirmé cette observation. Des surcroît, ces dernières ETM signalent des indices selon lesquels le coût des soins en unités d'AVC serait comparable à celui de l'environnement général (c'est-à-dire quadrant I ou II à la figure 2.2) (Noorani *et al.*, 2003).

Concernant les technologies liées à l'AVC, l'intérêt des norvégiens s'est surtout axé sur l'utilisation de la thérapie thrombolytique dans le traitement d'une attaque. Dans un rapport d'ETM, le Centre pour l'évaluation des technologies de la santé (SMM) norvégien conclut à l'incertitude pesant sur les résultats de la thérapie thrombolytique dans le traitement d'une attaque, et au risque d'hémorragie intracrânienne et à celui d'une administration inadéquate de médicaments. Lors de l'évaluation des données cliniques, le groupe de travail norvégien a également découvert que le traitement était onéreux et engendrait un coût de renonciation significatif. Selon leur conclusion, il conviendrait de dispenser ce traitement aux patients ayant subi un AVC sous forme de nouvelles études cliniques contrôlées randomisées (SMM, 1999).

Le tableau 3.8 indique les dates des rapports sur les technologies d'AVC dans les pays étudiés. Il est important de noter que l'ETM norvégien se réfère à la thérapie thrombolytique et que l'ETM néerlandaise englobe des services d'AVC plus larges en aval de ceux proposés dans les hôpitaux. Cette dernière inclut également des résultats de recherche fondamentale, résultat d'un programme pilote proposant différents modèles de soins d'AVC dans tout le pays. L'évaluation de ces modèles était axée sur le développement du dispositif de soins optimal dans l'objectif d'une implémentation nationale et incluait une analyse coût-efficacité.

Un intervalle de temps significatif sépare le début de les premières conceptions d'unités d'AVC et leur introduction dans le système de santé. Les rapports d'ETM ont été publiés peu de temps après l'introduction initiale des unités d'AVC. Le tableau 3.8 démontre également que l'ETM pour les unités d'AVC n'a été répétée dans aucun pays.

Un autre facteur qui complique l'évaluation des unités d'AVC est la variation qui affecte les interventions au cours du temps et également à l'intérieur d'un même pays et entre les pays. Il est par conséquent difficile de déterminer quels aspects des services d'unités d'AVC sont efficaces et dispensent les meilleurs soins. L'analyse comparative de l'efficacité et de la rentabilité est donc assez confuse et la généralisation des résultats d'études entre établissement est délicate. La poursuite des recherches en vue de la conception d'un forfait de services optimal englobé dans les unités d'AVC est nécessaire.

Tableau 3.8. **Production d'ETM sur les technologies liées à l'AVC dans les pays étudiés**

	Date de première utilisation de la technologie	Date de rapport ou de publication d'ETM	Durée
Norvège	1994 (en essais)	1999	Approx. 4 mois
France	1985	2000	18 mois
Pays-Bas	2002		3 ans
Mexique	1997		6 mois
Allemagne	1994	2000	6 mois
Canada		2003	

Le tableau 3.9 présente les sujets couverts par les ETM sur les technologies d'AVC dans les pays étudiés. Toutes les ETM traitaient le thème de l'efficacité et quatre celui de la rentabilité. Par rapport aux ETM de TEP, les ETM d'AVC couvrent une gamme de sujets plus larges et tiennent compte des préférences des patients et des implications sociales. En effet, les effets exercés par les AVC sur les soignants sont plus amples et les outils de mesure des fonctions du patient après une attaque sont mieux développés. Les ETM sur les AVC s'intéressaient également aux implications organisationnelles, peut être en raison des problèmes posés par l'intégration de plusieurs disciplines et services en une seule unité cohésive.

Malgré l'ancienneté des premières unités d'AVC, plusieurs ETM démontrent qu'il subsiste une incertitude considérable au sujet de leur rentabilité.

Le tableau 3.10 décrit plus précisément le rôle envisagé pour les ETM relatives à la technologie d'AVC dans les pays de l'enquête, ainsi que le public qu'elles visent. Dans la plupart des cas, l'ETM sur les unités d'AVC a été réalisée pour contribuer aux décisions de planification et d'investissement, ainsi que pour informer les prestataires de soins.

Le public essentiellement visé par une ETM de technologie d'AVC comprend les responsables politiques et les administrateurs d'hôpitaux et de soins de santé. L'établissement d'unités d'AVC nécessiterait donc une prise de décision au niveau de l'hôpital et un soutien politique permettant la coopération des divers établissements et disciplines. L'ETM norvégienne, dont les conclusions déconseillent l'utilisation de la thérapie thrombolytique pour les patients AVC, avait pour principal objectif d'informer les prestataires.

Le tableau 3.11 détaille les procédés utilisés dans les pays examinés pour diffuser les résultats du rapport d'ETM concernant les AVC. La diffusion employait habituellement une distribution ciblée par alerte par courrier électronique, bulletins et publications sur un site internet. Deux pays signalent une liaison directe avec le décideur.

Tableau 3.9. Contenu des ETM sur les technologies d'AVC

	Norvège	France	Pays-Bas	Mexique	Allemagne	Canada
Efficacité	√	√	√	√	√	√
Qualité/innocuité	√	√	√	√	√	√
Implications psychologiques, sociales et éthiques	√		√	√		
Implications organisationnelles et professionnelles	√	√	√	√		√
Rentabilité			√	√	√	√
Dépenses totales				√	√	
Charge de la maladie	√	√		√		
Gravité de la maladie	√	√	√	√		
Considérations d'équité		√		√		
Bénéfices sociaux		√	√	√		
Préférences du patient			√	√	√	√
Bénéfices économiques		√		√	√	
RD/industrie						
Délais d'attente		√	√	√		
Absence de traitement alternatif		√		√		

Tableau 3.10. Les ETM sur les technologies d'AVC : pourquoi et pour qui?

	Norvège	France	Pays Bas	Mexique	Allemagne
Rôle envisagé pour l'ETM					
Documenter les décisions de remboursement et de couverture			√	√	√
Documenter les décisions de planification et d'investissement en soins de santé		√	√	√	√
Informers les patients ou les citoyens		√	√	√	√
Informers les prestataires	√	√	√	√	√
Quel est le public visé par l'ETM?					
Décideurs politiques	√		√	√	√
Tiers payant			√		√
Directeurs/administrateurs d'hôpitaux		√	√	√	√
Prestataires de soins	√		√		√
Patients/citoyens			√	√	

Tableau 3.11. **Techniques de diffusion des ETM sur les technologies liées à l'AVC**

	Norvège	France	Pays-Bas	Mexique	Allemagne
Site Internet	√	√	√		√
Conférences			√		√
Média	√				√
Distribution ciblée de rapports et de bulletins	√	√	√	√	√
Entrée dans une base de données	√	√			
Edition universitaire			√	√	
Lien direct avec un décideur		√	√		
Directives					

Les enseignements tirés des ETM sur la TEP et les technologies d'AVC

La production de données probantes sur les technologies de TEP et d'AVC présentent de nombreuses similitudes, mais également des différences importantes.

Dans les deux cas, on observe un laps de temps similaire entre le « développement » initial de la technologie et sa première utilisation dans les pays étudiés. Les rapports signalent également qu'il existe pour les deux technologies des lacunes significatives dans les données disponibles, en particulier les données économiques. Cependant, plusieurs ETM ont provisoirement conclu que la TEP pourrait permettre une optimisation des ressources, et une ETM récente sur les unités d'AVC a indiqué qu'elle pourrait absorber un volume de ressources du même ordre que celui consommé par les soins généraux.

Le tableau 3.12 indique que les données probantes ont été citées pour la première fois à peu près au même moment pour les deux technologies, tout comme les données économiques, mais malgré l'âge similaire des technologies, le nombre des publications est très différent. Par exemple, en 2002, on compte 1800 citations pour la TEP, mais seulement 67 sur les unités d'AVC. Au total, il y a quarante fois plus de citations en TEP qu'en unités d'AVC. La base de données INAHTA révèle que le nombre de citations d'ETM en TEP excède toujours celui des ETM sur les unités d'AVC, mais la différence est significativement plus faible. (33 pour 6).

Ces différences ont plusieurs causes, en particulier un biais de l'étude en faveur des technologies commercialisables et des politiques de remboursement qui créent des incitations à étudier les technologies commercialisables.

Tableau 3.12. **Nombre de citations et de rapports d'ETM pour les unités d'AVC et la TEP**

	Nombre total de citations 1966-2002	Nombre total de citations économiques 1966-2002	Première citation	Première citation économique	Nombre de citations D'ETM
Tomographie par émission de positons	19 708	455	1969	1979	33
AVC	490	35	1969	1979	6

Le contenu des ETM dépend largement de la technologie. Toutes traitent les questions d'efficacité, mais les ETM sur les unités d'AVC couvrent généralement un ensemble de sujets plus large, en particulier celui des préférences des patients, peut-être grâce à la disponibilité d'instruments de mesure des fonctions humaines après les soins d'AVC. Pourtant, l'utilisation des technologies de TEP pourrait avoir des implications importantes sur les préférences des patients, outre les issues cliniques. Par exemple, les patients pourraient préférer les caractéristiques non invasives de la TEP à la chirurgie exploratoire.

Enfin, quatre pays étudiés ont mené des ETM sur la TEP à plusieurs reprises, ce qui n'est pas le cas des unités d'AVC dans les pays étudiés (malgré l'incertitude considérable qui caractérisait la période initiale de leur développement). Plusieurs producteurs importants d'ETM ont signalé l'absence de ressources d'évaluation pour réexaminer les technologies, alors même qu'ils accordaient une grande valeur à cette démarche, en particulier pour une technologie en cours de développement.

Discussion

Les technologies médicales pourraient susciter des bénéfices considérables en termes de santé, mais la moitié de l'augmentation des coûts en soins médicaux leur serait imputable. Dans ce domaine, la gageure pour les décideurs est d'exploiter les perspectives stimulantes créées par les technologies médicales tout en garantissant la durabilité et l'équité des systèmes de santé. S'y ajoutent parfois des contraintes et des exigences contradictoires émanant des patients (et des parties imposables), des professionnels de santé, des producteurs de nouvelles technologies et de toute une série d'autres groupes de pression.

Disposer de données probantes objectives est d'importance cruciale pour aboutir à des décisions transparentes et aider les décideurs à résoudre certaines des nombreuses exigences contradictoires engendrées par la politique sanitaire. Sans ces données, l'intégration et la diffusion des technologies ont toutes les chances d'être infléchies par une série de facteurs sociaux, financiers, professionnels et institutionnels, et risquent de produire des résultats cliniques de médiocre qualité. Les démarches récentes telles que la collaboration Cochrane et l'évaluation des technologies médicales sont considérées comme des sources d'informations précieuses pour les décideurs.

Ce chapitre était consacré à la production de l'évaluation des technologies de santé. L'ETM justifie cet intérêt car son objectif est d'offrir des informations plus détaillées aux responsables. L'ETM est une forme d'évaluation qui considère non seulement l'efficacité des technologies, mais également leurs effets plus larges, en particulier les questions légales et sociales et l'efficacité.

Les résultats de l'enquête présentée dans ce chapitre mettent en évidence des « facteurs de succès » clés qui renforcent l'importance que l'ETM pourrait se voir accorder dans le processus décisionnel. Loin de suggérer un modèle homogène unique de réalisation et d'implémentation des ETM, ils révèlent que celles-ci doivent être adaptées aux contextes nationaux et locaux. Toutefois les facteurs de succès présentés ci-dessous démontrent que l'on peut tirer des expériences internationales des enseignements majeurs susceptibles d'être exportés d'un environnement vers un autre.

Investissement en recherche en évaluation clinique et en ETM

Malgré leur importance croissante, la recherche en évaluation clinique et l'ETM n'impliquent que des proportions très minimales des dépenses de santé totales. Plusieurs études soulignent qu'une fonction de l'ETM est d'optimiser les ressources. Cependant, le développement d'une culture de médecine et de politique factuelles exige des investissements solides et à long terme pour garantir la formation adéquate du personnel, le développement de l'expertise et la mise au point de technologies qui accroissent la qualité et la pertinence de l'ETM du point de vue des décideurs. Ces investissements devront intégrer l'élaboration nécessaire de meilleures directives sur les modalités de mise en œuvre de l'évaluation, en particulier de répétitions de l'évaluation, pour des technologies à différents stades de développement. Elles pourraient impliquer l'étude des modalités de réalisation et de communication des ETM, qui dépendent de l'ancienneté et des caractéristiques de la technologie.

Activités de diffusion

Il convient de consacrer une proportion significative des activités d'ETM à la diffusion des résultats. Les rapports d'ETM sont communiqués par divers moyens, en particulier le réseau internet, les messages par courrier électronique, les conférences, les bulletins, les campagnes d'information, les médias et les contacts personnels. Les données indiquant quelles activités de diffusion visant les décideurs sont les plus efficaces restent limitées, bien que quelques indices suggèrent qu'une approche par dossier de présentation serait le vecteur le plus performant à cet égard.

Une diffusion adéquate peut également dépendre de l'existence d'une culture de politique et de pratique factuelles. Les activités pourraient alors inclure ce que l'on appelle désormais la construction d'une *capacité d'assimilation*, par exemple en adaptant les programmes de formation afin de développer les compétences des décideurs dans le domaine de l'analyse et de l'interprétation des données probantes et pour établir une infrastructure d'informations permettant de faciliter l'accès aux données probantes. Pour garantir une meilleure utilisation des ETM, une autre démarche consiste à développer des programmes d'ETM en définissant mieux leur fonction dans le processus décisionnel.

Mesurer l'utilisation des ETM

L'estimation de l'ampleur de la contribution des ETM dans les choix rationnels des décideurs nécessite le développement de structures plus cohésives. Un cadre d'analyse international, doté d'indicateurs de performances reconnus, jetterait des bases plus solides pour le développement des meilleures pratiques encourageant l'utilisation des ETM dans la prise de décision. La production efficiente d'ETM en serait facilitée et son utilisation dans la prise de décision optimisée.

Répondre aux besoins en informations des décideurs

Pour affermir son influence sur les décideurs, l'ETM doit produire les données probantes qu'ils sollicitent, en leur garantissant en temps opportun la disponibilité d'informations adaptées aux priorités de décisions, et tenant compte des dynamiques variées des différents marchés de technologies. L'implication des décideurs très en amont dans les processus d'évaluation pourrait permettre de proposer des informations plus intéressantes et plus pertinentes. Cependant, des tensions occasionnelles se créeront vraisemblablement entre la méthodologie d'ETM et la prise de décision. D'une part, l'intérêt d'une ETM autonome et rigoureuse s'appuyant sur des méthodologies judicieuses est reconnu. D'autre part, il est également nécessaire de garantir l'adaptation de l'ETM au processus décisionnel et aux besoins des décideurs, alors qu'ils peuvent parfois (mais pas toujours) être en désaccord. La production d'ETM en temps opportun est un bon exemple de terrain sur lequel les producteurs d'ETM et les besoins des décideurs divergent, et souligne ainsi la nécessité d'une meilleure communication entre les producteurs et les utilisateurs d'ETM pour garantir la solidité et la pertinence de la méthodologie.

On peut également envisager une d'utiliser l'ETM pour améliorer les interactions entre les décideurs et la communauté innovante. Par exemple, l'ETM met en évidence des zones d'incertitude, suggère des domaines de développement de la recherche et définit des aspects de la technologie à modifier pour améliorer, par exemple, la rentabilité. Ces informations concernent non seulement les décideurs en matière de soins de santé, mais également les innovateurs qui travaillent dans ce domaine, et pourraient intégrer ces informations dans la dynamique de l'innovation médicale.

L'ETM est applicable à toutes les technologies

Ce chapitre a démontré que la production de données probantes privilégiait les technologies commercialisables telles que la TEP, au dépend des technologies de service telles que l'unité d'AVC. L'ETM pourrait permettre de rétablir l'équilibre, et de porter les données probantes, (ainsi que leurs lacunes) au centre du débat en recherche et en politique. Elle pourrait également jouer un rôle dans l'évaluation des technologies plus anciennes, en premier lieu pour mesurer l'effet relatif des nouvelles technologies, puis pour combler le déficit d'informations sur l'efficacité et l'efficacité de quelques aspects actuels de la pratique médicale.

Développement de la méthodologie

Afin de parfaire la méthodologie d'ETM, il conviendra de considérer dans sa mise en œuvre le développement et l'utilisation d'approches plus cohérentes permettant d'incorporer, par exemple, les valeurs et les préférences du patient dans l'évaluation globale.

Diversité des modes de production et de communication de l'ETM

Malgré un consensus international large sur la définition de l'ETM, sa production varie considérablement selon les pays. Cela n'est pas surprenant, puisque l'ETM procède des caractéristiques individuelles du système de santé dans lequel elle s'est développée. Ainsi, de même que les systèmes de santé diffèrent, les ETM diffèrent (Banta, 2003). De toute manière, l'adaptation de l'ETM au système de santé national présente des avantages. En effet, une ETM adaptée aux caractéristiques nationales jouera plus

facilement au niveau de décision adéquat du système de santé, et permettra une meilleure interactions entre les données scientifiques et les valeurs nationales (ou même locales).

Identification des cadres de coopération internationale dans lesquels certains aspects de l'ETM peuvent être optimisés

De l'avis général, la partie de l'ETM concernant le processus d'appréciation devra se restreindre aux contextes nationaux et locaux. Toutefois, d'autres compétences pourraient intervenir dans d'autres parties de l'ETM, spécifiquement dans le domaine de l'évaluation de la technologie. Une collaboration internationale plus intense au niveau de la synthèse des données probantes pourrait générer des économies et éviter la duplication tout en levant des questions méthodologiques importantes concernant les aptitudes au transfert (voir chapitre 6). En effet, de nombreux producteurs différents d'ETM utilisent les mêmes sources de preuves pour leurs études. Le réseau international des organismes d'évaluation de technologies de la santé a accompli une tâche importante grâce à ses évaluations conjointes, sa base de données, et l'élaboration d'une liste de contrôle d'ETM, mais le besoin se fait ressentir de nouvelles collaborations dans ce domaine. Les pays ne disposant pas encore de programmes d'ETM performants pourraient particulièrement bénéficier de cette collaboration.

Références

- Adams, E.J., J. Asua, J.G. Conde Olasagasti, M. Erlichman, K. Flynn and I. Hurtado-Saracho, on behalf of INAHTA (1999), *Positron Emission Tomography : Experience with PET and Synthesis of the Evidence*, International Network of Agencies for Health Technology Assessment, Stockholm.
- AÉTMIS (Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, 2001), "La tomographie par émission de positrons au Québec", rapport préparé par F.-P. Dussault, V.H. Nguyen and F. Ratchet. (AÉTMIS 01-3 RF). AÉTMIS, Montreal.
- Banta, D. (2003), "The Development of Health Technology Assessment", *Health Policy*, 63 : 121-132.
- Battista, R. and M.J. Hodge (1999), "The Evolving Paradigm of Health Technology Assessment : Reflections for the Millennium", *Journal de l'Association médicale canadienne*, 160(10) : 1464-1467.
- CEDIT (Comité d'évaluation de diffusion des innovations technologiques, 2002), "Recommendation on Positron Emission Tomography Coupled with Computer Tomography", December, Reference 02.06, available at <http://cedit.aphp.fr>.
- Cochrane Review (2002), "Organised Inpatient (Stroke Unit) Care for Stroke", *Cochrane Review*, Cochrane Database Syst. Rev. 2002, CD000197.
- Cookson R., A. Maynard, D. McDaid, F. Sassi and T. Sheldon (eds) (2000). "Analysis of the Scientific and Technical Evaluation of Health-Care Interventions in the European Union", report to European Commission, July, disponible à l'adresse suivante : www.lse.ac.uk/Depts/lsehsc/astec_report.htm.

- Dickson, M., J. Hurst and S. Jacobzone (2003), “Survey of Pharmacoeconomic Assessment Activity in Eleven Countries”, *OECD Health Working Papers* no. 4.
- Fuchs, V.R. (1987), “The Counterrevolution in Health-Care Financing”, *NEJM* 1987 ; 316(18) : 1154-6.
- Jonsson, E. (2002), “Development of Health Technology Assessment in Europe : A Personal Perspective”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, Vol. 18, Issue 2, Spring.
- Lehoux, P., J.L. Denis, M. Hivon and S. Tailliez (2003), *Dissemination and Use of Health Technology Assessment in Canada The Perception of Providers, Health Care Administrators, Patients and Industry*, Université de Montreal, May, pp. 171-183.
- Mason J., N. Freemantle and G. Browning (2001), “Impact of Effective Health Care Bulletin on Treatment of Persistent Glue Ear in Children : Time Series Analysis”, *British Medical Journal*, 323 : 1096-1097.
- Maynard, A. and D. McDaid (2000), “ASTEC : The Implications for Policy Makers”, in R. Cookson, A. Maynard, D. McDaid, F. Sassi and T. Sheldon (eds.), “Analysis of the Scientific and Technical Evaluation of Health-Care Interventions in the European Union”, report to European Commission, July, disponible à l’adresse suivante : www.lse.ac.uk/Depts/lsehsc/astec_report.htm.
- McDaid, D. and R. Cookson (2000), “Evaluation Activity in Europe : An Overview - Analysis of the Scientific and Technical Evaluation of Health-Care Interventions in the European Union”, report to European Commission, July, disponible à l’adresse suivante : www.lse.ac.uk/Depts/lsehsc/astec_report.htm.
- Medical Services Advisory Committee (MSAC, 2001), “Positron Emission Tomography”, MSAC Reference 10, Assessment Report, Commonwealth Department of Health and Ageing, August, Canberra.
- National Health Board (2003), “External Evaluation of DACEHTA”, disponible à l’adresse suivante : www.sst.dk.
- Noorani, H.Z., B. Brady, L. McGahan, R. Teasell, B. Skidmore, et T.J. Doherty (2003), “Examen clinique et économique des services de réadaptation après un A.V.C.”, Technology Overview no. 10, Office Canadien de Coordination de l’évaluation des technologies de la santé, Ottawa.
- Norwegian Centre for Health Technology Assessment (SMM, 1999), “Thrombolytic Medication in the Treatment of Stroke : A Summary of the State of the Art with Respect to Medical Effect of the Treatment”, SMM report 2/1999.
- Organisation de coopération et de développement économiques (OCDE, 2003), *Eco-Santé*, 3^{ème} édition.
- Poulsen, P. and M. Horder (1998), “Assessment of Medical Technology in Practice”, *Ugeskrift for Laeger*, Vol. 160, Issue 35, pp. 5041-5044.
- Rosenau, P.V. (2000), “Managing Medical Technology : Lessons for the United States from Quebec and France”, *International Journal of Health Services*, 30(3) : 617-639.
- Sanders, J. (2002), “Challenges, Choices and Canada”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, Vol. 18, Issue 2, pp. 199-202.
- Swedish Council on Technology Assessment in Health Care (SBU, 2000), “Back Pain, Neck Pain – An Evidence-based Review”, Report no. 145.

Chapitre 4

LA PRISE DE DECISION ET SON APPLICATION : UNE ANALYSE DE RESULTATS D'ENQUETE

En matière de soins de santé, les décisions ont une grande influence sur l'utilisation et l'intégration des technologies médicales dans les pays de l'OCDE. Ce chapitre présente les résultats de l'enquête de l'OCDE sur les technologies médicales, axée sur les processus décisionnels et les méthodes d'application des décisions dans les pays étudiés. Il présente les outils politiques utilisés dans les différents pays pour intégrer la prise de décision factuelle et précise les principales composantes du système de santé qui entravent ou facilitent la mise en pratique des décisions. Le chapitre décrit également les modalités adoptées par les différents pays pour intégrer efficacement les technologies dans leur système de santé, en adéquation avec les données probantes et les objectifs du système de santé.

Introduction

Les pays de l'OCDE reconnaissent qu'il est important de fournir aux décideurs des données de fiabilité suffisante pour leur permettre de procéder à des choix informés sur la diffusion et l'utilisation des technologies médicales nouvelles et émergentes. Ces preuves, apportées par exemple par l'évaluation des technologies médicales (ETM), informent les décideurs sur l'effet probable qu'auront les nouvelles technologies sur notre capacité à prévenir, traiter, et prendre en charge la maladie.

Toutefois, la disponibilité d'excellentes données probantes est une condition nécessaire mais insuffisante pour intégrer efficacement les technologies dans le système de santé. L'utilisation appropriée des données probantes dépend, dans une large mesure et comme on le reconnaît actuellement, du processus décisionnel. De surcroît, le système de santé lui-même peut favoriser (ou entraver) les processus décisionnels factuels. Des facteurs institutionnels, organisationnels, politiques, et culturels inhérents au système de santé agissent de concert sur les performances d'intégration des technologies médicales par les responsables politiques.

Ce chapitre du rapport énonce les caractéristiques du processus décisionnel qui aboutit à l'utilisation et à l'intégration des technologies médicales dans les pays de l'OCDE. Il énumère les outils politiques utilisés par les différents pays pour mettre en pratique les décisions prises à partir de données probantes et décrit les principales particularités des systèmes de santé qui entravent et facilitent l'application des décisions. Il décrit également les modalités choisies par les divers pays pour intégrer les technologies dans leur système de santé, conformément aux données probantes et aux objectifs du système de santé.

L'enquête sur les technologies médicales de l'OCDE a permis de collecter des informations, fournies par les décideurs ou des intervenants au fait du processus décisionnel, à partir d'études de cas tangibles de technologies, sur les thématiques suivantes :

- Comment sont prises les décisions relatives aux technologies médicales.
- Comment sont utilisées les données probantes, et en particulier l'ETM, dans ces décisions.
- Comment sont appliquées les décisions.
- Quelles sont les caractéristiques du système de santé susceptibles de faciliter ou d'entraver l'application des décisions.

L'enquête s'est limitée aux processus décisionnels dans 12 pays de l'OCDE¹ concernant cinq études de cas de technologie : tomographie à émission de positons (TEP), génotypage et test de la charge virale de l'hépatite C, télémédecine, dépistage du cancer de la prostate et technologies concernant les accidents vasculaires cérébraux (AVC) (en particulier unités d'AVC ou service d'AVC).

Dans tout système de santé, les décisions sont prises dans le cadre d'un jeu complexe d'interactions entre de nombreux acteurs. Des études précédentes ont classé les différents types de décision à trois niveaux principaux du système de santé :

- Macro (décisions prises au niveau national, provincial ou par la compagnie d'assurance).
- Méso (décisions prises au niveau des autorités sanitaires régionales ou de l'hôpital).
- Micro (décisions prises au niveau du prestataire ou du patient).

L'enquête a surtout considéré les décisions relevant des macro- et méso-niveaux². L'analyse a particulièrement détaillé les points suivants :

- *Décisions de financement et de couverture* : la décision de financer ou de couvrir un produit ou un service par les dispositifs d'assurance privés ou publics. Ces décisions couvrent souvent les dépenses courantes.
- *Décisions d'investissement et de planification* : la décision d'acquérir une technologie, y compris les décisions de planification des soins de santé. Ces décisions peuvent impliquer des dépenses en infrastructure pour des technologies telles que la TEP et la télémédecine.

1. Menée en Autriche, en Australie, en France, en Allemagne, en Irlande, au Japon, au Mexique, aux Pays-Bas, en Norvège, en Espagne et en Suisse. Des entretiens téléphoniques ont été réalisés dans tous les pays étudiés, ainsi qu'au Canada, pour compléter les formulaires de réponses.

2. L'enquête a été effectuée dans des pays dotés de systèmes de santé développés, et c'est pourquoi les résultats correspondent principalement aux processus décisionnels publics. Cependant, les résultats peuvent révéler des caractéristiques importantes des décisions prises au niveau des assureurs et des fournisseurs de soins privés.

La discussion des résultats de l'enquête intègre des consultations auprès des personnes interrogées pendant l'enquête, d'experts et de parties prenantes. Afin de clarifier ou de compléter les réponses à l'enquête, des entretiens téléphoniques ont été menés avec les correspondants concernés

Caractéristiques des processus décisionnels

Dans ce sous-chapitre, sont présentés certains des résultats de l'enquête qui concernent les caractéristiques des processus décisionnels dans les pays étudiés. Ils indiquent à quels niveaux du système de santé sont prises les décisions, les intervenants impliqués et la perception par les personnes interrogées du *caractère raisonnable* (discuté dans la suite de chapitre) du processus décisionnel.

A quel échelon sont prises les décisions?

Les décisions relatives à l'intégration et à la diffusion d'une technologie sont prises à tous les niveaux du système de santé, certaines par le prestataire, d'autres à l'échelon régional et d'autres encore à l'échelon national ou d'un état, et les schémas diffèrent d'un pays de l'OCDE à l'autre : certains sont plus centralisés et d'autres ont délégué la prise de décision aux autorités régionales, aux compagnies d'assurance ou aux prestataires. Le niveau auquel la décision est prise est un élément important du processus décisionnel. Il est vraisemblable que sont impliqués à chaque niveau des perspectives, des responsabilités et des motivations différentes. L'enquête cherche à déterminer dans quels secteurs du système de soins de santé interviennent les décisions des macro- et méso-niveaux relatives à l'intégration et à la diffusion d'une technologie.

L'enquête montre que des décisions sont prises à tous les échelons (macro-, méso- et micro-niveaux) dans le système de santé, en fonction des rôles et des responsabilités des décideurs à chaque niveau. On ne distingue aucun modèle précis commun aux pays de l'OCDE qui définiraient quel type de décision sont prises et dans quel contexte. Ces paramètres semblent plutôt dépendre des spécificités historiques et institutionnelles des systèmes de santé de l'OCDE. La figure 4.1 indique les niveaux de décisions d'investissement pour la TEP et la télémédecine³ dans dix pays de l'OCDE. Dans le cas de la TEP, dont l'infrastructure est très coûteuse⁴, les décisions sont essentiellement entérinées au niveau des gouvernements nationaux et d'états ou de provinces, bien que les prestataires puissent également décider d'investir. Sans surprise, au regard des dépenses en investissement beaucoup plus faibles exigées, les décisions concernant la télémédecine sont plus couramment du domaine des autorités sanitaires régionales et du milieu hospitalier.

La figure 4.1 montre également que les prestataires (dans le cas de la TEP), et les hôpitaux ainsi que les autorités sanitaires régionales (dans le cas de la télémédecine) jouent un rôle important dans les décisions d'investissement. La tendance des politiques sanitaires à déléguer les décisions aux niveaux local, plus à l'écoute des besoins et des désirs du patient, pourrait ici se manifester.

La multiplicité des niveaux de décision tant pour la TEP que pour la télémédecine correspond peut-être à la complexité de ces deux technologies. Par exemple, la TEP exige

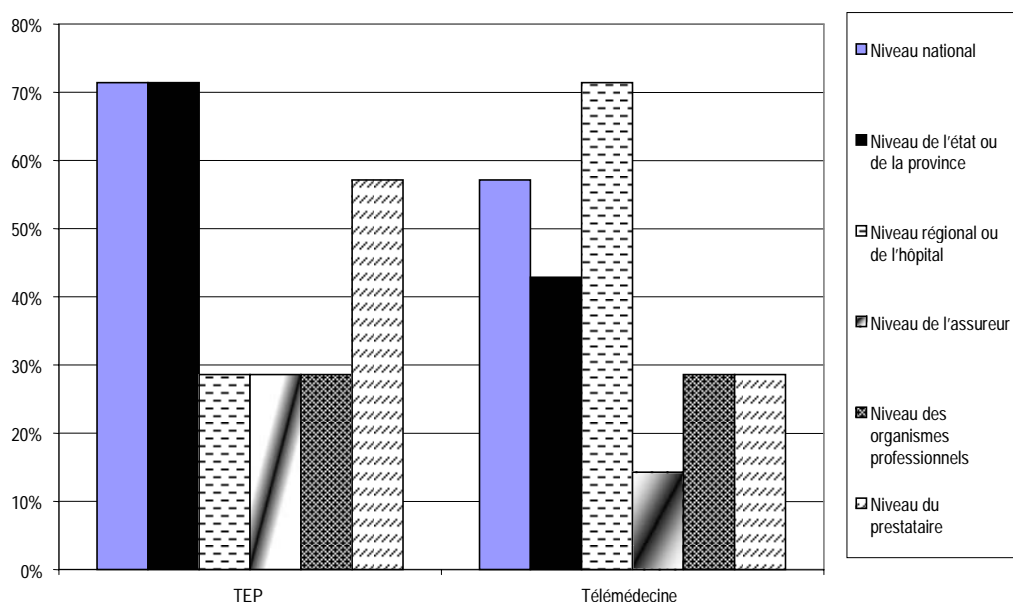
-
3. Ces deux études de cas sont privilégiées ici, car les technologies examinées impliquent des décisions d'investissement importantes ; elles sont soumises à des coûts initiaux, ont des implications en termes de services et illustrent également les différents types d'enjeux auxquels sont confrontés les décideurs.
 4. Estimée à 1.9 millions d'EUR plus les coûts de conception (CEDI, 2002).

un investissement en infrastructure et un budget de fonctionnement considérables, mais aussi, dans une certaine mesure, une coopération et une coordination entre les hôpitaux pour partager efficacement les équipements de TEP. Ces particularités pourraient justifier l'implication des échelons les plus élevés de décision, en particulier les gouvernements nationaux et d'état ou de provinces et/ou les assureurs publics ou privés.

Quant à la télémedecine, elle pourrait mettre en jeu différents niveaux de décisions parce que l'intérêt de la technologie repose en partie sur la nature de ses relations avec le système de santé. Par exemple, tous les utilisateurs du réseau de télémedecine bénéficieront de chaque unité de télémedecine supplémentaire grâce à l'accumulation des compétences professionnelles⁵. Les décideurs locaux, surtout interpellés par les coûts et les avantages acquis au niveau local (plutôt qu'au niveau du système dans son entier), ont tendance à négliger la valeur réelle du réseau dans sa globalité. A l'échelon supérieur, les responsables seront mieux à même de reconnaître la valeur plus générale de ces technologies.

La pluralité des niveaux de décision en matière d'investissements en TEP et en télémedecine met en évidence les forces et les faiblesses que leur multiplication confère au processus. Celles-ci peuvent varier en fonction des caractéristiques spécifiques de la technologie médicale en question. Par exemple, les décideurs locaux seront probablement mieux placés pour envisager l'adéquation de la technologie aux besoins locaux des patients, aux compétences professionnelles disponibles sur place et à l'infrastructure locale. En revanche, la tâche des responsables à l'échelon supérieur concernera plutôt la coordination efficace et la compatibilité des technologies médicales utilisées dans l'ensemble du système de santé. Il pourrait être important de tenir compte de ces paramètres pour prendre des décisions performantes en technologie médicale.

Figure 4.1. Où sont prises les décisions d'investissement



5. C'est le même phénomène qui intervient dans le cas du réseau téléphonique ou du réseau Internet. L'augmentation du nombre des utilisateurs et du volume de l'information augmente la valeur du réseau.

Les entretiens avec les personnes interrogées au cours de l'enquête ont révélé que les processus de décisionnels ne sont pas toujours clairement définis. Plusieurs intervenants restent incapables de déterminer comment et où sont prises les décisions. Par exemple, l'un des interlocuteurs attaché à un hôpital universitaire déclare que le processus de prise de décisions change d'une année à l'autre et dépend de la situation budgétaire globale et des pressions qui pèsent sur ce budget.

L'absence (ou l'absence perçue) de processus décisionnel peut entraver l'intégration efficace des technologies. Premièrement, elle fait douter de la légitimité des décisions qui seront alors moins bien acceptées par les parties prenantes. Deuxièmement, l'intégration des données probantes dans des processus mal définis est plus difficile car les producteurs de ces données sont moins à même de fournir des conseils opportuns et pertinents.

Qui est impliqué dans les décisions?

Le tableau 4.1 énumère les parties prenantes impliquées dans les décisions de financement et d'investissement et de planification. Le tableau montre, à partir de l'échantillon d'études de cas et de pays de cette enquête, que les administrateurs du domaine de la santé, les experts universitaires et techniques et les fonctionnaires gouvernementaux constituaient les groupes les plus fréquemment impliqués dans les deux types de décision. La part la plus congrue revenait aux associations de patients et de consommateurs (n=61).

Tableau 4.1. **Participants impliqués dans la prise de décision**

	Type de décision	
	Financement/couverture	Investissement/planification
Fonctionnaires gouvernementaux	67%	54%
Représentants de l'industrie	21%	25%
Groupes de prestataires	33%	43%
Associations de patients et de consommateurs	15%	4%
Politiciens	24%	29%
Administrateurs de la santé	76%	79%
Experts universitaires/techniques	67%	71%
Autres	12%	14%

Dans certains cas, les personnes interrogées ont mentionné que les perspectives pour les patients étaient indirectement prises en compte par des mesures portant sur la sécurité, l'efficacité, les besoins en soins médicaux et la qualité de la vie. Cependant, ces mesures n'ont pas la capacité d'englober des valeurs (ou des perspectives) plus larges importantes pour le patient, telles que la préférence pour un type de traitement (et non seulement l'issue du traitement).

C'est pourtant une question importante en termes de résultats cliniques et de dépenses de santé. Par exemple, plusieurs études ont noté la proportion élevée de non-compliance aux régimes médicamenteux. Elles ont montré que 5 à 10 % des admissions à l'hôpital sont dues à une absence de compliance, ayant entraîné des résultats sanitaires indésirables substantiels, ainsi que des dépenses supplémentaires pour les hôpitaux, estimées de l'ordre de 0,8 à 1,7 % des dépenses de santé totales (Cleemput *et al.*, 2002). La compliance est en premier lieu découragée par les effets secondaires déplaisants pour le patient qui prend le médicament. Ces facteurs pourraient largement intervenir dans l'estimation de l'efficacité et de la rentabilité finales d'une intervention. La mesure des préférences des patients pourrait jouer un rôle fondamental dans l'évaluation et l'appréciation des nouvelles technologies et préciser ainsi utilement leur valeur.

De nombreux pays de l'OCDE accordent depuis peu une importance à l'inclusion des valeurs du patient ou du citoyen dans la prise de décision. Par exemple, le National Institute for Clinical Excellence (NICE) du Royaume Uni a mis en place des conseils de citoyens afin de tenir compte de l'opinion publique sur les questions essentielles qui alimentent le développement des directives NICE au National Health Service sur l'utilisation des traitements et la nature des soins (Dillon, 2003).

Quels sont les choix à la charge des décideurs?

L'enquête a demandé aux personnes interrogées d'identifier les types de choix du ressort des décideurs. Par exemple, leur réponse peut-elle se limiter à « oui » ou « non » lorsqu'ils décident d'allouer des fonds publics au financement d'une technologie donnée, ou y a-t-il d'autres options ?

L'enquête montre que dans 38 % des cas, seule l'alternative « oui » ou un « non » leur était laissée dans le domaine du financement public des technologies. Dans 12 % des cas, les décideurs pouvaient approuver l'utilisation d'une technologie, mais leur décision sur le financement public était distincte. Dans 50 % des cas, les intervenants ont indiqué que les décideurs pouvaient ajouter des conditions à leur approbation. Par exemple, dans certains pays, ils pouvaient restreindre leurs décisions dans le temps, à un lieu géographique ou à un groupe de patients.

Les approbations conditionnelles se révèlent être une caractéristique importante du processus décisionnel, en particulier, lorsque subsistent des incertitudes relatives aux paramètres de décision essentiels, ce qui est généralement le cas des technologies nouvelles et émergentes. En optant pour une autorisation conditionnelle, les décideurs permettent l'utilisation de la technologie en conditions restreintes, en attendant de réduire l'incertitude ou de collecter de nouvelles informations.

Les approbations conditionnelles sont employées dans de nombreux pays. Par exemple, en Suisse, les tests de génotypage de l'hépatite C bénéficient d'une autorisation de 5 ans. Pendant cette période, les fabricants des tests, les autorités de réglementation et les laboratoires de diagnostic sont chargés de recueillir et d'examiner des données supplémentaires, pour tenter de résoudre des incertitudes fondamentales. Des protocoles rigoureux ont été agréés, dont l'objectif est de fournir des informations aux autorités de réglementation ainsi que des résultats de RD aux fabricants des tests. En Australie également, le financement des appareils et des services de TEP a été recommandé dans des conditions restreintes pour permettre la collecte de données supplémentaires sur lesquelles fonder les décisions futures.

Encadré 4.1. Approbation conditionnelle et modifications proposées en politique pharmaceutique aux Pays-Bas

Dans plusieurs pays de l'OCDE, une transition s'opère entre un épisode de politique de santé publique axée sur la maîtrise des coûts et une période de responsabilisation, les réformes entreprises se fondant sur la mesure, l'optimisation des dépenses et la pratique et la politique factuelles.

Aux Pays-Bas, l'instauration planifiée d'une nouvelle politique pharmaceutique en 2005 illustre parfaitement la prise de décision conditionnelle. Il s'agira premièrement d'imposer l'utilisation obligatoire de directives pharmaco-économiques et deuxièmement de permettre aux fabricants d'exiger le prix fort pour les médicaments innovants.

Ces nouveaux dispositifs introduisent en troisième lieu la notion de réévaluation des nouveaux médicaments innovants après leur intégration dans le forfait d'assurance. Chaque fois qu'une décision autorisera le remboursement d'un nouveau médicament innovant, l'évaluation se prolongera après inscription sur la liste des médicaments remboursés afin de déterminer si les revendications relatives à son utilisation thérapeutiques, son efficacité et sa rentabilité sont validées par des données recueilli sur le terrain. Ainsi, la décision initiale d'inscription d'un nouveau médicament onéreux repose sur l'efficacité en terme de coûts (données issues des essais). Toutefois, les décisions suivantes seront fondées sur des données de rentabilité (issues de l'expérience en grandeur réelle).

Cette politique a pour objectif d'encourager la pratique clinique fondée sur des données probantes nationales émergentes et de faciliter le partage des risques entre payeurs et prestataires/producteurs. La composante de partage des risques s'appuiera sur des accords passés entre les parties prenantes relatifs aux plafonds financiers, au volume, aux parts de marché et à la rentabilité (Rutten, 2003).

Toutefois, pour exploiter les technologies nouvelles et émergentes par le biais de l'autorisation conditionnelle, deux conditions doivent être remplies. Premièrement, il est essentiel de poursuivre la collecte des données, ce qui requiert des ressources, mais également l'engagement des parties prenantes à adopter un protocole de collecte d'un ensemble minimal de données relatives aux critères décisionnels principaux. Dans le cas de la politique pharmaceutique néerlandaise, l'évaluation postérieure à la décision reposera sur des données issues de l'observation et d'une recherche sur les résultats employant des sources de données existantes. Dans le cas de la TEP en Australie et du génotype de l'hépatite C en Suisse, de nouveaux protocoles devront être agréés et de nouvelles données rassemblées.

Deuxièmement, l'approbation conditionnelle n'aura d'effet que si les décideurs, après avoir accédé aux nouvelles informations, réévaluent leur décision, non seulement en théorie, mais également en pratique. Toutes les parties prenantes devront donc s'engager à accepter le processus et à s'en remettre au résultat final de la décision. Les accords de partage des risques entre les producteurs de la technologie et les autorités publiques pourront également être intégrés au processus d'approbation conditionnelle. Ce point est débattu plus avant dans ce chapitre sous l'intitulé « approches innovantes en matière d'application des décisions et la diffusion des technologies ».

L'utilisation du dispositif d'approbation conditionnelle ouvre un accès précoce à la technologie, tient compte des incertitudes inhérentes aux données probantes et peut également intégrer des dispositifs de partage des risques. Grâce à ces mécanismes, les décideurs prennent en compte la valeur de l'innovation, d'après des données obtenues sur le terrain. L'utilisation des dispositifs d'approbation conditionnelle n'est pas encore parfaitement évaluée, mais offre quelques perspectives d'amélioration de l'intégration des nouvelles technologies médicales dans l'administration des soins.

Caractère raisonnable en processus décisionnel

Daniels et Sabins (1997) ont développé un cadre « d'obligation de rendre compte du caractère raisonnable » dans l'objectif d'évaluer l'équité des décisions visant à établir des priorités. Le cadre s'appuie sur quatre conditions : pertinence, transparence, recours et mise en application. Elles sont décrites plus en détail dans le tableau 4.2. Ce cadre a été utilisé dans plusieurs études récentes, en particulier une analyse d'établissement des priorités au Canada et en Norvège. Elle a également reçu une reconnaissance internationale en tant que cadre éthique approprié à l'évaluation de l'établissement des priorités dans les établissements de soins (Martin, *et al.* 2003).

Tableau 4.2. **Conditions pour prendre des décisions raisonnables**

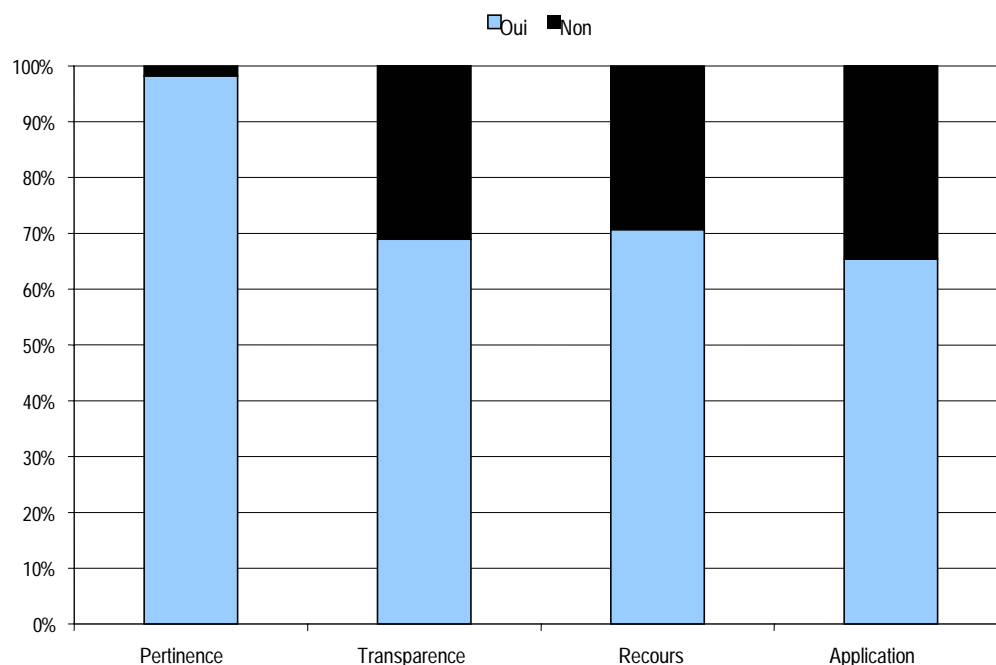
Condition	Description
Pertinence	Les décisions doivent s'appuyer sur des justifications (en particulier des informations et des principes) acceptables par des intervenants impartiaux, répondant à des besoins spécifiques du contexte, limités par des contraintes de ressources. Les intervenants impartiaux sont les parties prenantes susceptibles de prendre les décisions conformément aux règles de coopération mutuelles.
Transparence	Les informations concernant le processus décisionnel, les données et le raisonnement utilisés pour prendre les décisions sont accessibles au public.
Recours	Le processus doit comprendre un dispositif permettant de contester et de débattre les résolutions relatives aux décisions d'établissement des priorités.
Mise en application	Des règles volontaires ou publiques doivent garantir le respect des trois premières conditions.

Source : Adapté de Martin *et al.* (2003).

Au cours de l'enquête sur les technologies médicales de l'OCDE, les personnes interrogées ont été priées de préciser si, selon elles, le processus décisionnel concernant les études de cas dans leur pays remplissaient les quatre conditions énumérées dans le tableau 4.2. Huit questions concernaient le respect des quatre conditions de « caractère raisonnable ». Le processus décisionnel a été classé sur une échelle de niveau de « caractère raisonnable » en fonction du nombre de conditions remplies. La figure 4.2 présente le pourcentage de conditions remplies selon les participants à l'enquête (n = 58). Presque toutes les personnes interrogées considéraient que leur décision était pertinente (c'est-à-dire basée sur des justifications, des données probantes et des principes).

Elles étaient moins affirmatives sur les trois autres conditions de caractère raisonnable. Par exemple, les participants ont indiqué une absence de transparence dans 31 % des cas et aucun mécanisme de recours dans 30 % des cas.

Figure 4.2. **Respect des conditions de prise de décision « raisonnable »**



Acceptation des décisions par les parties prenantes

Les participants à l'enquête ont été priés d'indiquer s'ils pensaient que les personnes concernées par la décision prise acceptaient celle-ci. Globalement, 64 % ont répondu que les parties prenantes acceptaient la décision la plupart du temps et que 36 % l'acceptaient « parfois » ou « presque jamais ». Ils ont également indiqué que le niveau d'acceptation par les parties prenantes du processus décisionnel était un facteur intervenant largement dans le renforcement du soutien aux décisions ultérieures et facilitait par conséquent leur application.

Le tableau 4.3 corrèle le degré de caractère raisonnable du processus décisionnel au niveau d'acceptation des décisions par les parties prenantes. Il montre que lorsque le caractère raisonnable du processus décisionnel est classé à un haut niveau, les parties prenantes acceptent la décision la plupart du temps. Cependant, lorsque le processus décisionnel est peu raisonnable, l'acceptation diminue (n=59).

Tableau 4.3. Niveau d'acceptation en fonction du niveau de caractère raisonnable du processus décisionnel

Niveau de caractère raisonnable	Acceptation des décisions par les parties prenantes	
	La plupart du temps	Parfois ou presque jamais
Elevé	83%	17%
Faible	37%	63%

L'enquête confirme donc que la nature plus ou moins raisonnable d'une décision peut augmenter ou diminuer son acceptation. Il s'agit probablement d'un facteur de succès important dans l'application des décisions.

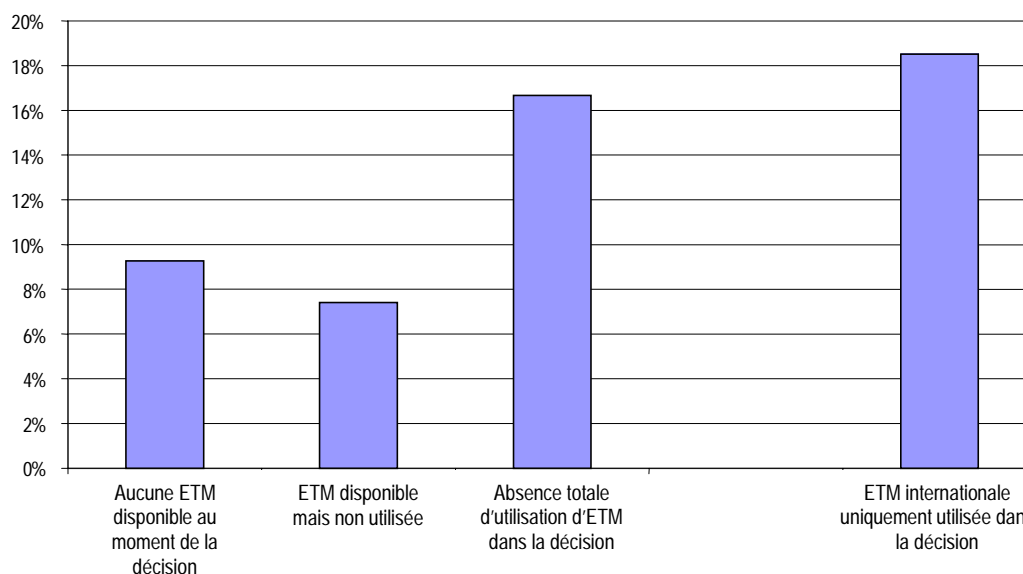
L'analyse des données de l'enquête cherchait également à déterminer si le nombre et la fonction des parties prenantes impliquées dans le processus décisionnel étaient corrélés à une acceptation plus large des décisions par les parties prenantes. Les résultats quantitatifs n'ont ni confirmé, ni infirmé cette hypothèse. Néanmoins, de nombreux intervenants ont donné leur avis qualitatif sur l'importance d'une large implication des parties prenantes dans les performances de la prise de décision et de son application.

Quelles sont les données utilisées dans le processus décisionnel ?

Certaines questions de l'enquête portaient sur la valeur, la disponibilité et l'utilisation de l'ETM pour étayer la prise de décision, et sur le niveau de production, national ou international, de l'ETM utilisée dans la décision. A une majorité écrasante, les intervenants accordaient à l'ETM une valeur élevée pour le processus décisionnel et déclaraient qu'elle répondait à leurs attentes.

La figure 4.3 (n=54) révèle que dans 19 % des cas, seule une ETM internationale a été utilisée pour étayer les décisions. Dans 10 % des cas, aucune ETM n'était disponible et dans 7 % des cas une ETM était disponible, mais n'a pas contribué à la décision concernant la technologie étudiée. Ainsi, au total, aucune ETM n'a été utilisée dans 17 % des cas, ce qui ne préjuge évidemment pas de l'absence absolue de données probantes dans le processus. Par exemple, Lehoux *et al.* (2003) observent, dans un rapport récent, que les décideurs canadiens s'appuient sur diverses sources d'informations en plus de l'ETM.

Figure 4.3. Utilisation de L'ETM dans la prise de décision



Dans l'enquête de l'OCDE, les personnes interrogées indiquaient également s'ils pensaient que le processus décisionnel d'intégration des technologies était « formel » (défini comme une obligation réglementaire ou administrative) ou « informel » (aucune de ces conditions). Huit pour cent (n=69) ont répondu que dans leur pays, le cadre des décisions concernant les technologies faisant l'objet de l'étude était formel.

Les résultats de l'enquête confirment en partie que la probabilité d'utilisation d'une ETM pour étayer une décision sera plus élevée dans un processus décisionnel formel. Plus de 85 % des décisions prises dans le procédé plus formel s'appuient sur une ETM. Ce chiffre chute à 60 % pour la prise de décision « informelle ». Il convient toutefois de noter que la proportion de décisions informelles était faible, et ne s'élevait qu'à 20 % de l'échantillon total (n=69).

Il semble toutefois plausible que l'existence d'une structure décisionnelle favorise l'incorporation des données probantes et des ETM, en partie grâce à la capacité des producteurs d'ETM de cibler leurs évaluations sur des groupes prédéfinis responsables des décisions formelles.

Dans plusieurs pays de l'OCDE, les responsables politiques œuvrent au développement de processus permettant d'améliorer l'utilisation des ETM pour étayer la prise de décision. En Ontario, Canada, le Health Technology Advisory Committee réunit des cadres supérieurs hospitaliers et des experts cliniques afin d'identifier les technologies nouvelles et émergentes. Ce groupe établit des priorités d'évaluation, qui sont mises en œuvre par le Ministère provincial de la santé et des soins de longue durée. Dans le modèle de l'Ontario, les données probantes sont systématiquement incorporées dans la prise de décision au niveau d'un groupe d'hôpitaux appartenant au même système de santé confronté à des problèmes et à des besoins similaires. Le comité a créé un processus grâce auquel les décideurs locaux gèrent le déroulement de l'ETM et augmentent par conséquent la probabilité d'utilisation réelle de ce dispositif.

La politique instaurée en Ontario a pour objet de garantir l'examen des données probantes pendant tout le cycle de développement de la technologie. Elle permet une meilleure utilisation et une meilleure diffusion des évaluations des technologies nouvelles (non médicamenteuses) effectuées sur le terrain pour fournir les preuves nécessaires à la prise de décision. Elle permet également une évaluation précoce d'une technologie fondée sur les questions spécifiques que se posent les décideurs et elle s'ajuste à leur besoin.

Besoins du processus décisionnel et contenu de l'ETM

Pour améliorer l'utilisation d'ETM dans la prise de décision, il convient de s'assurer que les sujets traités par l'ETM répondent aux besoins des décideurs⁶. L'ETM a pour objet d'évaluer les impacts larges de la technologie sur, par exemple, les résultats cliniques et la rentabilité, et englobe également des considérations sociales, éthiques et légales. Toutefois, dans la pratique, comme le montre le chapitre 3, l'éventail des sujets traités par l'ETM est beaucoup plus mince et ils ne satisfont pas toujours les besoins en informations des décideurs.

Le tableau 4.4 montre dans quelle mesure l'ETM satisfait les exigences du processus décisionnel selon les personnes interrogées dans l'enquête. Les domaines thématiques essentiels identifiés comme répondant aux besoins des utilisateurs sont indiqués dans la première colonne. Dans la seconde, sont reportés la proportion des ETM de l'échantillon de l'enquête qui contenait les informations relatives à la liste de sujets de la première colonne. La troisième et la quatrième colonne indiquent les pourcentages de participants pour lesquels un sujet particulier contribuait pour une part importante ou très importante à la décision.

Les résultats du tableau 4.4 démontrent que dans la plupart des cas, le contenu des ETM correspond aux besoins perçus des décideurs en termes d'information sur l'efficacité, la qualité et la gravité de la maladie. On note cependant quelques différences substantielles entre les exigences des décideurs et les données proposées par les ETM. Par exemple, seulement 42 % des ETM contenaient des informations sur l'équité, alors que 82 % et 78 % des décideurs accordaient une importance à cette question dans leurs décisions de financement et d'investissement, respectivement. Dans le même ordre d'idée, seulement 40 % des ETM englobaient des implications organisationnelles et professionnelles, alors que 80 et 95 % des décideurs les considéraient comme importantes dans leur décision de financement et d'investissement, respectivement. Le tableau 4.4 montre également les différences existant entre les décideurs sur l'importance accordée aux sujets spécifiques énumérés dans la première colonne. En général, les sujets d'ETM tels que l'organisation, la rentabilité, les dépenses/économies totales étaient considérées comme plus importants par les personnes interrogées impliquées dans les décisions d'investissement que par celles impliquées dans les décisions de financement.

Le tableau 4.4 démontre que le dialogue entre les producteurs et les utilisateurs d'ETM gagnerait à s'intensifier. Si ce dialogue intervient précocement dans le processus d'évaluation, il est probablement plus facile d'adapter le contenu des ETM aux besoins des décideurs et aux problèmes politiques.

6. Les besoins des décideurs constituent en eux-mêmes un domaine qui pourrait faire l'objet d'un accroissement des connaissances ou d'une pensée de groupe. On suppose dans cette partie du chapitre que les « besoins » sont rationnellement et largement fondés, mais il faut reconnaître que ce n'est pas toujours le cas.

Tableau 4.4. Contenu des ETM et besoins des décideurs

Sujet	Pourcentage des ETM contenant l'information sur le sujet (n=27) %	Pourcentage de personnes interrogées considérant ce sujet comme important ou très important dans la décision	
		Décisions de financement (n=28) %	Décisions d'investissement (n=27) %
Efficacité	96	86	95
Qualité/sécurité	89	91	91
Considérations psychologiques et éthiques	40	67	75
Implications organisationnelles et professionnelles	65	80	95
Rentabilité	74	74	95
Dépenses/économies totales	63	70	91
Charge de maladie	69	81	82
Gravité de la maladie	68	71	67
Equité	42	82	78
Avantages sociaux	62	63	71
Préférences du patient	41	57	64
Industrie/RD	19	38	58
Délais d'attente	36	50	59
Absence de traitement alternatif	24	48	60
Recommandation globale de l'ETM		67	69
Considérations politiques		55	57
Intérêt des média		39	50

Application des décisions

L'application efficace des décisions concernant la disponibilité et la couverture des technologies est un défi majeur pour de nombreux responsables en politique de santé. Les méthodes employées dans cet objectif détermineront dans une large mesure l'influence réelle des décisions sur la pratique et en fin de compte sur les résultats cliniques.

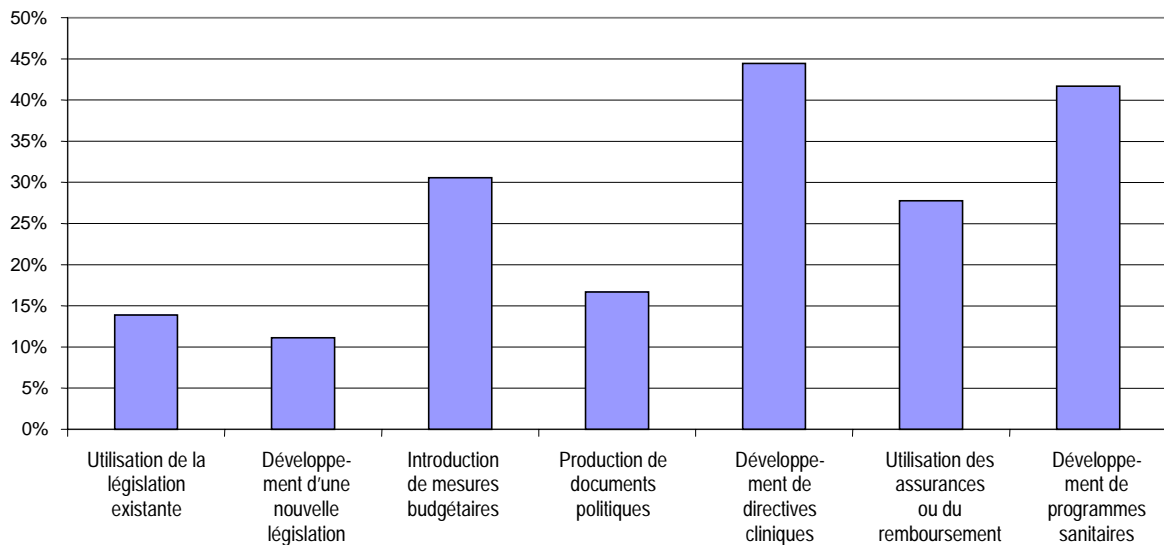
Ce sous-chapitre propose un résumé des modalités d'applications des décisions aux macro- et méso-niveaux dans les pays de l'OCDE concernés par l'enquête. Dans cet objectif, l'application des décisions a été observée sous deux angles. Selon le premier, est considérée la transposition de la décision à la politique, c'est-à-dire que sont étudiés les instruments politiques utilisés par les différents pays pour appliquer les décisions. Selon le second, est envisagée la manière dont a été introduit l'instrument politique dans le système de santé pour tenter d'infléchir les décisions au micro-niveau de la pratique clinique. La figure 4.4 présente les observations selon le premier angle et la figure 4.5 selon le second angle. Cette partie du rapport analyse également comment plusieurs pays ont appliqué des décisions relatives à quelques technologies faisant l'objet d'une étude de

cas. Elle s'intéresse également aux approches innovantes d'instauration des décisions largement utilisées dans les systèmes de santé de l'OCDE.

Etude générale de l'application des décisions

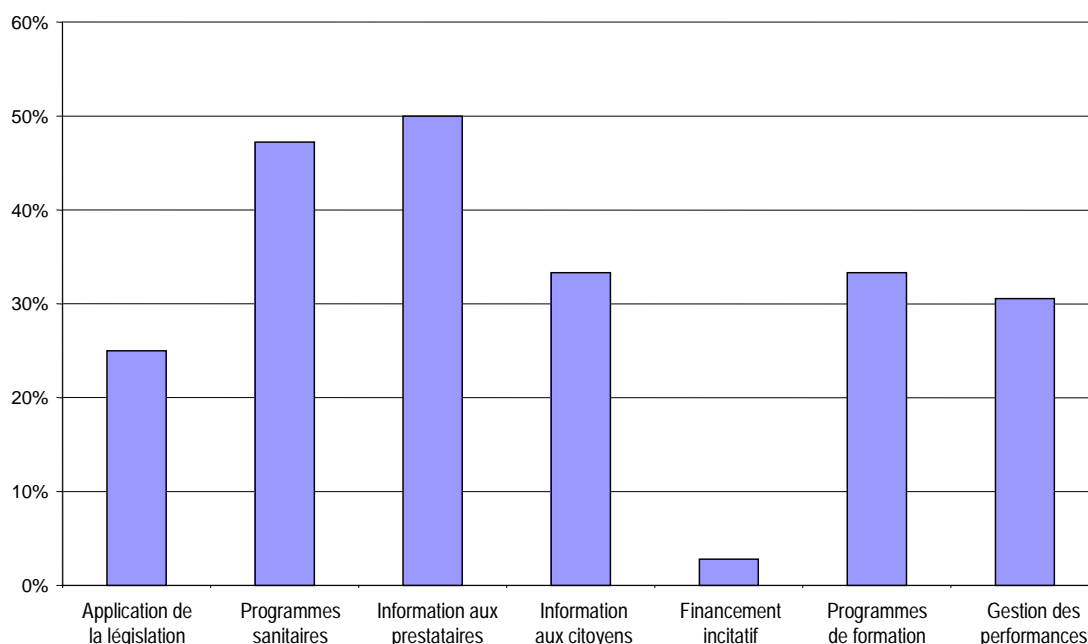
Comme le montre la figure 4.4 (n=36), les décideurs disposent d'un éventail d'options pour appliquer leur décision. Environ 45 % des personnes interrogées mentionnent le développement de directives ou de recommandations cliniques relatives à l'application des décisions. Le développement de programmes sanitaires spécifiques constituait également un procédé d'application courant.

Figure 4.4. Comment les décisions sont transposées dans le domaine politique



L'enquête de l'OCDE a également sollicité des commentaires sur la mise en œuvre des instruments politiques. La figure 4.5 (n=36) présente les résultats. Les programmes de soins de santé directs et la communication d'informations aux prestataires de soins étaient les moyens les plus courants d'implantation des politiques pour informer et influencer la pratique. Les décideurs ont également utilisé des programmes de formation (par exemple des programmes de formation permanente pour les prestataires de soins) destinés à appliquer les décisions politiques dans la pratique clinique. Dans quelques rares cas, un financement incitatif a été utilisé pour tenter d'infléchir la pratique.

Figure 4.5. Comment intervient la politique dans la pratique (clinique)?



Dans de nombreux pays de l'OCDE, les preuves de l'impact des outils politiques sur la pratique clinique sont rares. Si leur efficacité était prouvée, les décideurs pourraient choisir lesquels utiliser aux macro- et méso-niveaux pour influencer la pratique clinique.

L'amplitude actuelle de la variation observée dans les domaines de la diffusion et de l'intégration de la technologie (voir, figure 1.1 au chapitre 1) entre les pays de l'OCDE suggère que l'adéquation entre données probantes, politique et pratique pourrait être améliorée. Une interaction réciproque entre responsables politiques et producteurs d'ETM est envisageable. Les producteurs d'ETM auraient pour tâche de promouvoir les messages issus de l'ETM en s'assurant que ses résultats sont adaptés aux besoins des décideurs, légitimes et largement disponibles. Quant aux décideurs, leur responsabilité est de faciliter l'utilisation des ETM dans la prise de décision et les outils politiques et d'informer les producteurs d'ETM de leur besoins. De meilleurs programmes de formation à l'utilisation des ETM et des relations plus étroites entre les producteurs et les utilisateurs d'ETM permettraient d'atteindre ces objectifs.

Application de décisions négatives

Après considération et approbation des données probantes disponibles, les responsables peuvent bien entendu décider de s'opposer à la diffusion d'une technologie. Diverses raisons justifient ces décisions, mais elles reposent généralement sur la démonstration du manque d'efficacité ou de rentabilité de la technologie, ou sur l'absence de données. Même en cas de décision négative, des étapes actives peuvent être nécessaires à son application. Le Canada et la Norvège signalent deux études de cas de modalités d'une application de décision négative.

Dans tous les pays soumis à l'enquête, les évaluations ont conclu à l'inadéquation d'un dépistage du cancer de la prostate à l'échelle de la population. Aucun pays étudié n'a encore implanté de programmes de dépistage du cancer de la prostate, mais celui-ci est proposé dans de nombreux pays, par exemple, dans les cabinets des médecins. La décision à l'encontre de l'implantation d'un programme de dépistage général reposait principalement sur « l'absence de bénéfices démontrés » plutôt que sur la « démonstration d'un impact négatif » (ainsi, l'initiation des essais de contrôles randomisés, tels que l'étude européenne randomisée de dépistage du cancer de la prostate [ERSPC, European Randomized Study of Screening for Prostate Cancer] en 1994).

Même s'il est universellement reconnu qu'aucun résultat ne démontre d'éventuels bénéfices du dépistage, on pense que le taux de dépistage dans les cabinets médicaux en particulier par les tests d'antigène spécifique de la prostate (PSA), augmentent. Les données comparatives internationales sont rares, mais les statistiques australiennes montrent que (même en l'absence d'un programme de dépistage en tant que tel), plus de 800 000 tests PSA ont été réalisés en 2002. (population de 3,3 millions d'hommes âgés de 45 ans et plus) (AIHW, 2003 ; HIC, 2003). En Allemagne, l'utilisation des tests de PSA a presque doublé entre 1990 et 1995, passant de 793 000 à 1 533 400 (population de 13,7 millions d'hommes âgés de 50 ans ou plus) (Perleth, 2001).

Pour tenter d'assurer l'utilisation appropriée et ciblée du test PSA, les décideurs, les producteurs d'ETM et des groupes de médecins se sont réunis au Québec pour développer un formulaire de consentement éclairé, destiné à informer en détail les patients soumis au test PSA et sous traitement du cancer de la prostate. Les personnes désireuses de se soumettre au test doivent signer ce formulaire et reconnaître ainsi avoir lu et compris ces informations qu'il fournit.

De manière analogue, un groupe de travail d'ETM norvégien sur l'usage de la thérapie thrombolytique a émis des recommandations opposées à l'utilisation élargie de ce traitement pour les patients ayant subi un AVC ischémique aigu. Le groupe de travail a démontré l'incertitude pesant sur les données relatives à la thérapie thrombolytique ainsi que le risque d'hémorragie intracrânienne et d'administration inappropriée des médicaments. La décision du groupe de travail a été directement diffusée en direction des soignants et il apparaît qu'elle est parvenue à limiter l'utilisation de la thérapie thrombolytique chez les patients ayant subi une attaque ischémique aiguë. La participation au groupe de travail de personnes influentes dans le domaine cliniques des soins d'AVC a été considérée comme une composante du succès en Norvège.

Les expériences norvégienne et québécoise montrent que le soutien des leaders d'opinion et des cliniciens peut considérablement affecter la diffusion de la technologie conformément aux recommandations et aux décisions d'ETM locales.

Les outils politiques utilisés pour appliquer les décisions dans les cas de la TEP et des unités et des services d'AVC

Le choix d'outils politiques disponibles pour appliquer les décisions dépend bien entendu des technologies spécifiques en question. Les tableaux 4.5 et 4.6 illustrent les modèles de dispositifs proposés dans les pays étudiés pour appliquer les décisions en matière de TEP et de technologies liées à l'AVC, respectivement. Les dispositifs sont plus nombreux dans le cas de la TEP que dans celui de l'AVC. Par exemple, davantage de pays peuvent choisir d'inclure (ou d'exclure) les services de TEP des systèmes de remboursement publics. Ils peuvent également utiliser pour la TEP des contrôles avant commercialisation.

La plupart des pays étudiés joue sur plusieurs mécanismes pour appliquer les décisions en TEP. En revanche, dans le cas des technologies d'AVC ils ne disposent que d'outils de planifications même si certains d'entre eux emploient des dispositifs du type gestion des performances et que le Mexique peut inclure (ou exclure) les unités d'AVC des programmes de remboursement public.

Tableau 4.5. **Dispositifs politiques disponibles pour gérer la diffusion de la TEP**

	Contrôles pré-commercialisation	Exclusion du remboursement public	Outils de planification pour des technologies spécifiques	Paiements incitatifs aux établissements	Paiements incitatifs aux prestataires	Concurrence encouragée	Audit médical et enquêtes
Australie	√	√	√				√
Autriche	√	√	√				√
France	√		√	√	√		√
Allemagne		√	√				
Irlande	√						√
Japon	√	√					
Mexico			√				
Pays-Bas ⁷			√	√	√		
Norvège		√	√				√
Espagne							√
Suisse	√	√	√				

Tableau 4.6. **Dispositifs politiques disponibles pour gérer la diffusion des technologies liées à l'AVC**

	Exclusion du remboursement public	Outils de planification pour des technologies spécifiques	Paiements incitatifs aux établissements	Paiements incitatifs aux prestataires	Concurrence encouragée	Audit médical et enquêtes
France		√				
Allemagne		√				
Mexique	√	√				√
Pays-Bas		√				√
Suisse		√				√

7. Aux Pays-Bas, la loi sur les protocoles médicaux spécifiques (Chapitre 2) permet au gouvernement de restreindre la diffusion d'une technologie pour des raisons d'efficacité et de qualité. La loi est actuellement utilisée pour dix types de technologies (à savoir la neurochirurgie spécifique, la radiothérapie, la chirurgie cardiaque, diverses transplantations, les soins intensifs néonataux, la FIV et la génétique clinique). Elle n'a pas été employée dans le cas des technologies de TEP.

Le tableau 4.7 présente les pays qui ont accordé un financement public spécifiquement identifié pour l'introduction de la TEP. Cinq pays ont augmenté le financement d'infrastructure pour couvrir (au moins en partie) les dépenses d'investissement supportées par les établissements de soins pour acquérir des machines de TEP. En France, le financement public contribuera en 2004 à l'acquisition dans six régions d'unités de TEP, dans le cadre du plan cancer national. Quatre pays financent les dépenses courantes supplémentaires engendrées par les services de TEP.

Tableau 4.7. **Assistance financière publique aux établissements de soins pour la TEP**

	Financement d'infrastructure	Financement de fonctionnement
Australie	√	√
Autriche	√	
France	√	√
Allemagne ⁸	√	√
Irlande		
Japon		
Mexique		
Pays-Bas		
Norvège	√	
Espagne		
Suisse	√	√

Le tableau 4.8 désigne les pays dans lesquels un financement public supplémentaire a permis d'introduire des unités d'AVC. Dans ce cas, seulement deux pays ont accordé des financements d'infrastructure et de fonctionnement supplémentaires. En Allemagne et en Australie (Nouvelles Galles du Sud), les autorités gouvernementales d'état ou locales ont alloué des fonds aux hôpitaux pour créer des unités d'AVC et dispenser les services essentiels associés à l'amélioration des soins pour les patients AVC, tels que l'accès permanent aux tomodensitographes. Aux Pays-Bas, la mise en place de services d'AVC a été prise en charge par le budget existant, mais un financement supplémentaire a été débloqué pour rémunérer le personnel en charge du programme d'implantation du service d'AVC.

8. L'Allemagne a accordé une assistance financière supplémentaire pour l'acquisition et les dépenses courantes imputées aux machines de TEP seulement dans les hôpitaux.

Tableau 4.8. Assistance financière publique aux établissements de soins pour l'AVC

	Financement d'infrastructure	Financement de fonctionnement
Australie (NGS)	√	√
France		
Allemagne	√	√
Mexique		
Pays-Bas		
Norvège		
Espagne		
Suisse		

Plusieurs pays de l'OCDE ont reconnu l'importance d'établir des programmes de mise en place pour améliorer la politique et la pratique factuelles, en particulier dans le cas de technologies mettant surtout en jeu les services.

Les facteurs qui entravent et qui facilitent l'application des décisions

La conception des programmes d'application des décisions doit prendre en compte plus largement l'influence du système de santé sur le comportement clinique. Le succès de l'application dépend des aspects institutionnels et financiers du système de santé. Certains d'entre eux faciliteront l'application des décisions alors que d'autres l'entraveront.

Lors de l'enquête de l'OCDE, les participants ont été priés d'indiquer quelles étaient, selon leur opinion, les caractéristiques de leur système de santé qui facilitaient ou entravaient le plus manifestement l'application des décisions. Le tableau 4.9 (n=35) présente les résultats des facteurs favorables. Soixante quatre pour cent des personnes interrogées reconnaissent qu'il était important ou très important de disposer d'une source de données probantes fiables sur laquelle fonder les décisions. Quatre-vingt huit pour cent des participants considèrent qu'un complément de financement pour appliquer les recommandations est important (ou très important).

Ces observations suggèrent qu'en l'absence de financement supplémentaire alloué à l'intégration des technologies (celle-ci devant alors être supportée par le budget existant), la tendance est d'adopter des technologies économiques. L'intégration de technologies qui augmentent les coûts, quelle que soit leur efficacité, est parallèlement découragée.

Les personnes interrogées ressentaient comme importante ou très importante la faculté de transférer les ressources d'un budget à un autre état (63 % des réponses). Il s'agit là d'un point crucial lié au problème de financement cloisonné, c'est-à-dire le cas où les décideurs ont la responsabilité d'un budget destiné au financement d'un ensemble défini d'intrants sanitaires (tels que les produits pharmaceutiques).

Tableau 4.9. **Facteurs du système de santé qui facilitent l'application des décisions**

	Pas important	Un peu important	Important	Très important
Les preuves sont tirées d'une source fiable	14%	11%	34%	40%
Adaptabilité des budgets sanitaires	14%	23%	34%	29%
Financement disponible pour l'intégration	6%	6%	35%	53%
Bénéfices directs pour mon département	26%	9%	37%	29%
Mécanismes de paiement encourageant l'intégration	29%	26%	24%	21%
Systèmes de gestion des performances	15%	18%	48%	18%
Parties prenantes impliquées et soutenant les décisions	11%	34%	14%	40%

Le financement cloisonné peut décourager les décisions efficaces. Les décideurs responsables d'un budget cloisonné se cantonneront à déterminer l'impact des coûts de la technologie à l'échelle de leur propre budget, ignorant éventuellement sa valeur, les coûts et les économies réalisées dans d'autres budgets de soins ou plus largement, avec pour conséquence une sous-exploitation potentielle des technologies rentables ou une sur-exploitation des technologies non rentables.

Le tableau 4.10 présente les principaux obstacles à l'application des décisions perçus par les personnes interrogées. Leurs réflexions sur l'absence de souplesse des budgets confirment les résultats du tableau 4.9. Soixante trois pour cent des intervenants pensent que l'absence de complément de financement constitue un obstacle important ou très important à l'application.

Tableau 4.10. **Obstacles à l'application des décisions propres au système de santé**

	Pas important	Un peu important	Important	Très important
Aucune souplesse dans le transfert des ressources entre budgets	14%	23%	34%	29%
Aucune ressource ne peut être dégagée pour l'adoption de nouvelles technologies	6%	17%	23%	54%
Les mécanismes de paiement découragent l'intégration	27%	15%	36%	21%
Trop peu de mécanismes pour informer les prestataires sur la politique	21%	32%	26%	21%
Aucun avantage direct pour mon département	34%	17%	20%	29%

Soixante-quinze pour cent des participants ont le sentiment que le mécanisme de paiement de leur système de santé décourage l'application des décisions. Comme le démontre le tableau 4.9, 45 % des réponses estiment que ce paramètre joue un rôle important d'incitation à l'intégration des politiques. Toutes ces observations sont confirmées par les commentaires de nombreux interlocuteurs qui soulignent les cas dans lesquels le mécanisme de paiement a découragé la conformation de la pratique aux données probantes fournies. Les résultats de l'enquête suggèrent que l'application des

décisions pourraient être plus efficace si les mécanismes de paiement des prestataires étaient mieux accordés à la prise de décision factuelle.

Approches innovantes en matière d'application des décisions et de diffusion des technologies

De nombreux pays de l'OCDE aménagent leur système de santé par des politiques qui mettent l'accent sur la mesure et l'obligation de rendre compte. Les moteurs de cette nouvelle orientation sont les concepts d'optimisation des ressources et de politique et de pratique factuelles, notions dont l'assimilation est lente (Rutten, 2003).

De nombreux responsables politiques de l'OCDE sont confrontés à de nouveaux défis dans le domaine du développement d'outils politiques garantissant les niveaux optimaux de diffusion ou d'utilisation. Le niveau optimal est atteint lorsqu'un certain nombre d'objectifs du système de santé sont pris en compte, en particulier la sécurité, l'efficacité, l'optimisation des ressources, l'équité et la réactivité du système.

Ces dernières années, de nombreux gouvernements de l'OCDE ont adopté des outils politiques conçus pour atteindre simultanément plusieurs objectifs des systèmes de santé. Les exemples suivants d'outils innovants, sans être exhaustifs, illustrent des mécanismes qui intègrent des technologies médicales conformément aux multiples objectifs et aux meilleures données probantes disponibles.

Accord sur les coûts, les volumes et les valeurs

Ces éléments sont couramment utilisés pour transférer et contrôler les dépenses. Selon le programme Medicare de paiement à l'acte australien, des accords prix-volumes ont été contractés pour la pathologie, l'imagerie diagnostique et les anesthésiques. En effet, le gouvernement et les groupements professionnels ont convenu de limiter les dépenses à un certain montant sur une période de 3 à 5 ans. Si l'utilisation excède les prévisions, les prix baissent et inversement (ce dernier cas est resté de l'ordre de l'hypothèse jusqu'à aujourd'hui). Lorsque de nouvelles technologies reçoivent une autorisation de remboursement, les dépenses totales peuvent augmenter ; toutefois, un nouveau plafond est fixé à ce moment. Les dépenses sont ainsi mieux contrôlées, malgré l'absence de plafonnement formel des arrangements financiers.

Certains accords visent à prendre en compte de la valeur de la technologie, mais l'exercice est imprécis. Par exemple, au Royaume-Uni, un accord a été contracté entre le gouvernement l'industrie, les prestataires et d'autres parties prenantes à propos de l'achat et de la fourniture en interféron bêta dans le traitement de la sclérose en plaques. Selon ce dispositif, dans le cas où l'on n'atteindrait pas un niveau d'efficacité préalablement accepté, le gouvernement et le fabricant renégocieraient le prix du médicament. Ce mécanisme peut augmenter la rentabilité et favoriser l'accès aux nouvelles technologies, tout en permettant la collecte simultanée de nouvelles données probantes. Il encourage également le fabricant à promouvoir une prescription adéquate. En effet, l'intérêt des fabricants est que les médicaments soient prescrits aux patients susceptibles d'en bénéficier au mieux, de sorte que soient atteints des niveaux d'efficacité élevés lors du réexamen des prix.

Mécanismes de paiement

Les mécanismes de paiement peuvent considérablement encourager la diffusion et l'assimilation des technologies. Plusieurs pays de l'OCDE s'orientent vers des systèmes de paiements mixtes qui allient des éléments issus de plusieurs dispositifs tels que la rémunération à l'acte, le paiement par capitation et le salaire (Docteur et Oxley, 2003). Ces systèmes de paiement permettent également d'incorporer les données probantes dans le processus décisionnel au niveau du prestataire. Par exemple, dans certains pays, des primes sont offertes lorsque certains objectifs sanitaires sont remplis ou bien les services (ou les produits) très efficaces et très rentables sont relativement généreusement récompensés.

Accords de planification

Les accords de planification entre diverses parties prenantes, incluant les gouvernements nationaux et provinciaux, peuvent contribuer à établir des directives de diffusion. Ils permettent à un organisme central, par exemple, de définir des objectifs fondamentaux et de favoriser la diffusion des technologies conformément à ces objectifs. En Autriche, les décideurs nationaux et régionaux se sont concertés pour définir un programme permettant d'étendre la diffusion des appareils de TEP de 1,23 à 3 à 5 par million d'habitants. Le programme tient compte des besoins cliniques, de la répartition de la population, et de l'équité géographique d'accès.

Programmes d'implantation et de coordination.

Les programmes d'implantation permettraient une diffusion adéquate des technologies lorsque les implications en termes de services sont plus larges, comme le démontrent les exemples néerlandais et norvégien. Aux Pays-Bas, après avoir conclu aux effets positifs de six modèles de services d'AVC pilotes, le gouvernement a décidé de lancer un programme national d'aménagement de services d'AVC. Le groupe de travail chargé de cette tâche a ensuite émis des directives pour développer les services d'AVC, et a défini une stratégie globale permettant leur installation dans 23 régions. Il est actuellement impliqué dans la phase d'installation, et les premiers indices de succès sont encourageants.

Le centre national norvégien pour la télémédecine est un centre de ressources qui rassemble, produit, et offre des informations sur la télémédecine. Il propose son concours en recherche et en développement et diffuse des conseils pour aider le Service de santé norvégien à mettre en place des services de télémédecine. Il est doté d'un programme de recherche actif qui pilote et évalue les nouveaux projets avant leur diffusion. Il examine également les technologies futures, les applications et les modèles de services qui pourraient intéresser dans l'avenir l'offre de services de santé.

Ces programmes d'implantation et de coordination pourraient se révéler particulièrement utiles dans le cas des technologies susceptibles de modifier l'organisation des soins.

Coopération entre prestataires de services

L'amélioration de la coopération entre prestataires et organismes de soins pourrait réduire la pression sur les tarifications compétitives, mais la coopération semble être corrélée à une réduction des taux d'acquisition d'infrastructure lourde (Pritchard, 2002). Elle apparaît également comme un facteur de succès majeur dans l'offre de services multidisciplinaires. Des exemples de ces services comprennent les programmes hôpital à

domicile et les services d'AVC. Ce type d'organisation requiert un continuum parfait d'offres de services proposés par des prestataires très divers appartenant aux secteurs ambulatoire, aigu et communautaire. Leur coopération est vitale pour le succès de ces programmes.

Discussion

Les résultats de l'enquête ont démontré que les pays de l'OCDE utilisaient une large gamme de pratiques décisionnelles pour effectuer leurs choix dans le domaine des technologies médicales nouvelles et émergentes. Certaines caractéristiques essentielles de la prise de décision ont été étudiées pour déterminer lesquelles contribuaient à des choix mieux informés et à une meilleure acceptation des décisions par les parties prenantes. Le chapitre a exposé les opinions des personnes interrogées dans l'enquête et des participants aux groupes de travail sur les caractéristiques des systèmes de santé susceptibles d'améliorer l'application des décisions. Il a également relayé leurs sentiments à propos des obstacles principaux à l'application des décisions.

D'après ces résultats, et lors d'une discussion du groupe de travail à la Haye, plusieurs conclusions se sont imposées en matière d'amélioration du processus décisionnel, d'optimisation de l'utilisation des données probantes dans ce processus et de mise en place des activités.

Processus décisionnel

Des décisions sont prises à tous les niveaux du système de santé. Cette étude a surtout concerné les macro- et méso-niveaux, mais a également étudié comment ces deux niveaux pouvaient influencer la prise de décision au micro-niveau. Pour améliorer le processus décisionnel, il convient tout d'abord de déterminer le niveau auquel le décideur est le mieux placé pour prendre une décision particulière. Une fois déterminé s'il s'agit du macro-, du méso- ou du micro-niveau, les décideurs seront mieux habilités à effectuer des choix efficaces. Les études de cas de technologies présentées dans ce projet démontrent qu'il est parfois fondamental de répartir la prise de décision sur plusieurs niveaux. Ils révèlent également que le rôle de la prise de décision peut varier en fonction des caractéristiques particulières de la technologie.

Dans un nombre de cas significatif, aucun moyen évident d'identification d'un processus décisionnel bien défini concernant le financement, l'investissement et la planification des technologies médicales n'était disponible. Sans processus clair, ou si ce processus n'est pas connu, il n'y a aucune transparence et il est difficile de diffuser efficacement les résultats de l'ETM.

Les sphères les plus couramment impliquées dans la prise de décision comprennent celle des administrateurs de la santé, des fonctionnaires gouvernementaux et des experts universitaires ou techniques. Les associations de patients et de consommateurs étaient les moins susceptibles d'être impliquées dans les décisions de financement ou d'investissement. Toutefois, plusieurs pays reconnaissent à présent la nécessité d'inclure les patients et les citoyens dans leurs processus décisionnel, ainsi que d'établir des priorités. Par exemple, le National Institute for Clinical Excellence du Royaume Uni a mis en place un conseil de citoyens en 2002.

Dans un nombre croissant de pays, les décideurs sont habilités à autoriser une technologie sur une base conditionnelle, ce qui ouvre un accès limité sous réserve d'essais. Les mécanismes d'approbation conditionnelle permettent de poursuivre la

collecte des informations sur la technologie pour résoudre des incertitudes fondamentales. Ils peuvent simultanément réduire les nombreux risques associés à la diffusion élargie d'une technologie de valeur incertaine. Toutefois, une utilisation adéquate de l'approbation conditionnelle dépend de la capacité des décideurs à collecter de nouvelles informations et à retirer tout appui à une technologie qui se révèle relativement inefficace ou inefficace. Tout aussi importante est l'aptitude des décideurs à renforcer ou à confirmer leur soutien si la technologie se révèle efficace ou efficiente.

La notion de processus décisionnel « raisonnable », qui permettrait d'élargir le soutien des décisions par les parties prenantes, est reconnue. C'est ce soutien plus large qui détermine le succès de l'application.

Utilisation de l'ETM dans la prise de décision

L'analyse des résultats de l'enquête signale un nombre significatif de cas dans lesquels les décideurs n'ont pas utilisé ou ne disposaient pas d'ETM. Malgré la notoriété des technologies faisant l'objet des études de cas dans cette enquête, aucune ETM n'a été utilisée dans 17 % des décisions prises. Il est nécessaire de mieux conformer le contenu des ETM aux besoins des décideurs. L'écrasante majorité des personnes interrogées accordait une grande valeur au rôle de l'ETM dans le processus de décision, mais suggérait son amélioration éventuelle par une meilleure adaptation de l'ETM aux problèmes politiques, à la technologie et aux besoins des décideurs, en garantissant en particulier la disponibilité en temps opportun de l'information, conformément aux priorités de décision, et tenant compte des dynamiques variables des différents marchés des technologies. Un meilleur ajustement de l'ETM aux besoins des décideurs reste de la responsabilité des producteurs et des utilisateurs d'ETM. Plusieurs pays de l'OCDE (surtout les plus petits) disposent de ressources en ETM limitées. Ils dépendent souvent des ETM internationales et sont confrontés aux difficultés de transfert des évaluations d'un environnement à l'autre, qui sont discutées plus avant dans le chapitre 6.

Il semble plus facile d'utiliser les ETM lorsque les données probantes produites peuvent d'insérer dans les réseaux de prises de décision du système de santé. De surcroît, leur probabilité d'utilisation s'élève lorsque plusieurs conditions sont remplies, telles que le choix informé d'instruments politiques, un engagement préalable à utiliser les résultats d'évaluation des technologies, et une méthodologie d'évaluation des technologies appropriée (Boer, 2003). Il en résulte que l'évaluation de la technologie doit elle aussi être adaptée aux questions politiques et interagir plus largement avec l'innovation et les autres aspects de mise en place des politiques.

Application des décisions

L'application performante des décisions dépendra de l'efficacité des outils de mise en place et des facteurs liés au système de santé qui entravent ou facilitent cette application.

On a montré que l'utilisation de données de haute qualité et fiables jouait un rôle prépondérant dans le succès de l'application des décisions, ainsi qu'une grande mobilité des ressources et l'aide au financement de l'intégration des nouvelles technologies. Plusieurs pays de l'OCDE en sont conscients et ont établi des accords de compléments de financement pour faciliter l'acquisition et l'utilisation des nouvelles technologies en fonction des besoins sanitaires, des preuves d'efficacité et de rentabilité et d'équité d'accès.

Les décideurs disposent d'un large éventail d'outils d'implantation, dont la portée varie en fonction de la technologie. Par exemple, la plupart des pays disposaient d'une série de moyens permettant l'application des décisions concernant la TEP, mais de beaucoup moins d'outils pour les unités et les services d'AVC. Il est donc nécessaire de concevoir des instruments mieux adaptés aux perspectives offertes par des technologies spécifiques et aux obstacles éventuels (involontaires) érigés par les rigidités institutionnelles du système de santé global. La conception d'outils intégrés et de politiques de diffusion adéquates de technologies spécifiques est traitée dans le chapitre 8, consacré aux nouveaux progrès médicaux dans le domaine de la biotechnologie.

Il est nécessaire d'adapter les instruments de la politique sanitaire aux meilleurs données disponibles, en particulier de développer ou de créer des outils qui incitent les décideurs (à tous les niveaux du système de santé) à incorporer les données probantes dans leur choix, ou à lever les doutes concernant l'intérêt de cette démarche.

Le financement cloisonné peut entraver l'adoption efficace de technologie. Les décideurs responsables d'un budget propre étroitement défini répugneront à adopter des nouvelles technologies qui pourraient accroître leurs dépenses, même si les preuves suggèrent que la technologie pourrait être globalement économique (par exemple, en équilibrant les coûts et/ou les avantages thérapeutiques pour les patients). L'impact des incitations sur les achats efficaces doit être éclairci. Il est également nécessaire d'identifier des procédés qui adaptent les incitations aux données probantes ou aux objectifs du système de santé.

Ces dernières années, de nombreux pays ont abandonné les contrôles sommaires de l'utilisation et de la diffusion des technologies par le biais de l'offre. A l'entrée dans une nouvelle ère qui privilégie l'optimisation des ressources, la mesure et l'obligation de rendre compte, les pays de l'OCDE développent et utilisent des outils politiques destinés à intégrer simultanément plusieurs objectifs des systèmes de santé. Certains de ces instruments politiques innovants prennent en compte la valeur des nouvelles technologies, mais reconnaissent également les incertitudes qui caractérisent l'innovation médicale. Les pays de l'OCDE ont également mis en place des mécanismes de partage des risques pour permettre un accès précoce aux technologies sûres. Bien qu'il soit nécessaire d'évaluer ces nouveaux mécanismes plus en détail, ils offrent quelques perspectives d'amélioration de l'intégration des nouvelles technologies médicales dans l'administration des soins.

Références

- Australian Institute of Health and Welfare (AIHW, 2003), *Australia's Health 2003*, Australian Government Press, Canberra.
- Boer, A. (2003), Presentation given at Workshop on Health-related Technologies, The Hague, 27-28 October 2003.
- CEDIT (Committee for Evaluation and Diffusion of Innovative Technologies, 2002), "Recommendation on Positron Emission Tomography Coupled with Computer Tomography", Reference 02.06, December, available at <http://cedit.aphp.fr>.
- Cleemput, I., K. Kesteloot and S. Degeest (2002), "A Review of the Literature on the Economics of Non-compliance : Room for Methodological Improvement", *Health Policy*, 59 : 65-94.
- Daniels, N. and J. Sabin (1997), "Limits to Health Care : Fair Procedures, Democratic Deliberation and the Legitimacy Problem for Insurers", *Philosophy and Public Affairs*, 26 : 303-350.
- Dillon, A. (2003), "The National Institute for Clinical Excellence", presentation given at Workshop on Health-related Technologies, The Hague, 27-28 October 2003.
- Docteur, E. and H. Oxley (2003), "Health-Care Systems : Lessons from the Reform Experience", OECD Health Working Papers, No. 9.
- Lehoux, P., J.L. Denis, M. Hivon and S. Tailliez (2003), *Dissemination and Use of Health Technology Assessment in Canada : The Perception of Providers, Health-Care Administrators, Patients and Industry*, Université de Montréal, May.
- Martin, D., K. Shulman, P. Santiago-Sorrell and P. Singer (2003), "Priority Setting and Hospital Strategic Planning : A Qualitative Case Study", *Journal of Health Services Research and Policy*, Vol. 8., No. 4, 197-201.
- OECD (2003), *A Disease-based Comparison of Health System Costs : What is Best at What Costs*, Paris.
- Perleth, M., R. Busse, B. Gibis and A. Brand (2001), "Evaluation of Preventive Technologies in Germany", *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 17 (3) : 329-337.
- Pritchard, C. (2002), "The Social and Economic Impact of Emerging Health Technologies : Mechanisms for Diffusion/Uptake of Technologies and Evidence-based Planning", paper prepared for the OECD Project on Health-related Technologies.
- Rutten, F. (2003), "HTA and Pharmaceutical Policy," presentation given at Workshop on Health-related Technologies, The Hague, 27-28 October 2003.

Chapitre 5

L'UTILISATION DE L'ÉVALUATION DES TECHNOLOGIES MÉDICALES DANS LE SYSTÈME DE SANTÉ : EXPERIENCES ISSUES DE TROIS PAYS DE L'OCDE

Luis Durán-Arenas

Institut Mexicain de la Sécurité Sociale, IMSS

et

Damian Coburn

Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie

Les systèmes de santé déterminent dans une large mesure les modalités d'utilisation par les décideurs des informations fournies par l'évaluation des technologies médicales. Ce chapitre examine les options choisies dans trois systèmes de santé de l'OCDE (Canada, Mexique et Australie) pour répondre aux enjeux posés par l'adaptation et l'incorporation efficace de l'ETM dans leurs structures décisionnelles respectives. Même si des différences notables marquent les approches envisagées, tous les pays ont appuyé leur démarche sur les caractéristiques institutionnelles, organisationnelles, et institutionnelles de leur système de santé

Introduction

Comme il a été préalablement mentionné dans ce rapport, l'évolution des systèmes de santé a suivi des voies extrêmement dissemblables dans chaque pays membre de l'OCDE. Les facteurs historiques, politiques et culturels ont considérablement influencé les institutions et l'organisation des soins. Il n'est donc pas surprenant que les processus décisionnels en matière de soins de santé varient également entre les pays. Le degré de centralisation des systèmes, le niveau de régulation des services et des produits médicaux, et le rôle du gouvernement dans l'administration des soins, pour ne citer que quelques-uns des paramètres, divergent notablement entre les systèmes de santé, avec un impact inévitable sur les processus décisionnels.

L'utilisation de l'évaluation des technologies médicales (ETM) dans la prise de décision en matière de soins est également très variable. Toutefois, alors même que certains aspects des méthodologies d'ETM font l'objet d'un large consensus international, les processus décisionnels et l'utilisation de l'ETM dépendent souvent de critères locaux, en particulier les besoins sanitaires, le financement de la santé et l'organisation de l'offre de services, les objectifs politiques et le niveau d'influence et de contrôle des décideurs eux-mêmes.

Ce chapitre analyse le rôle important des systèmes de santé dans la définition des modalités d'utilisation par les décideurs de l'information fournie par les producteurs d'ETM. Il détermine quelles composantes du système de santé sont aptes à influencer le

fonctionnement de l'ETM, en considérant quelques résultats récents de recherche empirique obtenus au Canada sur les interactions entre producteurs et utilisateurs d'ETM. Ce chapitre expose également les démarches entreprises dans trois systèmes de santé de l'OCDE (Canada, Mexique et Australie) pour adapter et incorporer efficacement l'ETM dans la prise de décisions.

Fonctions de l'ETM

Les principales fonctions de l'ETM définies par l'International Network of Health Care Technology Agencies (INAHTA) sont les suivantes :

- Sécurité des technologies : évaluer les effets indésirables potentiels des technologies diagnostiques et thérapeutiques.
- Efficacité : évaluer la capacité des technologies à produire des effets bénéfiques, en situations idéale et réelle.
- Efficience (évaluation économique) : une fois l'efficacité de la technologie testée, il est nécessaire d'évaluer son application efficiente dans le système.
- Conséquences sociales (prévues et imprévues) : il convient ensuite d'évaluer les conséquences sociales de l'application de la technologie, en particulier d'apprécier son équité, ainsi que le coût de renonciation associé à son utilisation.
- Implications éthiques : considérer les implications éthiques des décisions sur l'incorporation des nouvelles technologies (par exemple, le clonage reproductif humain).
- Acceptabilité, disponibilité, accessibilité et indications d'utilisation : cette étape finale comprend l'évaluation des problèmes opératoires posés par l'incorporation et l'utilisation d'une technologie médicale (Banta *et al.*, 1981, Conde, 1999).

Il convient de noter que chaque ETM individuelle ne traite pas toujours l'ensemble de ces problèmes particuliers (voir chapitre 3 et 4). Toutefois, l'objectif ultime de l'ETM est de contribuer au processus décisionnel par des informations fondées sur les fonctions d'évaluation énumérées ci-dessus, l'éventail des décideurs allant du ministre aux prestataires de services de santé individuels¹.

ETM dans le contexte du système de santé

Les caractéristiques historiques et organisationnelles du système de santé déterminent dans une large mesure les modalités d'utilisation de l'ETM. Par exemple, dans les pays où certaines décisions dépendent d'un processus centralisé, l'ETM s'adapte à ce dispositif. Dans les pays où les décisions sont déléguées, les messages émis par l'ETM sont divulgués aux décideurs locaux. Pour jouer son rôle auprès des décideurs, l'ETM doit pouvoir s'insérer dans les réseaux décisionnels du système de santé et répondre aux besoins et aux intérêts des décideurs à chaque niveau de ces réseaux.

1. Les producteurs d'ETM peuvent également envisager l'utilisation de leurs produits par les consommateurs, mais les informations disponibles sur la mise en pratique de cette option sont maigres. Selon les auteurs, l'ETM est probablement relativement inaccessible à la plupart des consommateurs. Dans quelle mesure cette situation est profitable est un problème distinct qui n'est pas traité ici.

Afin de clarifier la discussion exposée dans ce chapitre, l'environnement du système de santé (dans lequel s'intègre l'ETM) sera considéré comme un système à deux dimensions. La première représente le niveau de régulation du marché de soins de santé, avec, à une extrémité de l'axe, une offre de soins correspondant essentiellement à une activité de marché libre, et à l'autre extrémité, une offre extrêmement régulée. La seconde dimension définit le rôle du gouvernement dans l'administration des soins. Une extrémité de l'axe indique un rôle limité dans l'acquisition des services de santé auprès de prestataires privés et l'autre extrémité, la délivrance directe de services sanitaires (rôle de prestataire de service de santé). Il convient de noter qu'aucun système de santé des pays de l'OCDE ne peut être intégralement défini par une seule catégorie restreinte à l'un des quatre quadrants de la figure 5.1. Par exemple, tous les pays membres de l'OCDE régulent certains aspects de leur marché de soins de santé et laissent à d'autres secteurs une plus grande liberté. La plupart des pays membres dans l'OCDE jouent également un rôle dans l'administration directe de services de santé dans certains segments du marché des soins (ou de la population) et agissent comme acheteurs de services dans d'autres.

La localisation, dans le plan défini par ces deux dimensions, d'un secteur particulier du système de santé d'un pays peut influencer le degré et le type de participation du gouvernement, des organismes privés et d'autres branches de la société civile dans l'administration et la gouvernance des soins. Parallèlement, les besoins en ETM (et ses utilisations) varieront également.

D'après le modèle de la figure 5.1, qui décrit l'environnement du système de santé, on peut supposer que les différents acteurs du système de santé n'utiliseront pas tous de manière identique les données probantes d'ETM dans le processus décisionnel, puisque le secteur des soins ne sera pas toujours situé dans le même quadrant. Quelles seront alors les implications de la variation affectant les systèmes de soins de santé des différents pays sur les modalités d'utilisation de l'ETM par les différentes parties prenantes d'un système lors de la prise de décision?

Figure 5.1. Environnement du système de santé pour l'ETM

	Marché de soins dérégulé	Marché de soins régulé
Le gouvernement est un prestataire de soins	I	II
Le gouvernement est un acheteur de soins de santé	IV	III

D'un point de vue purement pratique, l'une des conséquences est la diversité des statuts (public ou privé) des agences d'ETM développées dans de nombreux pays de l'OCDE, ainsi que leurs interactions extrêmement contrastées avec les prestataires et les acheteurs des services de santé.

Le niveau de dérégulation peut jouer un rôle important sur le marché pour l'ETM. Par exemple, dans les pays d'Amérique latine, les acteurs impliqués dans le processus décisionnel sont beaucoup plus nombreux que dans la plupart des pays de l'OCDE. Son fonctionnement est donc soumis à de multiples intérêts parfois concurrents, dans lesquels s'insèrent les activités d'ETM, qui peuvent donc être considérées avec un certain scepticisme. Dans d'autres secteurs de la santé, l'ETM a sa place dans le contexte d'un marché pour la production de données probantes, et les utilisateurs, qui accordent une certaine valeur à ces informations, pourront être désireux de les acquérir.

Selon les dispositifs fédéraux australiens, le gouvernement est un acheteur de soins de santé pour des services médicaux et des produits pharmaceutiques fournis par le secteur privé par le biais du remboursement des patients. Des contrôles stricts, en particulier la prise en compte de l'ETM, sont appliqués pour définir les services et les produits pharmaceutiques qui remplissent les conditions d'un financement public. Toutefois, ces vérifications ne couvrent que certains types de services et de produits de santé, et par conséquent, la gamme des thématiques incluses dans le domaine de compétence du processus décisionnel centralisé est limitée². A ce niveau, les décideurs n'exercent qu'un contrôle restreint sur l'assortiment spécifique de services proposés ou sur les sites sur lesquels ils sont administrés.³

En Angleterre, et au Pays de Galles, sous l'égide du National Health Service (NHS), un financement est accordé aux groupes de santé constitués en fiducie qui sont responsables du forfait spécifique des services de santé dispensés. La direction du secrétariat d'état à la santé exige que les groupes en fiducie dégagent des ressources pour les technologies dont les directives du National Institute for Clinical Excellence central recommandent la mise en place dans les trois mois suivant leur publication. L'investissement dans une technologie n'ayant pas fait l'objet de directives est laissé à l'initiative des groupes. Mais en revanche, par principe, des directives doivent être émises sur toutes les technologies utilisées dans le NHS.

Dans l'hypothèse où l'objectif de l'ETM est de documenter le processus décisionnel, conformément aux fonctions de l'ETM définies par l'INAHTA, la question se pose de savoir comment garantir la prise en compte de ces fonctions dans la décision et l'adapter simultanément aux caractéristiques particulières du système santé d'un pays.

-
2. Par exemple, elle exclut les services et les technologies médicales proposés dans les hôpitaux publics qui sont du ressort de la décision et de la politique des autorités sanitaires d'état et territoriales.
 3. Ces contrôles peuvent être appliqués mais leur utilisation est très parcimonieuse, par exemple en ce qui concerne le nombre d'unités d'imagerie de résonance magnétique (IMR) et de tomographie à émission de positons (TEP) financées, et dans le domaine de la réglementation géographique du nombre et de l'emplacement des pharmacies privées et des centres de collecte d'échantillons pathologiques.

Intégration de l'ETM dans le système de santé : expériences issues de trois pays de l'OCDE

L'expérience canadienne

Au Canada, 71% des dépenses de santé totales sont financées par le secteur public. L'administration et l'achat des soins sont principalement du ressort des provinces canadiennes. Le développement de la capacité d'ETM au Canada a été motivé par cette responsabilité juridictionnelle.

La contribution du Canada à la production et à l'utilisation d'ETM dans le processus décisionnel en matière de soins de santé, au niveau tant fédéral que provincial, est considérable. La première agence d'ETM provinciale a été établie au Canada en 1988, au Québec. Il s'agit du *Conseil d'Évaluation des Technologies de la Santé du Québec*, qui a été remplacé par l'*Agence d'Évaluation des Technologies et des Modes d'Intervention en Santé* (AETMIS) en 2000. Une agence nationale, l'Office canadien de coordination d'évaluation des technologies de la santé (OCCETS), a été créée en 1989, suivie en 1990 de l'instauration du British Columbia Office of Health Technology Assessment (BCOHTA) et de l'Health Assessment Unit de l'Alberta Heritage Foundation for Medical Research (AHFMR) en 1996. L'Ontario Health Technology Advisory Committee (OHTAC) a été plus récemment mis en place en 2003. Des agences d'utilisation des services de santé étroitement liées à leurs gouvernements provinciaux respectifs ont également été fondées au Manitoba, en Ontario et au Saskatchewan et prennent en charge certaines activités d'ETM. Au niveau national, le mandat de l'OCCETS est de coordonner toutes les activités d'ETM entre les différentes juridictions et d'éviter les duplications par d'autres organismes nationaux ou provinciaux et territoriaux, mais il produit également des évaluations et se charge de certaines activités d'ETM dirigées au niveau national⁴.

Dans la littérature sur l'ETM, les données sur l'utilisation et l'impact de l'ETM sur les prises de décision sont rares⁵, à l'exception notable d'un rapport canadien récent exposant l'opinion des utilisateurs d'ETM (Lehoux *et al.*, 2003). Ce rapport cherche à déterminer si les processus grâce auxquels les agences d'ETM canadiennes et les agences de recherches des services de santé plus polyvalentes⁶ consignent et divulguent leurs observations sont conformes aux attentes et aux contraintes qui se manifestent dans les diverses catégories d'intervenants. Les quatre groupes d'utilisateurs d'ETM principaux identifiés étaient les suivants : a) associations de prestataires de soins ; b) fonctionnaires

-
4. Le programme de travail de l'OCCETS est approuvé par un comité qui accueille des représentants de tous des ministères de la santé provinciaux. L'OCCETS recueille des suggestions de thèmes d'évaluation auprès de parties prenantes extérieures, en particulier grâce à un formulaire de proposition de sujets disponible sur internet.
 5. Ce sujet attire davantage d'attention au niveau national et international. Par exemple, l'International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA) a initié une étude de l'impact de l'ETM pour définir l'influence des activités d'évaluation sur la politique, et au Royaume-Uni, le National Institute for Clinical Excellence (NICE) publie une évaluation de l'impact de ses directives sur l'utilisation, en Angleterre et au Pays de Galles, des technologies médicales, qui couvre la période de 2000 à 2003.
 6. Les quatre agences d'ETM ayant contribué à ce rapport étaient les suivantes : OCCETS (nationale), AHFMR-HTA (Alberta), AETMIS (Québec) et BCOHTA (British Columbia). Les deux agences de recherche en services de santé impliquées étaient l'ICES (Ontario) et le HSURC (Saskatchewan).

gouvernementaux et administratifs ; c) associations de patients ; et d) industrie pharmaceutique et d'équipement biomédical.

Le rapport révèle que le concept d'ETM est largement accepté dans les quatre groupes, bien que seulement environ la moitié des administrateurs et une proportion plus faible des prestataires aient une connaissance approfondie des travaux des agences spécifiques. Les groupes de patients étaient les moins sensibilisés, certaines agences d'ETM n'étant connues que de 10 % d'entre eux. L'enquête atteste également de la solide réputation scientifique des agences d'ETM, mais montre que l'ETM n'était en aucun cas la seule source de données que les personnes interrogées consultaient

Les messages diffusés par les agences étaient perçus comme répondant davantage aux besoins en information des planificateurs et des dirigeants qu'à ceux des cliniciens, des patients et du public, alors même que les participants pensaient que les agences étaient légèrement mieux au fait des pratiques cliniques que des pratiques administratives.

En ce qui concerne les activités de diffusion de l'ETM, la plupart des personnes interrogées affirme avoir régulièrement reçu des rapports émanant de trois des six agences d'ETM de l'étude. Cependant, dans leur grande majorité, elles ont exprimé le désir de les recevoir systématiquement. Il est important de noter que les préférences des utilisateurs en matière de diffusion différaient en fonction des groupes d'utilisateurs d'ETM et à l'intérieur d'un même groupe, ce qui devrait inciter les agences à recourir à l'utilisation simultanée de plusieurs méthodes, chacune d'entre elles ne constituant qu'un instrument imparfait.

Les résultats de l'enquête montrent que les parties prenantes sont extrêmement désireuses de collaborer avec les agences d'ETM. Une telle collaboration pourrait être améliorée par les mesures suivantes :

- La consultation des administrateurs et des prestataires visant à mieux adapter les évaluations aux besoins et aux problèmes prioritaires.
- L'établissement de stratégies de diffusion en collaboration avec les prestataires, les administrateurs, et les associations de patients.
- L'amélioration des interactions entre les agences d'ETM et l'industrie par la mise en place de protocoles formalisés destinés à obtenir leur contribution et à faciliter l'accès aux données tout en garantissant une transparence totale et une rigueur scientifique du processus d'analyse de données et de développement des conclusions.

Globalement, cette étude témoigne d'une satisfaction plutôt large des destinataires des rapports d'ETM pour les produits d'ETM.

Au Canada, l'activité d'ETM est croissante. En octobre 2002, a été publié le rapport final sur l'état du système de santé canadien, « *La santé des Canadiens – Le rôle du gouvernement fédéral* » (Comité sénatorial permanent des affaires sociales, de la science et de la technologie, 2002). Ce rapport recommande l'augmentation du financement alloué à l'évaluation des technologies médicales par le gouvernement fédéral canadien.

En novembre 2002, le rapport de Romanow (2002) « *Guidé par nos valeurs : L'avenir des soins de santé au Canada* » soulignait l'importance croissante de l'évaluation minutieuse des technologies médicales et identifiait l'ETM comme le facteur incitant à l'adoption et l'implantation de technologies appropriées le plus décisif. Le rapport spécifiait les obstacles qui entravent l'évaluation des technologies et l'utilisation

fondée sur les données probantes correspondante des technologies de la santé au Canada, à savoir les suivants :

- Incapacité à identifier et à établir efficacement des priorités d'évaluation des technologies médicales émergentes, démontrée par l'absence d'un système d'alerte précoce permettant d'identifier les technologies médicales en cours de développement.
- Capacité limitée à mettre en œuvre l'ETM, restreignant le nombre des technologies évaluées.
- Exhaustivité imparfaite des ETM, due à un défaut d'appréciation des implications sociales, légales et éthiques de l'utilisation des technologies médicales ou due à l'insuffisance des évaluations économiques détaillées.
- Etude inappropriée par les données de recherche précoce des relations entre les technologies médicales et les améliorations globales des résultats sanitaires contribuant à faciliter le processus d'ETM.

La commission a recommandé de rationaliser l'évaluation des technologies au Canada afin d'augmenter son efficacité, son efficience et l'éventail des thèmes abordés, et d'optimiser son utilisation dans le pilotage des décisions. Elle suggère également l'instauration d'une collaboration entre les gouvernements fédéral et provinciaux pour le développement, la coordination et l'implantation d'une stratégie en technologie de la santé visant à financer, gérer et utiliser avec une meilleure efficience les technologies dans le système de santé canadien.

Ces rapports ont étayé la décision, prise en février 2003 par les premiers ministres fédéral et provinciaux du Canada, de solliciter des ministères de la santé le développement d'une stratégie d'évaluation des technologies médicales détaillée apte à considérer l'impact des technologies et à optimiser leur efficacité. Afin d'augmenter la capacité et l'utilité des évaluations des technologies médicales et de contribuer au développement et à l'implantation de la stratégie, le gouvernement du Canada a alloué à l'OCCETS 45 millions de DCA répartis sur cinq ans. Ces fonds ont pour objectif de consolider et de renforcer les capacités existantes dans tout le pays.

Un groupe de travail incluant des représentants des gouvernements fédéral et provinciaux et de l'OCCETS a pour tâche actuelle de développer cette stratégie. Afin de garantir une représentativité de l'ensemble des Canadiens, le processus de développement sera consultatif, impliquant tous les secteurs du système de santé. L'achèvement des travaux est prévu pour fin 2004.

Le cas du Canada démontre que des efforts nationaux sont consentis pour reconnaître et promouvoir le rôle précieux et nécessaire de l'évaluation des technologies médicales dans les décisions de santé, et qu'il est essentiel de garantir une production plus efficace de l'ETM ainsi que son utilisation dans le processus décisionnel grâce à des investissements favorisant la coordination et la collaboration à l'intérieur des pays.

L'expérience mexicaine

Le Mexique participe aux discussions internationales sur l'ETM depuis de très nombreuses années, mais ne lui a accordé que récemment son soutien institutionnel au niveau national.

Il convient de considérer trois aspects importants pour apprécier l'utilisation de l'information d'ETM dans le processus décisionnel au Mexique. Premièrement, il est indispensable de prendre conscience de la nature complexe du système de santé mexicain, en particulier en raison de la participation de nombreuses institutions publiques et d'un secteur privé autonome et diversifié. Deuxièmement, le Mexique dispose d'organismes scientifiques bien développés qui peuvent contribuer aux efforts d'ETM, principalement dans le cadre des institutions de recherche et des universités publiques. Enfin, le Mexique a déjà mené des recherches en évaluation des technologies, même si la plupart de ces études ne peuvent être considérées comme des ETM au sens formel.

Au Mexique, l'enjeu portait sur la création de mécanismes de coordination, afin que les institutions puissent interagir selon un schéma organisé pour favoriser l'utilisation d'ETM dans le processus décisionnel. Le développement d'une stratégie nationale en matière de technologies de la santé est considéré comme une démarche globale visant à atteindre cet objectif. Ces trois dernières années, des efforts significatifs ont été consentis pour faire face à ces enjeux.

Dans le secteur privé, une nouvelle unité a été créée au sein de la Fondation mexicaine de la santé, dont la tâche est de contribuer à la coordination des entreprises productrices des technologies médicales et des organismes d'administration des soins dans le pays. L'objectif de cette unité est de nouer des liens entre les développeurs de technologies médicales (universités), les industries qui produisent la technologie (par exemple industrie pharmaceutique, de dispositifs et d'équipement), et les organismes d'administration des soins, tant dans le secteur public que dans le secteur privé. Les activités de cette unité comprennent l'ETM, mais se consacrent surtout au développement d'innovations et de marchés pour les technologies médicales. Sa mission est vaste, et elle est supposée en particulier faciliter l'utilisation appropriée des technologies et le développement d'incitations à l'innovation au Mexique.

Dans le secteur public, deux initiatives ont été récemment lancées. La première, sous l'égide du Ministère de la santé, a conduit à la création d'un nouvel organisme, le Centre pour l'excellence technologique, officiellement inauguré en août 2003. Il est principalement dédié au développement de politiques nationales d'ETM. La seconde s'intitule Programme d'évaluation et de gestion des technologies de la santé et a été instaurée par l'institut mexicain de sécurité sociale, l'IMSS⁷.

Les programmes de l'IMSS et du Ministère de la santé interagissent par le biais d'un comité créé à l'initiative du Ministère de la santé pour coordonner les activités d'ETM dans tout le pays.

Le développement de ces deux projets séparés s'explique par l'indépendance des deux institutions (IMSS et Ministère de la santé) dont les rôles dans le système de santé mexicain sont bien distincts. En effet, l'IMSS prodigue directement les services de soins, tandis que le Ministère de la santé est chargé de la régulation du système de santé dans sa globalité. Ainsi, le programme de l'IMSS se consacre à des objectifs organisationnels (c'est-à-dire, produire l'ETM et l'utiliser dans l'administration des services de soins), mais respecte la primauté normative qui est l'apanage de l'organisme créé par le Ministère de la santé (Durán-Arenas, 2002). Ces deux démarches sont donc complémentaires.

7. La principale institution de délivrance des soins de santé publique du pays, qui couvre presque 50 millions de Mexicains.

Le programme de l'IMSS concentre ses activités à trois niveaux de la délivrance des soins et du processus décisionnel :

- *Niveau politique.* Il développe des politiques destinées à incorporer les nouveaux équipements médicaux, en particulier les médicaments et les protocoles, qui optimisent la capacité des services et maintient simultanément le statut technologique de l'institution en soins de santé.
- *Niveau des équipements de soins.* Il développe des systèmes d'information et des outils de gestion permettant d'augmenter les capacités des cadres responsables des unités de soins en matière de gestion efficace et efficiente des technologies.
- *Niveau clinique.* Il développe des directives cliniques.

Dans les cas suivants, l'impact du programme sur le processus décisionnel se manifeste déjà :

- L'acquisition et l'installation d'équipement médical fondées sur un recensement des capacités fonctionnelles dudit équipement déjà en place, afin d'affecter rationnellement des équipements neufs en fonction des besoins détectés par le recensement.
- L'introduction de la radiochirurgie, évaluée en fonction de la capacité des établissements de soin, du nombre de cas de tumeurs cérébrales détectés dans la population de l'IMSS par an, et d'une localisation géographique optimale de l'équipement offrant le meilleur accès aux patients (Durán-Arenas, 2002).

L'importance de l'utilisation de l'ETM dans la prise de décision dans le domaine de la santé est largement reconnue au Mexique. Les efforts d'intégration et de coordination de l'ETM dans le processus décisionnel n'en sont qu'à leurs prémises, mais quelques succès ont déjà été enregistrés. Le prochain objectif envisagé est la diffusion de l'ETM vers un public de décideurs plus large.

L'expérience australienne

Comme le Canada, l'Australie est une fédération et les services de soins de santé y sont dans une certaine mesure administrés par l'intermédiaire des états (équivalents des provinces du Canada). Toutefois, en Australie, l'ETM est principalement conduite par les organismes de services sanitaires fédéraux, et c'est sur eux que ses impacts sont les plus profonds. L'Australie dispose de régimes de remboursement pour les services médicaux privés (allocations Medicare) et les médicaments achetés dans le secteur privé (le Régime national d'assurance médicament, PBS). Les états prennent quant à eux en charge l'offre de services à destination des patients des hôpitaux publics. Ces deux systèmes sont conjointement financés par les gouvernements fédéral et des états, mais administrés par les états et gratuits pour les patients. En 2000, les dépenses publiques ont atteint 69 % des dépenses de santé totales en Australie (OCDE, 2003).

La production et l'utilisation d'ETM en Australie, au moins dans la mesure où les décideurs sont concernés au niveau fédéral, ont été introduites graduellement pour combler les besoins spécifiques de programmes particuliers. L'ETM n'est donc pas mise en œuvre par des agences ou des organismes créés ou financés dans cet objectif, mais répond à la demande de différents secteurs de l'administration de la santé fédérale, qui la gèrent et l'apprécient (Mitchell, 2002). Des exemples des deux dispositifs les plus formalisés sont exposés ci-dessous.

Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC)

La loi fait obligation depuis 1987 de procéder à une comparaison de l'efficacité avant toute décision d'inscription sur la liste des médicaments remboursés par le PBS. L'évaluation coût-efficacité est exigée depuis 1991 et est menée par le promoteur de la demande (généralement le fabricant). Les appréciations sont du ressort du Pharmaceuticals Benefits Advisory Committee (PBAC), généralement mise en œuvre en réponse à des demandes externes qui lui sont adressées (Mitchell, 2002).

Comme le suggère son appellation, le PBAC (Comité consultatif de l'assurance médicaments) est un comité et non un organisme. Le secteur du Ministère de la santé et du soin aux personnes âgées (DHA) responsable de l'administration du PBS, participe au comité par le biais de son secrétariat et de son soutien administratif. Le DHA accordait également une aide technique à l'ETM, qui a été depuis peu relayée par des contrats pour faire face à la charge de travail.

Les décisions d'inscription sont du ressort du Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées ou bien, si les implications financières dépassent un certain seuil, par le conseil exécutif du gouvernement australien. Un médicament ne peut être inscrit sur la liste du PBS sans recommandation du PBAC.

Medical Services Advisory Committee

Le Medical Services Advisory Committee (MSAC) a été créé (par voie administrative, et non législative) en 1998, avec un objectif et un mode opératoire similaires à ceux du PBAC, mais avec pour mission de confirmer les décisions d'inscription sur la liste des services médicaux soumis au régime de prestations Medicare. Comme le PBAC, le MSAC est un comité d'appréciation plutôt qu'un organisme et bénéficie du soutien administratif du DHA. Il réalise des analyses d'ETM sur demande et sous contrat avec le DHA. La plupart des ETM/appréciations du MSAC répondent à des requêtes externes (principalement émises par l'industrie des dispositifs médicaux). Toutefois, le ministère, le DHA et les autorités sanitaires nationales peuvent également porter certains sujets à son attention.

L'accession de l'ETM au rang de pré-requis aux décisions de couverture par le remboursement et l'intégration de l'ETM et des processus administratifs a permis le développement d'activités d'évaluation hautement spécialisées et pertinentes. Le niveau de pertinence a été relevé, car même si l'ETM est généralement produite par des organismes externes, les membres du PBAC et du MSAC sont très impliqués dans le développement d'enquêtes particulières⁸. La spécialisation est cependant limitée en termes de pratique clinique totale. Le défi, comme le note Mitchell, reste de conserver une cohérence entre les différentes activités d'ETM (Mitchell, 2002).

En général, le concept d'ETM est reconnu et soutenu par les parties prenantes, même si l'on constate sans surprise, du fait du lien étroit avec le financement, qu'il subsiste des problèmes portant sur les processus. Ceux-ci sont toutefois révisés pour garantir la transparence des décisions vis-à-vis des parties prenantes.

8. Dans le cas du MSAC, chaque enquête est menée par un organisme d'expertise externe sous les directives et l'assistance d'un groupe consultatif formé par une assemblée de cliniciens, de consommateurs et d'autres experts désignés pour la durée de l'étude. Les groupes consultatifs comprennent des membres du MSAC, dont l'un est le président.

L'utilisation de l'ETM dans d'autres domaines du processus décisionnel en matière de santé est en cours de développement. Des comités antérieurs au MSAC⁹ ont réalisé des ETM restreintes à destination des administrations sanitaires fédérales et nationales, et portant sur des technologies médicales à fort potentiel¹⁰. En général, les directives de pratique clinique ont été développées avec une plus grande spécialisation sous l'égide de l'Australian National Health and Medical Research Council, mais récemment, un National Institute of Clinical Services a été créé pour les mettre en œuvre à des niveaux plus appliqués.

Perspectives d'utilisation de l'ETM et du processus décisionnel

Les études de cas présentés dans ce chapitre témoignent d'une large gamme d'expériences dans la production et l'utilisation de l'ETM dans le contexte de trois systèmes de santé très différents, et apportent des éclairages utiles sur la production et l'utilisation d'ETM.

Au Canada, la production et l'acceptation d'ETM sont à présent largement répandues. Toutefois, un système fédéral, tel que celui du Canada, qui répartit les responsabilités de délivrance des soins de santé et d'ETM, est confronté à des défis majeurs lorsqu'il s'agit de divulguer avec efficacité et efficience l'ETM. C'est ainsi que les efforts les plus récents ont porté sur la généralisation de l'utilisation de l'ETM dans le processus décisionnel à tous les niveaux du système de santé, ainsi que sur une coordination et une collaboration plus systématiques à l'ETM.

Depuis quelques temps, le Mexique se consacre à l'établissement d'un soutien institutionnel qui permettrait d'élargir l'acceptation de l'ETM à tous les niveaux de la prise de décisions en matière de santé. Ces tentatives, même si elles en sont que récentes, démontrent déjà leur effet sur l'amélioration de la documentation de la décision, mais il reste à élargir par une action concertée l'utilisation de l'ETM dans le système de santé global.

En Australie, l'utilisation de l'ETM est garantie au niveau fédéral par deux programmes de remboursement s'appliquant aux services médicaux et aux produits pharmaceutiques. Les initiatives récentes visaient à renforcer l'utilisation de l'ETM dans le processus décisionnel dans une démarche externe à ces deux programmes, en développant des directives de pratique clinique, et en réformant les processus décisionnels afin d'améliorer la transparence et l'acceptation par les parties prenantes.

Malgré la complexité de chaque système de santé, chacun des trois pays étudiés dans ce chapitre a consacré des efforts importants de promotion de l'utilisation de l'ETM dans la prise de décision. Toutefois, même dans les pays dont l'expérience en ETM est la plus approfondie, il reste à créer des structures et des mécanismes appropriés qui permettront de consolider les avancées constatées. Le Canada, le Mexique et l'Australie ont lancé de grands projets élaborés dans le but d'établir ou d'améliorer ces mécanismes, et de

9. Le National Health Technology Advisory Panel puis l'Australian Health Technology Advisory Committee. On notera que les requêtes d'ETM émises par les états avaient pour origine le Comité consultatif du Ministère de la santé australien, c'est-à-dire qu'il correspondait à des priorités communes définies collectivement, et non individuellement, par les états.

10. Plusieurs autorités sanitaires d'état disposent d'une unité consultative sur les technologies qui peut entreprendre des activités d'ETM limitées. Par exemple, le Southern Health Network de l'état de Victoria finance une unité d'ETM à l'université de Monash, Melbourne.

développer des processus plus efficaces garantissant l'utilisation adéquate de l'ETM dans le processus décisionnel propre au système de santé.

Les voies suggérées témoignent d'une orientation vers une ETM mieux intégrée. Cet objectif pourrait être atteint par une collaboration étroite entre les producteurs d'ETM et l'industrie afin de développer des processus plus transparents et scientifiquement rigoureux, ainsi que par l'élaboration de stratégies de diffusion de l'ETM en collaboration avec les prestataires, les administrateurs et les associations de patients.

Les expériences soulignent également l'importance accordée par ces trois pays à l'ETM. Comme le décrit l'INAHTA, le potentiel des ETM est de contribuer au processus décisionnel par l'apport de données probantes nécessaires. Les trois pays cités consentent des efforts considérables pour développer d'un système de santé qui incorpore l'ETM et la médecine factuelle, en promouvant ainsi les actes en soins de santé efficaces et efficaces. Les initiatives nationales exposées dans ce chapitre sont très diversifiées, mais se rejoignent sur le concept commun d'une adaptation de l'ETM aux structures institutionnelles et organisationnelles des systèmes de santé individuels.

L'utilisation efficace et appropriée de l'ETM exige le soutien massif des responsables politiques. Il incombe aux producteurs d'ETM de proposer des données probantes pertinentes et de haute qualité aux décideurs, et aux responsables politiques de développer la réceptivité des décideurs et des institutions sanitaires à l'ETM

Références

- Banta, H.D., C.J. Behney and J.S. Willems (1981), *Toward Rational Technology in Medicine*, Springer, New York.
- Conde, J. (1999), *Evaluación de tecnologías médicas basadas en la evidencia*. Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, Instituto de San Carlos III, Madrid.
- Drummond, M., R. Brown, A. Fendrick *et al.* (2003), “Use of Pharmacoeconomics Information – Report of the ISPOR Task Force on Use of Pharmacoeconomics/Health Economic Information in Health-Care Decision Making”, *Value in Health*, 6(4) : 407-16.
- Durán-Arenas, L. (2002), “La evaluación de la Efectividad de la Tecnología para la Salud”, in L. Durán-Arenas and O. Muñoz-Hernández (eds), *Retos de la seguridad Social en Salud en el siglo XXI : Evaluación y Gestión Tecnológica*, Instituto Mexicano del Seguro Social.
- Lehoux, P., J.L. Denis, M. Hivon and S. Tailliez (2003), “Dissemination and Use of Health Technology Assessment in Canada The Perception of Providers, Health care Administrators, Patients and Industry”, May, University of Montreal.
- Mitchell, A. (2002), “Antipodean Assessment : Activities, Actions and Achievements”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 18(2) : 203-212, CUP.
- OCDE (2003), *Eco-Santé 2003*, 3^{ème} édition.
- Romanow, R (2002), “Guidé par nos valeurs : L’avenir des soins de santé au Canada”, Commission on the Future of Health Care in Canada, Rapport final.
- Comité sénatorial permanent des affaires sociales, de la science et de la technologie (2002), *La santé des Canadiens – Le rôle du gouvernement fédéral*, Octobre.

Chapitre 6

EVALUATION DES SOINS DE SANTE : PROBLEMES POSES PAR LE TRANSFERT

Corey Magnell, Larry Brown, Alan Moskowitz et Annetine Gelijns
International Centre for Health Outcomes and Innovation Research (INCHOIR),
Université de Columbia

Ce chapitre s'intéresse aux enjeux du processus décisionnel factuel dans les systèmes de santé et identifie les obstacles éventuels rencontrés par les décideurs lorsqu'ils souhaitent transférer les résultats des évaluations économiques d'un environnement à un autre. Il définit les trois domaines d'action politique envisageables pour éliminer ces obstacles, en particulier la mise en place d'un programme d'amélioration du dialogue entre l'entreprise analytique et les communautés politiques.

Introduction

Les responsables politiques et les professionnels de santé sont soumis au même impératif sans cesse plus pressant de comprendre et de contrôler l'impact sanitaire et économique de l'évolution technologique médicale. L'utilisation appropriée des nouvelles technologies et la maîtrise de leurs coûts imposent toutefois des défis considérables. Il existe peu de domaines de la politique publique hormis celui des soins de santé dans lesquels l'innovation technologique est permanente et pèse si lourdement sur les utilisations et les coûts des services.

Comme le montrent les résultats de l'enquête de l'OCDE présentés dans ce rapport, la sensibilisation croissante aux causes et aux conséquences de l'incertitude en pratique médicale a accéléré l'élaboration et l'implantation de techniques analytiques qui démontrent, par des données probantes, aux praticiens, aux payeurs et aux responsables politiques, quels sont les médicaments, les dispositifs et les protocoles efficaces et quels sont ceux qui devraient être modifiés ou abandonnés. Cet éventail de techniques analytiques factuelles - essais contrôlés randomisés, analyses coût-efficacité et d'autres encore - tire sa légitimité de la validation par les sciences expérimentales dont se réclame en premier lieu la médecine, mais, comme c'est le cas des sciences médicales elles-mêmes, la réception et l'application des découvertes analytiques varient considérablement entre les pays et même à l'intérieur d'un même pays. Les spécificités culturelles, les modèles d'organisation de l'offre, les associations de spécialistes, les méthodes de paiement, la formation médicale et les attitudes des consommateurs modèlent de concert l'assimilation des « données probantes » tout aussi inévitablement et avec la même opacité qu'ils affectent les multiples types de pratiques que les données probantes sont présumées rationaliser ; ainsi en est-il également des représentations nationales de l'équité, de l'ampleur de l'autonomie bureaucratique, du niveau d'intégration des groupes

d'intérêt dans le processus décisionnel, et de multiples autres facteurs qui pèsent sur les politiques de la santé des sociétés.

Il conviendra bien évidemment d'approfondir l'étude des différences inter-pays en matière de confrontation entre recommandations issues de l'analyse et pratique médicale, mais des variations s'affichent néanmoins immédiatement. De toute évidence, les observations analytiques ne constituent pas des composantes neutres de la connaissance, qu'il est aisé de transférer comme tant d'éléments interchangeable entre les sociétés ou même à l'intérieur de celles-ci. Comme le fait remarquer Clifford Geertz, il est bon de savoir où les choses se passent (Geertz, 1983) et une bonne connaissance du niveau local est nécessaire pour juger du fonctionnement d'outils factuels, de leurs performances et pour choisir où et quand les employer.

Ce chapitre envisage brièvement les défis posés par les processus décisionnels factuels dans les systèmes de santé fondés sur différents principes, et les perspectives de transfert productif entre pays des études basées sur des données probantes. Il ébauche ensuite un programme susceptible d'améliorer le dialogue entre l'entreprise analytique et les communautés politiques.

Processus décisionnels factuels

Ainsi qu'en témoigne l'ensemble de ce rapport, une meilleure information sur l'efficacité et la rentabilité des actes cliniques pourrait aiguiller les cliniciens et les responsables politiques vers des utilisations mieux adaptées de la technologie. Les nations industrialisées ont donc accru leurs investissements en recherche d'évaluation clinique afin d'appuyer les décisions en matière d'évolution technologique sur un socle empirique plus solide. Quels sont dans ce contexte les outils décisionnels disponibles pour exploiter les progrès technologiques?

Les pays de l'OCDE emploient des outils de réglementation et la planification publique pour proposer, limiter et distribuer l'offre de technologies médicales. Les nations industrialisées réglementent l'introduction des nouveaux médicaments et dispositifs. Outre ces contrôles pré-commercialisation, ces pays exigent l'obtention par les hôpitaux d'autorisations publiques avant la mise en place de dispositifs et de protocoles coûteux, tels que les lithotriteurs, les centres de chirurgie à cœur ouvert, l'imagerie de médecine nucléaire et le dépistage génétique. Ces mécanismes de planification concernent principalement les actes de haute technologie, tandis que c'est par des incitations financières que l'on cherche à infléchir l'utilisation de toutes les technologies médicales.

Pour ce qui est de la demande, les systèmes beveridgiens ou à un seul payeur que l'on trouve, par exemple, au Royaume-Uni, fonctionnent grâce à une structure de contrôle qui s'appuie sur des budgets globaux et régionaux. Les systèmes bismarckiens, comme ceux instaurés en Allemagne et en France, usent de décisions de couverture et de remboursements entérinées par les assureurs pour adapter l'utilisation de la technologie à la pratique clinique. Les associations de spécialistes, les agences gouvernementales et les assureurs publient parallèlement des directives concernant l'adéquation de l'utilisation.

Les plafonds budgétaires établis aux niveaux national, régional ou hospitalier imposent explicitement des arbitrages entre les technologies et tendent au ralentissement global de la diffusion. Mais les contraintes budgétaires ne suscitent pas nécessairement le choix des produits les plus efficaces ou les plus rentables. La disponibilité d'informations sur l'efficacité nette et les coûts des actes médicaux est un préalable à l'attribution rationnelle des ressources dans un régime fixé, qui n'est pas souvent respecté.

Les systèmes de santé s'investissent avec une détermination croissante dans la consolidation de l'entreprise analytique. Par exemple, au Royaume-Uni, le National Institute for Clinical Excellence, fondé en 1999, émet des recommandations centrales destinées au National Health Service (NHS) sur l'utilité de traitements particuliers. Les systèmes bismarquiens prennent des décisions de couverture et de remboursement détaillées qui définissent dans un cadre rigide les limites des obligations de la société et celles des responsabilités de l'individu. Les décisions de couverture sont de mieux en mieux documentées par des données probantes, qui portent non seulement sur l'efficacité, mais également sur la rentabilité. Par exemple, en Australie et dans certaines provinces du Canada, les promoteurs doivent communiquer des données d'analyses coût-efficacité pour obtenir une autorisation de remboursement publique d'un nouveau médicament. Cette demande en données sur les coûts multiplie les articles de la littérature sur les rapports coût-efficacité des technologies nouvelles et actuellement utilisées.

Les mécanismes politiques liés à l'offre (par exemple, réglementation pré-commercialisation des médicaments et des dispositifs) et liés à la demande (décisions de couverture et de remboursement) s'appuient toujours davantage sur les données empiriques. L'amélioration des connaissances sur les risques, les bénéfices et les coûts des technologies a réduit l'incertitude impliquée dans ces processus décisionnels, et a abouti à des décisions mieux documentées. Parallèlement, les processus uniquement basés sur des données empiriques sont soumis à plusieurs contraintes sérieuses.

Contraintes imposées aux pratiques actuelles factuelles

Délai entre évaluation et pratique

Le rythme soutenu de l'évolution technologique, et les extensions de ses utilisations développées dans la pratique, retardent souvent l'évaluation rigoureuse par rapport aux pratiques réelles. Par exemple, le pontage coronarien est désormais utilisé en chirurgie pour traiter l'insuffisance cardiaque congestive chronique. Alors que cet acte est maintenant pratiqué depuis quelques temps, ce n'est que récemment qu'a été lancé un essai randomisé visant à déterminer la valeur de la chirurgie de revascularisation dans le traitement de l'insuffisance cardiaque (Surgical Treatment for Ischemic Future (STICH) voir Joyce *et al.*, 2003). Dans le domaine de la télémédecine, les tentatives visant à évaluer la rentabilité de la technologie deviennent rapidement obsolètes en raison des progrès rapides en matière de qualité, d'applications et de coûts des technologies de l'information et de la communication (Ohinmaa *et al.*, 1999).

Importance des facteurs qualitatifs

Même lorsque un acte clinique particulier est fondé sur des connaissances solides et actualisées, les décisions cliniques et politiques exigent l'intégration simultanée de données cliniques empiriques de facteurs qualitatifs. Un exemple en est donné par les décisions réglementaires pré-commercialisation, qui s'appuient de plus en plus sur des données quantitatives fournies par des essais randomisés destinés à déterminer l'efficacité et l'innocuité d'un nouveau médicament ou dispositif. Toutefois, c'est la société qui définit l'acceptabilité des compromis entre risques et bénéfices apportés par une nouvelle technologie d'après des jugements de valeurs dont la nature est en fin de compte qualitative.

Peu après l'autorisation du flosequinan, un médicament inotrope oral traitant l'insuffisance cardiaque qui améliore la fonction du cœur et la qualité de vie, on a

démontré qu'il réduisait la survie. En conséquence, le médicament a été retiré du marché des Etats-Unis d'Amérique. Toutefois, lorsque l'on a exposé le compromis adopté entre risque et bénéfice aux patients atteints d'insuffisance cardiaque, une maladie préjudiciable à la qualité de vie et à la survie, 40% d'entre eux ont déclaré accepter un risque légèrement plus élevé de décès ($\geq 5\%$) pour bénéficier d'une meilleure qualité de vie (l'équivalent d'une élévation de 5 points sur l'échelle de qualité de vie en insuffisance cardiaque du Minnesota (Living with Heart Failure Scale)) (Rector, 1995). Cet exemple illustre le rôle essentiel des jugements de valeur lors des décisions prises en politique de la santé. L'existence même de ces jugements est un facteur inhérent de variabilité internationale des politiques.

Deux innovations pour lesquelles les jugements de valeur sociaux ont joué un rôle fondamental dans le procédé d'autorisation réglementaire national sont la didésoxyinosine (ddI), un agent rétroviral et RU-486, un agent contraceptif. Les pressions politiques exercées par les groupes activistes aux Etats-Unis ont massivement incité la FDA à promulguer un processus d'autorisation rapide, qui a facilité l'utilisation de la ddI par les patients atteints du SIDA. En revanche, le RU-486 a été victime du débat sur l'avortement qui fait rage dans ce même pays et son autorisation a été retardée. Ces exemples témoignent du rôle prégnant des préoccupations qualitatives, par exemple des opinions du public envers le risque, et des valeurs sociétales dans nos prises de décisions.

L'utilisation des analyses coût-efficacité et coût-utilité dans les décisions de couverture et de remboursements soulèvent des questions de même nature. Faut-il donner à ces rapports coût-efficacité une fonction de seuil strict, comme l'affirment certains économistes de la santé ? Cette pratique peut être hasardeuse, car elle restreint le rôle des aspects qualitatifs importants dans le processus décisionnel. En particulier, ces rapports n'englobent pas les facteurs décisifs que sont l'équité et la justice distributive dans le processus de détermination de la place des nouvelles technologies dans la charge financière des systèmes et de santé.

L'utilisation des années de vie pondérées par la qualité (QALY) pour mesurer l'efficacité est susceptible d'encourager les dissensions politiques en opposant les intérêts des jeunes et des personnes âgées, dont la capacité inhérente à bénéficier des interventions est moindre, du fait de leur espérance de vie plus courte. Ces problèmes devraient recevoir une attention préventive, que leur ont par exemple accordée les Néerlandais au début des années 90, en suggérant, dans leur rapport *Making Choices in Health Care*, d'ajouter une fonction d'utilité sociale aux rapports coût-efficacité lors de l'élaboration des nouvelles politiques en soins de santé afin de garantir l'équité dans l'attribution des financements accordés aux personnes âgées.

Des ressources limitées

Enfin, les ressources allouées à la recherche en évaluation clinique sont limitées. Les essais cliniques sont onéreux, et il convient d'établir des priorités permettant de choisir parmi les nombreuses technologies nouvelles et en expansion actuellement disponibles celles qui exigent une évaluation. Outre les ressources monétaires, les ressources du patient peuvent elles-mêmes être restreintes. La science repose sur le concept de la confirmation, mais les essais conçus pour corroborer des résultats antérieurs soulèvent dans de nombreux cas un dilemme éthique, en particulier lorsque la maladie menace le pronostic vital. Un exemple récemment publié d'un essai, comparant l'implantation de dispositifs d'assistance ventriculaire gauche à une prise en charge médicale pour traiter une insuffisance cardiaque en stade terminal, a révélé un avantage majeur pour la survie

avec l'utilisation du dispositif. (REMATCH, voir Oz *et al.*, 2003). L'efficacité et le profil d'événements indésirables de cette technologie et les résultats cliniques de la population témoin sont susceptibles de varier considérablement selon les compétences des établissements de traitement, ce qui milite en faveur de la répétition de l'essai dans différents environnements. Pourtant, le renouvellement de cet essai pourrait poser des problèmes éthiques, puisque les preuves témoignent des meilleures performances de l'une des thérapies. Ces réserves éthiques et les restrictions budgétaires expliquent qu'il est parfois nécessaire de transférer les essais cliniques et les analyses coût-efficacité réalisés dans un pays ou dans un établissement à un autre environnement sans mettre en œuvre de nouveaux essais randomisés.

Problèmes posés par le transfert

Il peut paraître déroutant pour tous les intervenants impliqués de devoir aménager les techniques de recherche aux besoins des responsables politiques. D'innombrables sources de variations doivent être considérées pour adapter au mieux l'évaluation technologique à un environnement de soins de santé particulier, et si l'on n'en tient pas compte, l'implantation d'une nouvelle technologie peut se révéler inefficace. Les différences les plus frappantes entre les environnements concernent en particulier les coûts des unités, la prévalence et la gravité d'une maladie dans la population, et elles sont engendrées par les variations affectant des facteurs tels que la composition ethnique, les styles de vie et la distribution des classes d'âge dans une région. Ces variables peuvent être prises en compte par l'utilisation dans les équations des variables de prix et de données épidémiologiques locales adéquates. Toutefois, d'autres facteurs susceptibles d'affecter sensiblement les performances de transfert de l'évaluation des technologies sont plus difficiles à intégrer par de simples calculs. L'efficacité relative des systèmes de santé des communautés locales diffère considérablement, et joue sur la large variabilité des effets d'une nouvelle technologie. Les incitations et les systèmes de paiement se caractérisent par des différences qui peuvent infléchir la diffusion des technologies.

Chaque système de santé dispose de sa propre niche de ressources particulière, qui explique des différences de coûts de renonciation entre les environnements pour une technologie nouvelle donnée. Dans le même ordre d'idée, chaque environnement local reconnaît ses propres normes de soins et de pratique acceptées, qui ne sont pas toujours directement comparables à la technologie de base utilisée dans une analyse d'utilité en termes de coût. Les valeurs sociales et les préférences des patients varient elles aussi notablement entre les pays. Ces très nombreuses variables, fréquemment intangibles, qui peuvent affecter la validité d'une étude dans des environnements locaux, imposent aux responsables politiques la lourde tâche d'interpréter au mieux les données probantes, au risque de gaspiller les ressources.

Bien évidemment, les investigateurs en charge de l'évaluation d'une nouvelle technologie n'ont pas la possibilité d'adapter leurs études à chaque communauté susceptible de l'adopter dans l'avenir. Cependant, la littérature actuelle qui traite des analyses coût-efficacité manque de cohérence en termes de collecte, d'analyse, et de présentations des données, ce qui entrave le transfert des résultats. Une étude de Späth *et al.* (1999) sur les analyses coût-efficacité de la chimiothérapie d'appoint dans le traitement du cancer du sein a révélé l'absence universelle de normes dans la présentation des résultats : parmi les 26 études relevées dans la littérature, six seulement remplissaient les critères de validité externe et aucune n'a pu être directement transférée au système de santé français en particulier. Les obstacles les plus courants à ce transfert étaient une

présentation insuffisamment détaillée des ressources et des prix des soins de santé utilisés et la définition non spécifique de l'environnement de l'étude. Stone *et al.* (2000) ont montré dans leur enquête des différences criantes entre les méthodes utilisées pour estimer les coûts dans une cohorte d'études similaires. Peu d'entre elles se conformaient aux lignes directrices acceptées en analyse coût-efficacité.

L'examen de quatre analyses coût-efficacité récentes du dépistage des anévrismes de l'aorte abdominale démontre la disparité des techniques de recherche actuelles et pose le problème de l'acceptation des résultats d'études publiées égales en valeur nominale (tableau 6.1). Chaque étude analyse la rentabilité d'un dépistage ciblé de l'anévrisme de l'aorte abdominale en utilisant une échographie abdominale, et en considérant le coût du dépistage ainsi que les coûts de traitement associés.

Bien que traitant le même problème analytique, les résultats rapportés présentaient une large variation. La rentabilité s'échelonnait de 1 185 USD par année de vie sauvée à 47 607 USD. Il est difficile de discerner la source de ces variations, car certains des rapports publiés négligeaient de détailler la description des méthodologies onéreuses et des résultats. Les études ont également choisi des points d'aboutissement et des délais très variables, qui peuvent également contribuer à la diversité de ces résultats. Deux études ont dénombré les décès liés à l'anévrisme, tandis que les autres ont intégré toutes les causes de mortalité dans leurs cohortes. La durée de la mesure de l'efficacité allait de quatre ans à la vie entière de la cohorte. La disparité de ces méthodes et l'absence de détails handicape le transfert direct des résultats de rentabilité d'un environnement de santé à l'autre.

Le type de populations de patients à étudier n'a pas non plus fait l'objet d'un consensus clair rassemblant les chercheurs cliniques. Russell et Sisk (2000) ont étudié la prise en compte des différences d'âge dans 36 analyses coût-efficacité. Ils signalent que la plupart des études ne mentionnent qu'indirectement l'âge, et seules 36 % d'entre elles s'intéressent aux différences d'efficacité de la technologie en fonction de l'âge, mais n'ont pas cherché à étalonner les risques et les coûts d'après ce facteur. Les auteurs notent également que bien que l'âge soit souvent utilisé comme un indicateur de risque grossier, il peut aussi masquer les groupes d'individus présentant les profils de risques et de bénéfices différents ainsi que des coûts différents. Il serait peut être donc préférable d'éviter d'utiliser l'âge comme catégorie démographique dans l'analyse coût-efficacité en l'absence de qualificatifs sociaux et physiologiques.

Le décideur consciencieux, qui consulte scrupuleusement la littérature économique avant de prendre une décision, sera vraisemblablement déçu en constatant les lacunes qui affectent les données sur le transfert entre environnements différents, et c'est pourquoi il n'est peut être pas surprenant que plusieurs enquêtes aient révélé que les décideurs n'utilisent pas souvent les évaluations économiques, essentiellement parce qu'il est impossible de transférer les résultats d'études (Hoffman *et al.*, 2002 ; Drummond et Pang, 2001).

Tableau 6.1. Comparaison de quatre analyses coût-efficacité portant sur le dépistage des anévrismes de l'aorte abdominale

Etude	Type	Détail des coûts : dépistage	Détail des coûts : chirurgie	Point d'aboutissement	Durée	Coût/année de vie (DUS)
Groupe d'étude du dépistage des anévrismes multicentre (2002) Royaume-Uni	Prospectif 67 800 hommes	Temps de travail du personnel de bureau, affranchissement et papeterie : coût d'obtention des détails sur les patients, superficie et équipement de bureau, temps de travail du personnel clinique, coûts en trajet du personnel, matériel jetable, maintenance de l'équipement	Durée des soins intensifs, unité de grande dépendance, salle de chirurgie générale, temps en salle d'opération (y compris le temps de travail du personnel), coûts des greffes utilisées, coût fixe pour les consommables de chaque centre, utilisation des médicaments sur un sous-échantillon de 60 patients, charges d'utilisation et de manipulation de produits sanguins, charges de laboratoire spécifiques à l'hôpital	Décès liés à l'anévrisme de l'aorte abdominale (AAA)	Quatre ans	47 607
Lindholt (2002) Danemark	Prospectif 12 700 hommes	Mal définis : coûts complétablisés prospectivement pour la première année de l'essai, coûts indirects calculés à partir des questionnaires d'un échantillon de patients	Calculés à partir d'un échantillon aléatoire de 100 opérations pratiquées sur un même site, composantes mal définies	Décès à l'hôpital liés à l'AAA	Sept ans	1 185
Lee (2002) EUA	Modèle d'analyse de décision de Markov cohorte hypothétique d'hommes âgés de 70 ans	Basé sur les taux de remboursement Medicare	D'après le système de complétabilité analytique d'exploitation de l'hôpital, détails dans la publication référencée	Coûts	Décès de tous les patients	11 215 par QALY (d'après une estimation de l'effet sur la qualité de la vie par les chercheurs)
Pentikäinen (2000) Finlande	Données de la méthode de Monte Carlo issues d'études empiriques	Coûts directs fondés sur des données de dépistage à l'hôpital, composantes mal définies	D'après un petit échantillon d'interventions : coûts de l'opération, des soins intensifs, du séjour à l'hôpital, des médicaments, des produits sanguins, du laboratoire et de la radiographie; frais généraux en équipement	Non inclus	Décès de tous les patients	9 431

Les pratiques acceptées en recherche clinique ne se conforment pas toujours aux besoins pratiques des responsables politiques locaux, y compris dans d'autres domaines. La recherche clinique est axée avant tout sur l'efficacité et l'innocuité. Les essais sont conçus dans cet esprit et sont souvent précocement finalisés lorsque ces deux critères sont démontrés avec des résultats statistiquement significatifs. Les technologies efficaces sont ainsi rapidement disponibles sur le marché, mais cette pratique empêche le calcul des coûts à long terme d'un acte. Elle oblige les communautés locales à investir dans ces technologies sur la seule base de la démonstration de leur rentabilité à court terme.

Il est rare que l'évaluation technologique tienne compte « d'autres déterminants de la santé » tels que l'éducation et les structures d'aide sociale. Cette lacune est inhérente à la conception des études, car la pratique scientifique clinique exige de faire correspondre tout groupe expérimental à un groupe témoin identique. Ces groupes étudiés sont habituellement randomisés en terme de race, de sexe, de statut social. Les effets de ces facteurs sur les résultats de l'étude sont ainsi minimisés, mais cette uniformisation ne permet pas aux responsables politiques de déterminer les sous-groupes qui pourraient bénéficier au mieux d'un acte, car elle met l'accent sur l'effet au niveau d'une population « moyenne ». Alors même que ce sont souvent les populations les plus défavorisées qui pourraient le mieux bénéficier des dépenses en soins de santé, les principes actuels appliqués en recherche technologique restent insuffisantes à fournir aux décideurs des données nécessaires pour appliquer des politiques visant à obtenir des résultats médicaux plus équitables et plus efficaces. (Birch, 1997).

Les économistes de la santé prétendent généralement que les analyses coût-efficacité doivent être menées dans une perspective sociétale ou dans la perspective du système de santé. On peut ainsi déterminer si les investissements dans une catégorie de technologie (par exemple, les médicaments) peuvent générer des économies dans d'autres secteurs du système de santé (par exemple, utilisation de l'hôpital) ou reporter les économies sur les années suivantes. Toutefois, les décideurs doivent souvent s'accommoder de systèmes de budgets cloisonnés. Par exemple, dans de nombreux pays, les budgets consacrés aux médicaments sont distincts des budgets hospitaliers et il est rarement possible de transférer des ressources entre les budgets dans l'objectif d'améliorer la santé des patients et l'efficacité globale. De surcroît, les restrictions d'un budget limité à une année donnée peuvent interdire des investissements lourds à court terme susceptibles d'engendrer des bénéfices à long terme visant à l'amélioration des soins administrés aux patients.

Solutions proposées à ces problèmes

Malgré des progrès substantiels en terme de processus décisionnel factuel, quelques imperfections qui affectent le dispositif actuel ont été identifiées, par exemple, les retards significatifs qui caractérisent l'évaluation définitive des technologies, l'incapacité à intégrer les facteurs qualitatifs dans l'analyse, la pénurie permanente de ressources consacrées aux entreprises d'évaluation, et les problèmes de transfert des résultats de la recherche évaluative. Trois champs d'améliorations potentielles sont discutés ici : le renforcement des activités d'évaluation médicales, le respect de normes méthodologiques et de présentation des données et la consolidation des processus décisionnels par l'intégration de facteurs qualitatifs et quantitatifs.

Renforcement de l'entreprise analytique

Le renforcement de l'entreprise analytique (en particulier la recherche en évaluation clinique sur les technologies médicales) exige une base de financement stable et adéquate

permettant l'acquisition de nouvelles données et le développement des outils analytiques. Les secteurs de la santé des pays membres de l'OCDE sont dotés de programmes de recherche actifs, mais l'évaluation clinique est largement distancée par la recherche médicale fondamentale en termes de disponibilité de financement. Les industries pharmaceutiques et de dispositifs médicaux multinationales consacrent presque 20% de leur revenu brut à la recherche et au développement (RD). Environ 30% de ces budgets sont alloués aux essais cliniques pré-commercialisation et post-commercialisation, qui sont menés dans l'objectif explicite de satisfaire aux obligations réglementaires de couverture et de remboursement.

Les agences gouvernementales telles que le National Institute of Health des Etats-Unis d'Amérique contribuent également à la mise en œuvre de recherches d'évaluation clinique. En 1999, cette agence a dépensé 10 % (1,47 milliards d'USD) de son budget global en évaluations de technologie médicale. Ces essais sont importants car leur angle d'approche est différent de celui des essais du secteur privé. En particulier, ils concourent aux évaluations des protocoles cliniques majeurs et des thérapies expérimentales. Aux Etats-Unis d'Amérique, les dépenses conjointes de l'industrie et des organismes de RD fédéraux consacrées à la recherche en évaluation clinique représentent environ 1% des dépenses de santé.

L'ampleur du budget de recherche médicale fondamentale et les incertitudes qui pèsent sur l'utilisation appropriée et les conséquences économiques des innovations qui en sont issues, militent en faveur d'un accroissement de l'investissement en recherche d'évaluation clinique, mais il faut d'abord résoudre la question complexe du volume d'investissement à accorder et des contributions à solliciter des diverses parties prenantes. Chaque intervenant, quel qu'il soit (industrie, RD public, organismes d'assurance), préfère généralement faire porter le fardeau à d'autres épaules que les siennes. Cependant, le nombre des évaluations s'accroissant ainsi que leur complexité et leur sophistication, l'élaboration de coopérations inter-secteurs pour réunir les ressources s'impose graduellement. Au-delà de ces efforts consacrés à l'acquisition de nouvelles données, des mesures pourraient permettre d'optimiser l'utilisation des études mises en œuvre.

Consolidation des données et des méthodes

Une volonté plus ferme des chercheurs à standardiser l'exécution et la présentation des analyses coût-efficacité dans les publications faciliterait considérablement la transposition de ces études à divers environnements. Plusieurs enquêtes, incluant l'analyse présentée ici, ont pointé des lacunes importantes portant sur les ressources en soins de santé utilisées et les coûts unitaires d'une intervention dans la littérature d'analyse coût-efficacité, ainsi que sur des paramètres d'efficacité et sur les sous-groupes de patients bénéficiaires de résultats positifs (Russell, 2000 ; Birch, 1997).

Outre ces incertitudes, la perspective dans laquelle se placent les analyses publiées coïncide rarement avec celle des décideurs principalement concernés (par exemple, assureurs du secteur de la santé, administrateurs d'hôpitaux). Même si toutes les analyses coût-efficacité doivent se replacer dans le contexte sociétal, l'adjonction des points de vue d'autres décideurs pertinents fournirait des indications importantes sur les obstacles pratiques qui s'opposent à l'application des recommandations de rentabilité.

Plusieurs pays de l'OCDE, ainsi que des centres universitaires et des agences d'évaluation des technologies médicales, ont publié des directives et des recommandations pour établir des normes d'exécution et de présentation des analyses coût-

efficacité. Elles envisagent la nécessité d'une plus grande transparence comme un point essentiel lors de la communication de ces analyses. Par exemple, Gold *et al.* (1996), recommandent que la présentation des analyses coût-efficacité dans les journaux englobe une annexe technique destinée à clarifier les hypothèses et les procédés utilisés dans l'analyse, à valider le modèle employé, à fournir une analyse de sensibilité détaillée (c'est-à-dire à faire varier la perspective de l'analyse) et des résultats ventilés.

Consolidation des processus décisionnels

Les données quantitatives sont rarement concluantes par nature, et il est exceptionnel qu'elles indiquent sans équivoque aux politiques comment orienter l'attribution des ressources de santé. Le processus décisionnel peut être consolidé par l'inclusion d'associations de patients, de cliniciens et de représentants du public dans l'appréciation des technologies. L'adoption et l'acceptation des technologies est essentiellement limitée par des valeurs sociétales et par les opinions et les suppositions, informées ou non, des praticiens de terrain. En particulier, dans le cas des technologies qui présentent des applications limitées à des maladies gravissimes ou débilitantes, il paraît justifié d'inclure dans l'interprétation des données les patients susceptibles d'être significativement affectés par cette décision afin de favoriser la mise en place d'une politique humaine et efficace. Une transparence accrue du processus décisionnel associée à la pleine reconnaissance des problèmes éthiques et des valeurs locales, pourrait affiner la prise de décision et mieux la légitimer aux yeux du public.

Il est important de distinguer appréciation (jugement qualitatif et interprétation d'une analyse) et évaluation (analyse objective). Les responsables désireux de prendre des décisions informées doivent disposer d'une analyse aussi objective que possible, mais les techniques d'appréciation de cette analyse objective doivent également être envisagées. Il convient de répondre à la question cruciale du niveau d'entrée en scène des perspectives élargies des nouvelles technologies, c'est-à-dire de déterminer à quel échelon les incorporer dans la chaîne évaluation-appréciation-décision. Doivent-elles s'introduire aux marges de l'évaluation des technologies médicales, ou faut-il séparer les rôles d'appréciation et d'évaluation? La réponse dépendra dans une large mesure des caractéristiques institutionnelles et organisationnelles du système de santé, et en particulier du rôle que joue l'ETM dans ce système.

Il conviendrait également de déterminer comment les responsables politiques pourraient institutionnaliser les interactions entre l'appréciation et l'évaluation, ce qui est une tâche non négligeable. La nature des méthodes qualitatives contribuant par tel ou tel avantage dans différents contextes de prise de décisions est encore mal définie. Ces méthodes sont loin d'être homogènes, puisqu'elles sont issues de domaines extrêmement disparates qui vont des sciences sociales (sociologie, sciences politiques, économie, anthropologie, psychologie), aux sciences humaines (histoire, philosophie), et incluent même des hybrides telles que la bioéthique. Le choix des données issues ces différents domaines à intégrer ou à exploiter utilement, dépend moins de leurs mérites et prétentions *a priori* que des questions que cherchent à résoudre les chercheurs et les politiciens.

Conclusions

Les pays de l'OCDE emploient un large éventails d'outils politiques et de planification pour intégrer, limiter et distribuer l'offre de technologie médicale. Ces outils sont de plus en plus souvent fondés sur des données empiriques et les pays de l'OCDE investissent toujours davantage de ressources dans les évaluations dans le domaine de la

santé afin d'étayer le processus décisionnel. De toute évidence, l'amélioration des données empiriques sur les coûts et les conséquences des technologies médicales pourrait affiner les décisions politiques et leur conférer une base plus solide.

Toutefois, il reste plusieurs problèmes importants à résoudre lorsque l'on utilise des données empiriques, et en particulier les suivants : délai potentiel entre évaluation des soins et développement technologique, équité et justice distributive, incertitudes qui pèsent sur l'aptitude au transfert des données d'un environnement à un autre et incapacité à déterminer quels sous-groupes bénéficieront au mieux d'un acte. Ce dernier problème est un enjeu primordial dans le contexte des produits basés sur la pharmacogénomique.

De surcroît, les données quantitatives ne pourront jamais prétendre constituer l'unique socle des arbitrages sociaux importants. Une fois que les données cliniques et économiques ont joué leur rôle, les considérations culturelles, éthiques, physiologiques et politiques entrent en jeu et sont susceptibles de compliquer l'équation par leurs propres exigences irréductibles.

Trois implications éventuelles en termes de politique ont été soulignées dans ce chapitre :

- Le renforcement de l'entreprise analytique par de nouveaux partenariats publics et privés permettrait de partager les coûts des évaluations médicales.
- Une intégration plus large de parties prenantes (patients, prestataires de soins et représentants du public) pourraient ouvrir des perspectives plus étendues aux processus d'approbation et de décision.
- Le développement de modèles de présentation pourrait faciliter l'évaluation par les décideurs de l'adéquation des évaluations économiques à leur propre environnement local, et faciliter l'extrapolation des résultats.

Les enjeux corrélés à ces problèmes n'ont été que trop peu explorés, et pourraient susciter l'établissement d'un programme de recherche chargé dans le domaine politique.

Références

- Birch, S. (1997), “As a Matter of Fact : Evidence-Based Decision Making Unplugged”, *Health Economics* (1997), 6 : 547-559.
- Birch, S. and A. Gafni (1992), “Cost-effectiveness/Utility Analyses : Do Current Decision Rules Lead Us to Where We Want to Be?”, *Journal of Health Economics*, 11 : 279-296.
- Bryan, S. and J. Brown (1998), “Extrapolation of Cost-Effectiveness Information to Local Settings”, *Journal of Health Services Research and Policy*, 3(2) : 108-112.
- Buxton, M., Entretien, juillet 2003.
- Drummond, M. (1994), “Evaluation of Health Technology : Economic Issues for Health Policy and Policy Issues for Economic Appraisal”, *Social Sciences Medicine*, 38 : 1593-1600.
- Drummond, M. and F. Pang (2001), “Transferability of Economic Evaluation Results”, in M.F. Drummond and A. McGuire (eds.), *Economic Evaluation in Health Care : Merging Theory with Practice*, Oxford University Press.
- Geertz, C. (1983), *Local Knowledge : Further Essays in Interpretive Anthropology*, Basic Books, New York.
- Gold, M.R. *et al.* (1996), *Cost-effectiveness in Health and Medicine*, Oxford University Press, New York.
- Hoffmann, C., B.A. Stoykova, J. Nixon *et al.* (2002), “Do Healthcare Decision Makers Find Economic Evaluations Useful? The Findings of Focus Group Research in UK Health Authorities”, *Value in Health*, 5 : 71-78.
- Joyce, D., M. Loebe, G. Noon, S. McRee, R. Southard, L. Thompson, C. Skrabal, K. Youker and G. Torre-Amione (2003), “Revascularization and Ventricular Restoration in Patients with Ischemic Heart Failure : The STICH Trial”, *Current Opinion In Cardiology*, 18(6) : 454-457.
- Lee, T.Y. *et al.* (2002), “The Cost-Effectiveness of a ‘Quick-Screen’ Program for Abdominal Aortic Aneurysms”, *Surgery*, 132(2) : 399-407.
- Lindholt, J.S. *et al.* (2002), “Hospital Costs and Benefits of Screening for Abdominal Aortic Aneurysms : Results from a Randomised Population Screening Trial”, *European Journal of Vascular and Endovascular Surgery*, 23 : 55-60.
- Multicentre Aneurysm Screening Study Group (2002), “Multicentre Aneurysm Screening Study (MASS) : Cost-effectiveness Analysis of Screening for Abdominal Aortic Aneurysms Based on Four-Year Results from Randomised Controlled Trial”, *British Medical Journal*, 325 : 1135.
- Nathoe, H.M. *et al.* (2003), “A Comparison of On-Pump and Off-Pump Coronary Bypass Surgery in Low-Risk Patients”, *New England Journal of Medicine*, 348(5) : 394-402.
- Ohinmaa, A., D. Hailey and R. Roine (1999), “The Assessment of Telemedicine : General Principles and Systematic Review, An INAHTA Joint Project”, available at www.inahta.org.

- Payer, L. (1988), *Medicine and Culture : Varieties of Treatment in the United States, England, West Germany, and France*. H. Holt, New York.
- Oz, M., A. Gelijns, L. Miller, C. Wang, P. Nickens, R. Arons, K. Aaronson, W. Richenbacher, C. Van Meter, K. Nelson, A. Weinberg, J. Watson, E. Rose and A. Moskowitz, “Left Ventricular Assist Devices as Permanent Heart Failure Therapy : The Price of Progress”, *Annals of Surgery*, 238(4) : 577-583.
- Pentikäinen, T.J. *et al.* (2000), “Cost-Effectiveness of Targeted Screening for Abdominal Aortic Aneurysm”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16(1) : 22-34.
- Rector, T.S. *et al.* (1995). “Use of the Living With Heart Failure Questionnaire to Ascertain Patients’ Perspectives on Improvement in Quality of Life versus Risk of Drug-Induced Death”, *Journal of Cardiac Failure*, 1(3) : 201-6.
- Russell, L.B. and J.E. Sisk (2000), “Modeling Age Differences in Cost-Effectiveness Analysis”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16(4) : 1158-1167.
- Rutten, F. (1996), “Economic Evaluation and Health Care Decision Making”, *Health Policy*, 36 : 215-229.
- Spath, H.M. *et al.* (1999), “Analysis of the Eligibility of Published Economic Evaluations for Transfer to a Given Health Care System : Methodological Approach and Application to the French Health Care System”, *Health Policy*, 49 : 161-177.
- Stone, P.W. *et al.* (2000), “Measuring Costs in Cost-Utility Analyses”, *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 16(1) : 111-124.
- Wennberg, J.E. (1999), “Understanding Geographic Variations in Health Care Delivery”, *New England Journal of Medicine*, 340 : 52-53.

Chapitre 7

LE PROCESSUS DECISIONNEL EN CONDITIONS D'INCERTITUDE : LE POINT DE VUE D'UN ADMINISTRATEUR CENTRAL

Damian Coburn

Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie

L'incertitude est inévitable dans le domaine de la décision en soins de santé et naît de l'insuffisance d'informations concluantes permettant d'effectuer des choix informés. Ce chapitre étudie les enjeux à relever par les décideurs confrontés à l'incertitude. Il s'intéresse essentiellement aux contextes administratifs du processus décisionnel et propose quelques approches éventuelles pour gérer l'incertitude dans ce cadre.

Introduction

Les décisions prises par les gouvernements ou les compagnies d'assurance en matière de soins de santé s'inscrivent souvent dans un contexte d'enregistrement sur une liste de médicaments remboursés, du remboursement d'une nouvelle technologie médicale ou de l'investissement dans un programme de dépistage public. Les données probantes, en particulier les informations sur la rentabilité d'une nouvelle technologie, facilitent dans une large mesure les choix informés qui reviennent aux décideurs.

Toutefois, les données probantes ne sont pas toujours disponibles pour étayer des décisions informées, et même lorsqu'elles le sont, il peut subsister des incertitudes. Celles-ci peuvent naître de résultats contradictoires issus de diverses sources de données, ou d'un éventail de conclusions possibles suggérées par ces données, qui ne laisse place qu'à la conjecture, par exemple, en termes de rentabilité de la nouvelle technologie.

L'incertitude embarrasse les décideurs, car il leur revient alors d'arbitrer entre divers scénarios sans informations décisives suffisantes pour appuyer leur décision. Dans le domaine des soins de santé, ces choix impliquent des conséquences graves, car les risques et les bénéfices financiers et sanitaires sont considérables. Cependant, l'impératif majeur et la responsabilité des décideurs est de prendre des décisions, même en s'appuyant sur des données de médiocre qualité (Taylor, 2002). Différer le règlement d'un problème jusqu'à obtention de preuves parfaitement concluantes revient en tout état de cause à une décision.

Ce chapitre étudie les enjeux à relever par les décideurs confrontés à l'incertitude, et examine les options dont ils disposent pour la contrôler. Il s'intéresse tout particulièrement aux contextes administratifs du processus décisionnel et aux modalités selon lesquelles ils affectent le traitement de l'incertitude. Dans le cadre de ce chapitre, le terme « décideur » désigne tout particulièrement des décideurs administratifs plutôt que cliniques, c'est-à-dire les ministres, les membres d'un comité d'appréciation, les fonctionnaires gouvernementaux et les administrateurs d'assurance maladie (ces décideurs sont

parfois qualifiés de décideurs du macro-niveau ou du méso-niveau en opposition au micro-niveau).

Décision en technologie médicale - le contexte administratif

La question primordiale concernant une technologie médicale est la suivante : « doit-on l'utiliser ? ». Les prestataires de soins sont généralement chargés de recommander ou non l'emploi d'une technologie au niveau du patient individuel. Toutefois, les décisions prises au macro- et au méso-niveaux influent également sur la réponse à cette question. Elles sont généralement axées sur les thèmes suivants :

- Cette technologie doit-elle être financée ou remboursée (par exemple ce nouveau médicament doit-il être inscrit sur la liste nationale des médicaments remboursés) ?
- Qui doit accéder à cette technologie (par exemple, le dépistage par mammographie gratuit devrait-il être proposé aux femmes de moins de 40 ans) ?
- Sur quel site cette technologie doit-elle être disponible (par exemple, un nouvel appareil de TDM est-il nécessaire dans la ville *x*) ?
- Faut-il encourager l'utilisation de la nouvelle technologie de préférence aux plus anciennes ?

Ces questions reçoivent leur réponse dans le cadre des nombreux objectifs du système de santé, en particulier les suivants :

- *Favoriser l'accès à des services de santé efficaces et appropriés.* Il est du devoir des décideurs que les personnes sous leur juridiction aient accès à des services de santé de haute qualité qui amélioreront leur état sanitaire. Les décideurs ont également pour mission de restreindre l'accès aux actes inefficaces, dangereux, ou ne justifiant pas un remboursement (souvent public).
- *Promouvoir l'équité d'accès à l'offre de services.* Un état de santé médiocre et/ou un accès difficile aux services de santé est parfois associé à un ou plusieurs facteurs socio-économiques ou démographiques, par exemple, un faible revenu ou l'appartenance à une communauté particulière (par exemple indigène). La tâche des décideurs est habituellement de promouvoir un accès équitable aux services de santé en fonction des besoins cliniques¹.
- *Efficiences de l'offre de services de santé.* Dans de nombreux pays de l'OCDE, les dépenses de santé s'accroissent en chiffres réels, à un rythme souvent plus soutenu que celles des autres programmes gouvernementaux. L'un des principaux objectifs de la plupart des systèmes de santé est d'optimiser les ressources dans le cadre des contraintes de la politique fiscale, tout en s'efforçant de préserver l'équilibre avec les autres objectifs sanitaires.

1. On notera à ce sujet qu'un objectif explicite lors de l'instauration du National Institute for Clinical Excellence (NICE) au Royaume-Uni était de traiter le problème de « la prescription en fonction du code postal » (Dobson, 1999).

Encadré 7.1. Le professeur Smith doit prendre une décision

Le professeur Smith se rend à une réunion d'un comité d'appréciation des technologies médicales national, la première depuis sa nomination. Elle ressent un léger malaise et doute un peu de ses compétences car, malgré ses connaissances solides en méthodologie d'essais cliniques et ses notions lui permettant de suivre une évaluation économique, elle est parfaitement consciente de la différence entre décider de l'accès à des protocoles à l'échelle d'un pays et émettre des jugements cliniques destinés à ses patients ou conseiller ses étudiants.

La veille, le jeune docteur Jones, membre de son département, venait tout juste de l'entretenir avec enthousiasme d'une des technologies à l'ordre du jour. Cependant, les rapports d'évaluation de la technologie récemment reçus à son bureau semblent si peu concluants. Ils n'ajoutent rien aux articles déjà publiés dans les journaux, alors que les chiffres inclus dans l'analyse économique paraissent alarmants.

Autre source de malaise : comment faire entrer dans l'équation à résoudre pour soigner les patients les questions budgétaires lorsque la technologie semble intuitivement de bonne augure. Le professeur Smith s'agite avec embarras sur son siège : elle s'attend à devoir subir les discours de quelques épidémiologistes universitaires pointilleux et d'économistes de la santé acharnés à dénier tout droit à des patients nécessiteux par simple insuffisance d'essais contrôlés randomisés.

Certains facteurs environnementaux infléchissent également le mode opératoire des décideurs. Comme le suggère l'histoire du professeur Smith dans l'encadré 1, quelques-uns d'entre eux font jouer les préférences ou les attentes qui peuvent restreindre, en termes pratiques, la faisabilité de certaines décisions. Jan (2003) et Rosen et Gabbay (1999) analysent les modalités de prise de décision et de d'élaboration des politiques, tout en mentionnant la rareté de la littérature dans ce domaine. Jan s'interroge sur la non-utilisation de l'évaluation économique par les décideurs et suggère qu'ils sont souvent réticents devant les choix difficiles. Rosen et Gabbay mentionnent également les influences et les aspirations de parties prenantes externes. Ces questions sont analysées ci-dessous.

- *Intérêts des parties prenantes.* Les prestataires de produits et de services de santé sont directement intéressés par les décisions prises en matière de technologies médicales, en particulier sur les questions de financement de la couverture. Les considérations des décideurs et des prestataires de services de soins peuvent parfois diverger. Les décideurs au macro- et au méso-niveaux s'inquiètent souvent des impacts sur la population, tandis que le médecin ou le patient envisage les effets sur l'individu (McDaid, 2003; Maynard et McDaid, 2002). Ces concurrences d'intérêts peuvent engendrer des tensions lors des prises de décisions, qui sont de surcroît soumises à d'autres facteurs liés, à savoir l'aspect lacunaire des informations et leur asymétrie, « l'impératif technologique », et le risque moral qui sont décrits en détail ci-dessous :
 - *Les lacunes et l'asymétrie qui caractérisent les informations.* Les patients exigent de leur médecin des conseils et des services sur les soins éventuels à leur disposition, même si cette fonction tend à perdre sa prépondérance grâce à une meilleure sensibilisation des consommateurs au secteur des services de santé (Sanders, 2002). Toutefois, dans un contexte où de nombreux actes de soins, et même la plupart d'entre eux, n'ont pas été soumis à une enquête systématique et/ou factuelle, et eu égard au rythme soutenu de l'innovation dans le domaine de la santé, les prestataires de soins eux-mêmes ne disposent pas toujours des connaissances nécessaires.

En effet, en matière de technologies médicales « établies », il arrive que les « faits » n'aient pas encore été systématiquement ou scientifiquement étudiés, et en matière d'innovations, les données probantes ne sont pas toujours disponibles. Comme le notent Maynard et McDaid (2002), et comme il est bien reconnu, les technologies médicales sont fréquemment diffusées avant d'être évaluées.

- « *L'impératif technologique* ». Briones *et al.* (1999) montrent que « les professionnels de la santé sont très réceptifs aux nouveaux développements technologiques et prennent souvent des décisions fondées sur l'opinion selon laquelle tout ce qui peut bénéficier à mon patient à quelque degré que ce soit doit au moins être essayé, et donc financé ». Quant au patient, les espoirs qu'il place dans les nouvelles innovations peuvent parfois naître d'une couverture médiatique favorable.
- *Risque moral*. L'assurance maladie (publique et privée) peut accroître la demande et créer des domaines d'inefficacité économiques. Les consommateurs ultimes n'ayant pas à supporter la totalité des dépenses, les patients et les prestataires de soins sont tentés de surexploiter les services de soins.
- *Choix difficiles, préférences sociales et aspirations*. Selon Maynard et McDaid (2002) « l'allocation des ressources par les décideurs continuera d'être inefficace car ces pratiques correspondent à des concepts d'équité souvent mal définis ». Par exemple, de nombreux décideurs seront prêts à sacrifier l'efficacité si les dépenses supplémentaires bénéficient à des groupes de la société présumés en être plus dignes, tels que les enfants, les anciens combattants ou les patients atteints de maladies graves. Ces pratiques, bien que probablement inefficaces, se conforment aux préférences sociales ou aux considérations d'équité. Il paraît difficile de dessiner un tableau clair des préférences sociales méritant d'être intégrées dans les analyses scientifiques ou économiques (Ham, 1997) et ces choix risquent de soulever de vives controverses. Dans le cadre de cette analyse environnementale, on se contentera de noter que les décideurs sont confrontés à des impératifs sociaux qui influencent le processus décisionnel.

L'accès aux technologies fait donc l'objet de toute une série d'aspirations plus ou moins bien documentées par des données scientifiques. De surcroît, les décideurs, responsables des arbitrages dans cet environnement complexe structuré par les multiples objectifs du système de santé, les préférences sociales et les aspirations croissantes des parties prenantes, ne sont pas forcément des experts en méthodologies techniques d'évaluation des technologies médicales.

Gérer l'incertitude

L'incertitude est considérée ici comme une source de risques dont doivent tenir compte les décideurs. Les responsables de l'évaluation clinique risquent de faire deux types d'erreurs. Ils peuvent conclure qu'un traitement est efficace alors qu'il ne l'est pas, ou conclure qu'un traitement est inefficace alors qu'il l'est en fait. Ces erreurs constituent également des risques pour les décideurs (Taylor, 2002). Les décideurs risquent d'approuver ou d'encourager l'accès à une technologie éventuellement inefficace, inefficace ou même dangereuse (par exemple en autorisant son remboursement), ou bien

ils peuvent entraver ou refuser l'accès à des technologies qui sont bénéfiques et efficaces.

L'incertitude surgit lorsque les décideurs ont des difficultés à répondre aux questions suivantes :

- Quels individus bénéficieront de la technologie?
- De quelle ampleur et de quelle durée sera leur bénéfice?
- En quoi ces bénéfices diffèrent-ils des traitements standard actuels, et quel est leur coût?

L'incertitude peut naître de l'absence totale de recherche sur ces données fondamentales, ou de l'impossibilité de les produire par des essais cliniques. L'encadré 7.2 expose un scénario (tomographie par émission de positons, TEP) qui décrit comment, en Australie, les décideurs ont été confrontés à des résultats de recherche inadéquats ou inexistantes, et illustrent également certains des facteurs contextuels présentés ci-dessus.

L'incertitude a fait l'objet de nombreux articles de la littérature, en particulier dans le domaine de l'économie de la santé. Toutefois, dans leur grande majorité, ils sont destinés à des économistes de la santé et non à des décideurs. On trouve cependant quelques articles, de plus en plus nombreux, sur le processus décisionnel et l'incertitude. Ils se rangent généralement dans l'une des catégories suivantes, ou bien dans les deux :

- Résultats descriptifs d'enquêtes, de travaux de groupes de discussion et d'autres techniques permettant de révéler l'opinion des décideurs sur l'évaluation des technologies médicales (ETM) et les évaluations économiques, et sur ce qu'ils souhaiteraient y trouver. Des exemples récents peuvent être tirés des expériences britanniques et canadiennes, en particulier en consultant Drummond *et al.* (2003), Lehoux *et al.* (2003) et AHFMR² (2003).
- Prescriptions de modalités de présentation des informations par les producteurs d'évaluations économiques (y compris les informations incertaines) de façon à en renforcer l'utilité pour les décideurs. Par exemple, Drummond *et al.* (2003) et Briggs et Gray (1999) proposent des analyses utiles des problèmes techniques et méthodologiques qui se posent en cas d'incertitude. Dans ce domaine, les agences d'ETM ont développé des directives intéressantes. La plupart, voire la totalité, des agences les propose comme modèles destinés aux requérants et/ou pour définir le contenu des ETM, et les modalités de leur mise en œuvre. Toutefois, certaines agences d'ETM ont récemment développé des guides permettant d'alléger la tâche des décideurs dans les cas d'incertitude inhérente aux technologies émergentes. On citera en particulier Briones *et al.* (1999), Hailey et Harstall (2001), et ASERNIP-S³ (2002). Les directives de l'ASERNIP-S sont notamment destinées aux décideurs au niveau d'un hôpital ou d'un service de santé local.

Les deux catégories ont contribué avec profit à la littérature. Mais un engagement mutuel ferme sur la méthodologie et la pratique d'ETM entre producteurs d'ETM et décideurs, c'est-à-dire ses utilisateurs, fait peut être encore défaut.

2. Alberta Heritage Foundation for Medical Research (AHFMR).

3. Australian Safety and Efficacy Register of New Interventional Procedures – Surgical (ASERNIP-S).

Encadré 7.2. Décision en tomographie par émission de positons

La TEP est une technique d'imagerie dont l'éventail des applications est large, tout particulièrement en oncologie, domaine dans lequel la TEP est principalement utilisée en stadification, c'est-à-dire pour confirmer la propagation de la maladie afin d'adapter la planification du traitement. La TEP a pour atout principal en oncologie sa capacité à détecter des cancers disséminés qui ne peuvent être observés par d'autres modalités d'imagerie (en particulier la tomodensitométrie, TDM). Sa valeur semble donc logique et plausible, mais il reste toutefois à démontrer, pour qu'elle soit utile au patient (en ignorant pour l'instant les paramètres coût-efficacité), les points suivants :

1. La TEP est plus précise que la TDM pour identifier une maladie disséminée.
2. Par conséquent, les régimes de traitement administrés au patient sont modifiés.
3. Les régimes modifiés sont effectivement administrés aux patients (on notera que ceci peut se traduire par l'abandon du traitement).
4. Le processus aboutit à des bénéfices nets pour le bien-être du patient.

Le rapport d'ETM australien sur la TEP révèle que pour une série d'utilisations cliniques, on dispose de preuves raisonnables pour le point 1, de quelques données probantes pour le point 2, mais de résultats rares ou absents pour les points 3 et 4. Cet état de fait a soulevé quelques controverses (tout comme les ETM produites dans d'autres pays qui sont parvenues à des conclusions similaires). D'autres facteurs pris en compte étaient les suivants :

- Le cancer est une priorité de santé nationale en Australie.
- Les médecins traitants sont fermement convaincus de l'utilité de la TEP.
- Au moment de l'ETM, deux sites de TEP étaient déjà financés en Australie.
- La TEP est très onéreuse, aussi bien à mettre en place qu'à faire fonctionner.

Le rythme soutenu de la diffusion des diagnostics par imagerie a déjà posé des problèmes en Australie par le passé.

La question de la TEP en Australie s'est soldée par des accords de remboursements pour un nombre accru mais limité de sites (huit sites ; la TEP et l'IRM sont les seules techniques d'imageries soumises à des limites du nombre des prestataires de services remboursés au niveau fédéral en Australie) ; le financement est subordonné à la collecte de données cliniques destinée à la réalisation d'une nouvelle ETM dans un délai de trois ans.

Les conseils prescriptifs à l'usage des décideurs pour une meilleure gestion de l'incertitude est un sujet sur lequel une recherche plus rigoureuse est attendue. Quatre approches possibles pourraient être utilisées pour faciliter la prise de décision en cas d'incertitude.⁴

i. Développer le dialogue et l'entente avec les producteurs d'ETM

Les producteurs et les utilisateurs d'ETM œuvrent dans des environnements différents et sont soumis à des impératifs distincts. Une compréhension mutuelle plus approfondie pourrait permettre d'améliorer l'utilité et la pertinence de l'ETM et des évaluations économiques et d'ouvrir des voies au développement de directives plus pratiques

4. Elles sont tirées des dix commandements développés dans le cadre du projet « Analysis of the Scientific and Technical Evaluation of Health Care Interventions in the European Union » (ASTEC) (Maynard, 2002).

concernant le processus décisionnel. Parallèlement, il conviendra de s'assurer que les méthodologies et la pratique de l'ETM restent judicieusement fondées et impartiales.

ii. Tâcher de comprendre l'ETM

Les personnes dont la principale mission est de prendre des décisions en matière de technologie, et qui sont étroitement liées (ou même intégrées) aux processus d'appréciation, doivent bénéficier d'une formation aux méthodes d'ETM pour que les suggestions suivantes soient d'une quelconque aide. Si les utilisateurs d'ETM ne comprennent pas l'évaluation, ils seront vraisemblablement dans l'incapacité de poser les bonnes questions. On leur fournira alors les mauvaises réponses sans même qu'ils en aient conscience.

iii. Insister sur les données fondamentales

Drummond *et al.* (2003) ont émis plusieurs recommandations précisant les moyens de rendre les évaluations économiques plus transparentes et plus accessibles aux décideurs. Du point de vue du décideur, il est essentiel de cerner les limites des résultats de façon à pouvoir juger de la solidité des données probantes en fonction des objectifs politiques.

iv. Éviter les résumés fournis par des mesures telles que les rapports coût-efficacité incrémentiels (ICER)⁵

L'incertitude déstabilise les décideurs. Les rapports coût-efficacité incrémentiels (en particulier ceux du type estimation ponctuelle) offrent un confort trompeur ; ils ont l'apparence d'une mesure condensée exacte de toutes les informations nécessaires pour la prise de décision. Ils semblent de surcroît agréger toutes les informations de façon à permettre une évaluation par rapport à un coût de renonciation (explicite ou autre) et répondre facilement à toutes les questions posées par la technologie. Cette démarche présente cependant des dangers car elle empêche de désunir les informations du contexte de la technologie afin d'émettre des jugements relatifs à des objectifs plus larges, par exemple, le type et le nombre d'individus affectés, et leur état de santé. Lorsqu'une valeur excessive est accordée à l'estimation ponctuelle, l'incertitude est ignorée.

v. Utiliser sans crainte les outils d'évaluation économiques, tout en restant conscient de leurs limites

Gafni et Birch (1993, 2003a), et Birch et Gafni (2002) déconseillent l'utilisation inappropriée de l'évaluation coût-efficacité dans le processus décisionnel. Elle serait au mieux incompatible avec les objectifs politiques et a abouti au Canada à des conséquences négatives : « les décideurs ont eu le tort d'avoir persisté dans leur refus de reconnaître que l'utilisation de cette méthodologie provoque une croissance incontrôlée des dépenses » (Gafni et Birch 2003b). Plus précisément, selon Birch et Gafni, l'utilisation de l'analyse coût-efficacité dans le cadre d'un budget fixé ne se justifie que si l'on utilise simultanément le concept de coûts de renonciation. Ils soutiennent que les décideurs ont utilisé l'analyse coût-efficacité dans le seul objectif d'approuver ou de refuser le financement d'une technologie dans un système de santé, en négligeant les implications budgétaires globales.

5. *Incremental cost-effectiveness ratio (ICER).*

Dans une enquête sur les pays de l'OCDE, Dickson *et al.* (2003) révèlent que dans la plupart des pays étudiés, l'utilisation de l'analyse coût-efficacité dans le processus décisionnel relatif au secteur pharmaceutique avait pour objectif d'optimiser les ressources, et pas nécessairement de maîtriser les coûts. Dans les cas d'incertitude, il est généralement préférable de disposer de l'information la plus abondante possible, et l'analyse coût-efficacité peut être utilisée pour mieux définir le degré de rentabilité d'une technologie, même si cette utilisation de la mesure est incomplète ou inappropriée.

vi. Ne pas se limiter à des approches du « tout ou rien » ou à des références isolées pour les données probantes

Le processus décisionnel est un problème de gestion des risques, et une approche de gestion des risques peut être utile pour déterminer la rigueur méthodologique requise pour évaluer et apprécier la solidité et la qualité des données probantes. Des facteurs tels que l'existence de traitements alternatifs, la gravité et la prévalence de la maladie, la probabilité d'un danger, et l'impact budgétaire potentiel, affectent tous les ressources allouées à l'ETM, la solidité des données requises pour l'efficacité et le coût de renonciation acceptable d'une technologie. Les facteurs de risque peuvent également influencer l'acceptabilité d'évaluations économiques modélisées, eu égard à la durée croissante des essais ou à l'extrapolation des résultats médicaux ultimes à partir de données de substitution.

La diffusion contrôlée et limitée des technologies pourrait se révéler une approche valable pour démontrer l'efficacité et la rentabilité des technologies prometteuses. En Australie et en Suisse, par exemple, les technologies médicales aux perspectives encourageantes peuvent recevoir un financement de couverture sur un délai fixé dans l'attente de nouveaux essais, ou sous condition de collecte de données (voir également Hailey et Harstall, 2001). Dans le contexte australien, le Medical Services Advisory Committee a recommandé cette approche par financement provisoire dans les cas suivants : la technologie traite une affection grave, des données probantes raisonnables et solides confirment l'intérêt de la technologie, mais elles ne sont pas suffisamment abondantes pour étayer une recommandation de financement inconditionnelle ; enfin, il subsiste des questions très précises sur les données nécessaires pour une décision future, mais des perspectives raisonnables de réponses à ces questions.

La diffusion contrôlée des technologies peut également favoriser une innovation adaptée, en particulier dans le cas des technologies médicales. En ce qui concerne les produits pharmaceutiques, la RD est généralement close au moment de leur examen par les comités d'évaluation. Toutefois, dans le cas des actes médicaux, il est souvent difficile d'atteindre un niveau adéquat de développement après la recherche ou la diffusion large de la technologie. Parvenir à une « gestion responsable » de l'innovation clinique est l'objectif du programme sur les protocoles d'intervention du National Institute for Clinical Evidence (NICE) du Royaume-Uni, qui cherche en effet à résoudre certains des problèmes qui surgissent à l'évocation du point suivant.

vii. Comblent les lacunes de l'évaluation d'une technologie déjà diffusée fait appel à des décisions au cas par cas

L'évaluation des technologies dont la diffusion est amorcée dans le système de soins engendre des tensions. Comme le notent Hailey et Harstall (2001), l'une des situations suivantes peut se présenter : 1) les décideurs ne satisfont pas des données probantes sur les technologies existantes et 2) des innovations ont échappé à l'attention des décideurs préalablement à leur évaluation ou à leur diffusion. La délégation de décisions aux

administrateurs locaux en matière de technologie est inévitablement corrélée à une augmentation du risque de se trouver dans cette dernière situation, en l'absence de systèmes de recensement tel que le Programme sur les protocoles d'intervention du NICE.

Les tensions surgissent dans une large mesure en cas de conflits entre prestataires et attentes des patients. Le décideur doit juger du caractère raisonnable de ces attentes. Aux deux extrémités de l'échelle, on trouve les cas suivants :

- Une technologie largement diffusée qui n'est étayée que par de maigres données probantes, mais pour laquelle une nouvelle évaluation (par exemple un essai randomisé) serait inappropriée ou non éthique⁶.
- Une nouvelle technologie qui s'est largement diffusée dans un très court laps de temps, dont l'évaluation révèle que les données probantes qui existent sont de très médiocre qualité.

Les décideurs adopteront vraisemblablement une position plus ferme sur le financement et insisteront davantage sur l'importance de données probantes de meilleure qualité dans le second cas que dans le premier.

viii. Développement de stratégies pour minimiser le risque post-décisionnel

Le débat sur l'incertitude s'est jusqu'ici centré sur la qualité des données probantes. Toutefois, l'incertitude peut également peser sur le rythme d'intégration et d'utilisation d'une technologie. Les décideurs seront alors confrontés à l'incertitude par ignorance du niveau probable de diffusion d'une technologie une fois la décision prise. Ce risque est exacerbé dans les systèmes de santé dans lesquels le financement des services de santé s'appuie sur des régimes de remboursement ou sur une autre éligibilité prescrite (et par conséquent non plafonnée) tels que l'assurance médicaments australienne et les dispositifs de prestations de Medicare pour les services médicaux.

Les accords de partage des risques (par exemple, entre gouvernement et industrie) cherchent à résoudre ce problème par l'intermédiaire de dispositifs de tarification. Par exemple, le financement public des nouvelles technologies peut être associé à des accords prix-volume, selon lesquels le dépassement d'un certain seuil par l'application entraîne l'ajustement du prix payé. Il est également possible de convenir de corréliser le prix d'une nouvelle technologie au niveau prévu d'efficacité relative. Cette option pourrait concerner les technologies à plusieurs indications, dont le degré de rentabilité dépend de l'indication pour laquelle elle est utilisée. On peut alors fixer un prix moyen, pondéré par les utilisations prévues de chacune des indications spécifiées (Mitchell, 2002).

Outre leur utilisation pour des technologies spécifiques, les accords prix-volumes peuvent être appliqués plus largement pour couvrir un ensemble de services ou de technologies utilisés dans des domaines médicaux spécifiques (par exemple, le diagnostic). Selon ces accords, les dépenses publiques globales sont limitées à une certaine quantité pendant une durée fixée, et les prix sont ajustés lorsque les dépenses totales excèdent le montant agréé. Ils peuvent s'accommoder d'une certaine souplesse afin de pouvoir recalculer le niveau de financement fixé lors de l'introduction de nouvelles innovations

6. Imaginons par exemple, que les preuves de l'efficacité relative d'une intervention chirurgicale par rapport à une « attente vigilante » pour une affection douloureuse X soient lacunaires. L'intervention chirurgicale est courante, établie, et semble soulager immédiatement la douleur des patients souffrant de X. Qui accepterait une randomisation dans un essai pour répondre à cette question ?

dans le forfait de soins financés par le secteur public. Ces mesures renforcent la certitude sur les dépenses, même si les dispositifs de financement ne sont pas formellement plafonnés.

ix. Equilibrer les données par rapport à d'autres objectifs, toutes les QALY n'étant pas égales⁷

Les lignes directrices sur les modalités d'incorporation des préférences sociales dans le processus décisionnel, et de pondération des données probantes et des analyses économiques dans ce contexte, sont loin d'être claires et détaillées⁸. La validité de l'incorporation des préférences sociales et d'autres perspectives dans le processus décisionnel n'a pas encore confirmée au sens procédural ou politique. Autrement dit, l'efficacité n'est que l'un parmi de nombreux autres objectifs des politiques de santé et l'évaluation économique, loin d'orienter les objectifs politiques, reste à leur service.

Dans le cas d'un traitement qui n'est pas rentable, mais qui s'adresse à des populations hautement prioritaires, on peut arguer du coût élevé des soins et des résultats cliniques potentiellement médiocres, pour démontrer l'intérêt de dépenser les ressources sur d'autres postes, et conclure que l'administration de ces soins entre en contradiction avec d'autres décisions. Cependant, la cohérence des décisions mesurées par des comparaisons d'ICERS entre différents actes n'a de raison d'être que si toutes choses sont égales par ailleurs. Le cas présenté n'entre pas dans cette catégorie, car selon une opinion répandue dans de nombreuses sociétés, ses membres les plus malades et les plus vulnérables méritent une attention particulière, qui se résume par le concept de non-assistance en personne en danger. Loin d'être irrationnelle, cette attitude confirme l'insertion de l'évaluation économique dans des cadres sociaux et éthiques plus larges.

Le débat aborde à ce point les questions des limites des responsabilités publiques et privées, autrement dit faut-il financer tous les services de soins susceptibles d'améliorer la santé (mesurée, par exemple par les années de vie pondérées par la qualité) par des fonds publics ? Dans le cas de l'Australie, certains soins prodigués par le biais des services de santé, tels que la chirurgie esthétique⁹, ne sont pas couverts par le secteur public, mais sont accessibles par rémunération de prestataires privés, et ceci malgré l'éventualité que les préférences individuelles puissent optimiser la rentabilité de ces services par rapport à d'autres actes proposés.

La pertinence de ce débat est encore plus évidente lorsqu'il traite des technologies nouvelles et émergentes. Par exemple, les futurs médicaments personnalisés pourront sans doute réduire le risque d'effets secondaires, et augmenter la probabilité d'efficacité des traitements. Parallèlement, les nouveaux progrès pharmaceutiques, par exemple ceux attribuables aux médicaments améliorant la qualité de la vie destinés à augmenter les performances, ou aux substances dites « médicaments de l'intelligence » peuvent avoir des conséquences psychosociales, ou même culturelles, profondes. Ces développements peuvent accroître l'incertitude des décideurs, et la tâche du professeur Smith (qui nous a été présentée dans l'encadré 7.1) peut encore s'alourdir. Ces questions sont évoquées dans le chapitre 8.

7. Année de vie pondérée par la qualité (QALY, *Quality-Adjusted Life-Year*).

8. En avril 2004, le NICE du Royaume-Uni a publié son dernier guide de méthodes relatives à son programme d'appréciation des technologies, qui prend en compte pour la première fois ce sujet. Le document est intitulé « *Guide to the Methods of Technology Appraisal* » et sera disponible sur le site web : www.nice.org.uk.

9. Le traitement des dysfonctionnements de l'érection est un autre exemple local.

Références

- AHFMR (2003), “A Study of the Impact of 2001-2002 Health Technology Assessment Products”, Final Report, Information Paper 15, AHFMR, Edmonton.
- ASERNIP-S (2002), “General Guidelines for Assessing, Approving and Introducing New Procedures into a Hospital or Health Service”, Royal Australian College of Surgeons/ASERNIP-S.
- Birch, S. and A. Gafni (2002), “On Being NICE in the UK : Guidelines for Technology Appraisal for NHS in England and Wales”, *Health Economics*, 11(3) : 185-91.
- Briggs, A.H. and A.M. Gray (1999), “Handling Uncertainty when Performing Economic Evaluations of Health Care Interventions”, *Health Technology Assessment*, 3(2).
- Briones E., M. Loscertales and M.J. Pérez Lozano, on behalf of the GANT Group (1999), “GANT Project : Methodology for the Development and Preliminary Study of the Guide” [also titled : “Guide for Decision Making in the Incorporation and Acquisition of New Technologies in the Health Care Centres of Andalucía” (GANT)], *Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias de Andalucía*, Seville, Spain.
- Dickson, M., J. Hurst and S. Jacobzone (2003), “Survey of Pharmacoeconomic Assessment Activity in Eleven Countries”, OECD Health Working Paper No. 4.
- Dobson, F. (1999), “Secretary of State’s Speech on the Launch of NICE”, *www.nice.org*.
- Drummond, M., R. Brown, M.A. Fendrick and P. Fullerton (2003), “Use of Pharmacoeconomics Information – Report of the ISPOR Task Force on Use of Pharmacoeconomics/Health Economic Information in Health-Care Decision Making”, *Value in Health*, 6(4) : 407-16.
- Gafni, A. and S. Birch (1993), “Guidelines for the Adoption of New Technologies : a Prescription for Uncontrolled Growth in Expenditures and How to Avoid the Problem”, *Journal de l’Association médicale canadienne (JAMC)*, 148(6) : 913-7.
- Gafni, A. and S. Birch (2003a), “Inclusion of Drugs in Provincial Drug Benefit Programs : Should ‘Reasonable Decisions’ Lead to Uncontrolled Growth in Expenditures?”, *Journal de l’Association médicale canadienne (JAMC)*, 168(7).
- Gafni, A. and S. Birch (2003b), “Should Cost-Effectiveness Take the Blame?” *Journal de l’Association médicale canadienne (JAMC)*, 168(12).
- Hailey, D. and C. Harstall (2001), “Decisions on the Status of Health Technologies”, *AHFMR*.
- Ham, C. (1997), “Priority Setting in Health Care : Learning from International Experience”, *Health Policy*, 42 : 49-66.
- Jan, S. (2003), “Why Does Economic Analysis in Health Care Not Get Implemented More? Towards a Greater Understanding of the Rules of the Game and the Costs of Decision Making”, *Applied Health Economics and Health Policy*, 2(1) : 17-24.

- Lehoux, P., L. Denis, M. Hivon and S. Tailliez (2003), "Dissemination and Use of Health Technology Assessment in Canada : The Perception of Providers, Health Care Administrators, Patients and Industry", *GRIS*, University of Montreal.
- Maynard, A. (2002), Introduction to A. Maynard, R. Cookson, D. McDaid, F. Sassi *et al.*, "ASTEC Final Summary Report", ASTEC.
- Maynard, A. and D. McDaid (2002), "ASTEC : the Implications for Policy Makers" in A. Maynard, R. Cookson, D. McDaid, F. Sassi *et al.*, "ASTEC Final Summary Report", ASTEC.
- McDaid, D. (2003), "Evaluating Health Interventions in the 21st Century : Old and New Challenges", *Health Policy*, 63 : 117-120.
- Mitchell, A. (2002), "Antipodean Assessment : Activities, Actions and Achievements", *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 18(2) : 203-212.
- OECD (2003), *Health Data 2003*, 3rd Edition.
- Rosen, R. and J. Gabbay (1999), "How Do New Technologies Get Into Practice : Linking Health Technology Assessment to Practice", *British Medical Journal*, 313.
- Sanders, J.M. (2002), "Challenges, Choices and Canada", *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 18(2) : 199-202.
- Taylor, R. (2002), "National Institute of Clinical Excellence (NICE) : HTA Rhyme and Reason?" *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 18(2) : 166-170.
- Woods, K. (2002), "Health Technology Assessment for the NHS in England and Wales", *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 18(2) : 161-5.

Chapitre 8

LA DECISION POLITIQUE DANS LE DOMAINE DE LA BIOMEDECINE

Ingo Haertel (Allemagne), Phil Jackson et Barbara Slater (Canada)

Les biotechnologies liées à la santé se développent à un rythme sans précédent et créent sans cesse de nouvelles techniques de prévention, de traitement et de prise en charge de la maladie. Toutefois, l'utilisation de certaines d'entre elles fait l'objet d'un vif débat. Ce chapitre expose les enjeux spécifiques que devront relever les décideurs et les évaluateurs de quelque unes de ces technologies. Il souligne également d'autres aspects envisagés pour mieux informer les décisions ainsi que les insuffisances actuelles qui marquent la production de cette information. Enfin, ce chapitre suggère quelques outils susceptibles de combler ces lacunes.

Introduction

Le secteur des biotechnologies médicales s'est développé au cours de ces dernières décennies à un rythme sans précédent, et il apparaît sans doute aucun que l'influence des biotechnologies liées à la santé humaine sur l'administration des soins médicaux est vouée à s'accroître encore considérablement. Des technologies telles que le dépistage génétique et les transplants de cellules souches autologues ont déjà été intégrées dans les systèmes de santé ; d'autres, comme les organes bioartificiels et la thérapie génique sont encore au stade de la recherche et sur le point d'être introduites sur le terrain clinique. Dans certains cas, par exemple, le transfert thérapeutique de noyaux cellulaires, les perspectives d'utilisation clinique sont encore lointaines.

Aujourd'hui, un nombre significatif et croissant de demandes d'approbation aux principales agences du médicament concernant des produits dérivés de la biotechnologie ou « des agents biologiques ». Par exemple, en 2002, la Food and Drug Administration (FDA) des Etats-Unis d'Amérique a approuvé environ 78 demandes de nouveaux médicaments et 34 nouveaux agents biologiques majeurs, ainsi que 34 agents biotechnologiques qui étaient pratiquement équivalents à des produits existants. Ces agents biologiques comprennent des produits permettant de sauver des vies, tels que des vaccins recombinés contre l'hépatite B, l'insuline humaine produite par ADNr et des combinaisons de vaccins pour les nourrissons.

Les progrès fulgurants dans le domaine de l'élucidation du génome humain et d'autres espèces a stimulé dans une large mesure la recherche et le développement de technologies candidates. Le Boston Consulting Group (BCG), a, par exemple, estimé qu'en 2015, la part des médicaments génomiques atteindra 40 % du marché pharmaceutique total (Tolman *et al.*, 2001), bien que leur date d'introduction exacte en volumes significatifs reste très incertaine (les estimations actuelles tournent autour de 2007-2010).

L'incertitude marque également les modalités selon lesquelles les systèmes de santé intégreront ces innovations¹.

Les profits issus de la recherche biotechnologie dans le secteur de la santé augmentent eux aussi remarquablement rapidement, malgré un démarrage quelque peu chaotique (qui témoigne des risques commerciaux généralement corrélés à cette recherche). Ernst & Young (2003) estime qu'en 2002, les revenus des compagnies biotechnologiques des Etats-Unis ont augmenté de 15 % pour atteindre 33.6 milliards d'USD et que les dépenses de RD ont grimpé de 31% jusqu'à 21 milliards d'USD. La croissance de la part de marché de l'ingénierie tissulaire, pour ne citer qu'un exemple, devrait passer de 232 millions d'USD en 2000, à plus de 1 milliard d'USD en 2007 (Frost et Sullivan, 2001).

Mais les biotechnologies suscitent bien d'autres questions que celles concernant l'offre de nouveaux médicaments et vaccins et l'ingénierie tissulaire. Des débats animés agitent de nombreux pays membres de l'OCDE à propos de la sécurité, des garanties sociétales et de l'éthique impliquées dans l'utilisation de certaines ces nouvelles technologies. Par exemple, à l'heure actuelle, les probabilités d'utilisation de technologies telles que le clonage reproductif, la thérapie par lignée germinale et le développement de « bébés médicaments » dans un environnement clinique sont extrêmement minces.

De nombreux organismes et agences (internationales et nationales), des professionnels et des patients s'intéressent aux implications des progrès en biotechnologie liée à la santé humaine (voir, par exemple OCDE, 1999 et OCDE, 2000). Ils s'attachent à considérer non seulement les paramètres de sécurité, de société et d'éthique, mais également à créer les conditions d'une innovation à même de produire plus efficacement des résultats cliniques. Par exemple, les ministères en charge de la science des pays de l'OCDE² ont adopté le rapport « Les biotechnologies au service d'une croissance et d'un développement durable » (OCDE, 2004) en janvier 2004 qui identifie la génétique et la biotechnologie comme des moteurs du développement économique et de l'amélioration des résultats médicaux dans leur pays.

Parallèlement au développement des biotechnologies médicales, les processus décisionnels en matières de soins de santé ont été systématiquement perfectionnés. L'analyse structurée de la validité scientifique et de l'impact économique individuel et systémique des nouvelles technologies constitue aujourd'hui une condition normalisée de la préparation des décisions politiques. L'évaluation des technologies médicales (ETM)³ s'efforce de fournir ces informations aux décideurs et leur utilisation se développe.

Cependant, comme l'ont souligné les chapitres précédents, le processus d'ETM lui-même est confronté à de nombreux défis. La valeur des résultats d'ETM semble plus élevée pour certaines techniques, en particulier les produits pharmaceutiques ou l'équipement médical qui remplace une technologie existante, mais l'est moins pour les

-
1. Par exemple, la formation des médecins traitants en génétique suffira-t-elle à répondre à une demande de prescription de médicaments "sur mesure" fondée sur les polymorphismes génétiques des patients, ou à prescrire les tests génétiques permettant de les détecter?
 2. Ainsi que ceux de Chine, d'Israël, de Russie et d'Afrique du Sud.
 3. Dans ce chapitre, l'ETM désigne les évaluations effectuées par des agences d'ETM officielle et celles dérivées d'expertises disponibles, y compris issues d'entités du secteur privé. L'utilisation de mécanismes divers pour évaluer les technologies par les différents pays est reconnue et dans cet article, l'utilisation de "ETM" entend comprendre tout l'éventail de ces mécanismes et institutions.

technologies aux premiers stades de leur développement ou dont l'impact présumé sur les soins de santé et la société semble plus complexe.

Lorsqu'on les envisage dans le contexte des processus de décisions concernant leur utilisation, de nombreuses biotechnologies se révèlent encore plus complexes (par exemple décisions de dotations pour les médicaments orphelins et les produits sur mesure ; comment tenir précocement compte des perspectives pour les parties prenantes), même dans un cadre de politique globale bien défini⁴. Le développement d'un tel cadre retarde souvent sur les progrès effectués en biotechnologie liées à la santé humaine, et les décisions concernant ces technologies ont parfois été prises sans contexte de politique établi dans lequel opérer. Comme il est souligné dans le chapitre 7, lorsqu'il n'existe pas de cadre politique substantiel, certaines décisions sont toutefois prises, même si ce n'est qu'implicitement.

Ainsi, les décideurs sont confrontés à de sérieux enjeux lorsqu'ils leur incombent d'effectuer des choix informés et acceptables visant à une intégration optimale des technologies respectives. Ce chapitre fait valoir qu'en matière de décision politique concernant les biotechnologies innovantes investies d'une grande valeur, les approches actuelles de préparation des décisions politiques dans le domaine de la santé, qui sont axées sur des analyses coût-efficacité, doivent être complétées par d'autres moyens extérieurs au domaine de l'évaluation économique et qui incluent éventuellement les paramètres éthiques sociaux, organisationnels, légaux et macro-économiques. Le développement d'un tel système nécessite une coordination internationale.

Ce chapitre montre également que l'adéquation des outils analytiques d'ETM existants est remise en cause par certaines des caractéristiques des biotechnologies innovantes, et que les approches actuelles de documentation du processus décisionnel devront être consolidées par d'autres moyens incluant des aspects éthiques sociaux, organisationnels et légaux, même, ou peut être surtout, en l'absence de cadres politiques établis.

Ce chapitre évoque quelques caractéristiques de certaines biotechnologies liées à la santé qui soulèvent des problèmes très spécifiques pour les décideurs et les évaluateurs des technologies. Il étudie également les types de décisions que les responsables politiques sont amenés à prendre dans le domaine de la biotechnologie, et les informations requises pour ce faire. Enfin, les insuffisances qui caractérisent aujourd'hui les informations disponibles sont identifiées et quelques outils qui pourraient les réduire sont suggérés. L'analyse conclue à l'intérêt d'une coopération internationale plus fournie qui permettrait le développement d'outils supplémentaires visant à perfectionner le processus décisionnel dans certains domaines biotechnologiques liés à la santé humaine, afin d'améliorer l'utilisation efficiente et efficace de ces innovations importantes et prometteuses.

4. Un cadre politique défini peut être, par exemple, un cadre dans lequel une politique explicite encourage et récompense l'introduction de médicaments innovants et contribue à leur financement en favorisant autant que faire se peut la concurrence sur les marchés des produits non brevetés et génériques. Les politiques de remboursement et d'accès au marché et les décisions spécifiques portant sur les technologies peuvent être incluses dans ce contexte politique global.

Quelles sont les caractéristiques particulières aux biotechnologies médicales?

Maintes particularités des biotechnologies médicales sont comparables à celles des technologies médicales « conventionnelles », et d'autres posent de nouveaux défis, qui sont souvent plus sérieux que ceux engendrés par les autres technologies médicales. Dans une perspective décisionnelle, ils font de certaines biotechnologies liées à la santé humaine un domaine distinct. Les principaux enjeux comprennent les suivants:

Vitesse de développement

Dans de nombreux cas, le développement des technologies liées à la santé humaine s'est considérablement accéléré grâce à l'automatisation, à une meilleure compréhension des données informatiques, et la convergence accrue des technologies (en particulier avec les technologies de l'information). Ces nouvelles biotechnologies ont fréquemment été intégrés dans les systèmes de santé par le biais de la recherche clinique appliquée au lieu de suivre le modèle vertical classique, habituel dans les systèmes de santé plus centralisés et qui est soumis à des contrôles assez stricts sur l'offre et la demande.

Un exemple en est l'application des tests génétiques diagnostiques, que les cliniciens ont souvent utilisé avant la commercialisation effective des produits. La considération formelle d'analyses cliniques et coût-efficacité telles que celles produites par ETM étaient donc très limitée ou absente. La demande émanant des patients pour certains tests s'est rapidement accrue, alors même que l'incertitude substituait sur leur adéquation, l'assurance qualité et leur aptitude prédictive⁵. Comme le montre cependant le chapitre précédent, des décisions doivent être prises, qu'elles soient implicites ou explicites, malgré les lacunes affectant les données probantes de qualité.

Dans d'autres cas, l'allure soutenue des progrès biotechnologiques a provoqué l'élaboration d'une politique pilotée par la technologie, en inversant ainsi le processus habituel. L'utilisation des cellules souches et du clonage thérapeutique en sont des exemples représentatifs. La diffusion de biotechnologies liées à la santé humaine utiles est potentiellement freinée par le retard relatif des réponses issues du débat public. L'absence de décision revient alors à une décision négative.

Risques et retours sur investissement

Le secteur public et le secteur privé ont consenti des investissements très lourds pour accélérer l'élucidation des mécanismes pathologiques, en particulier dans le cadre des projets sur le génome humain et d'autres espèces. Plusieurs applications médicales émergent de ces investissements et de nombreuses autres sont espérées. Les innovateurs sont vivement incités à commercialiser ces applications, tant dans le secteur public, qui cherche à valoriser ses investissements en recherche, que dans le secteur privé, conditionné par le modèle commercial qui prévaut dans les petites et moyennes entreprises à vocation biotechnologique, qui souhaitent assurer un flux de revenus fondés sur les ventes plutôt que sur le seul capital investi.

5. Un bon exemple en est l'introduction des tests BRCA 1 et 2 destinés à détecter une prédisposition au cancer du sein et de l'ovaire héréditaire. Malgré le débat houleux contestant l'adéquation du test et des controverses sur ses bénéfices, il a été introduit sur le marché en 1998 (au Canada), réclamé par les patients et utilisé par les cliniciens.

Dans ce contexte, le calendrier de pénétration sur le marché et d'intégration commerciale est décisif pour la viabilité financière de nombreuses entreprises. Si les décideurs sont inaptes à répondre « oui » ou « peut-être » parce qu'ils ne disposent pas de données analytiques adéquates ou d'un cadre politique bien déterminé, les conséquences se feront lourdement ressentir sur la pérennité des entreprises innovantes et l'élaboration de nouvelles inventions. Un dialogue précoce entre innovateurs et décideurs, comme il est préconisé dans le chapitre 4, peut contribuer à éviter le recours à une décision négative due à une mauvaise compréhension des données et à réduire ainsi le risque sur investissement.

Coûts élevés et efficacité

Les questions de répartition des ressources, communes à la plupart des secteurs du système de santé, peuvent se révéler particulièrement prégnantes dans le cas des biotechnologies médicales qui fournissent des traitements extrêmement efficaces pour quelques rares individus à des coûts très élevés. Elles peuvent être traitées dans le cadre des notions de solidarité par le système d'assurance maladie public, ou soulever des problèmes de sélection dans les régimes d'assurance privée.

C'est le cas de la maladie de Fabry, un trouble métabolique héréditaire qui affecte une personne sur 40 000. Fabryzyme traite très efficacement cette pathologie et revient à environ 200 000 DUS par an et par patient. Les dépenses engendrées par de tels traitements pourraient absorber une part considérable des dépenses de santé dans un système donné quelconque, même si les bénéfices particulièrement spectaculaires pour les malades.

Ce dilemme d'attribution mérite d'être considéré à plusieurs niveaux (souvent concurrents), qui s'échelonnent du niveau du clinicien à celui de la population, puis à celui de la société. Le problème n'est pas réservé aux biotechnologies⁶, et ces produits, en particulier ceux destinés aux maladies orphelines, pourront être introduits plus tôt sur le marché que les produits d'intérêt général, dans des petits segments de marché, qui confient un rôle particulièrement important aux cliniciens dans la prise en charge de la maladie.

Le problème des traitements très efficaces mais onéreux pour ces maladies rares a déjà engendré des conséquences sur la commercialisation pharmaceutiques des médicaments innovants. A l'heure actuelle, on envisage dans certains pays de faire participer financièrement les patients aux études de phases 2 et 3, en cas d'espoir tangible de résultats thérapeutiques valables.

L'adaptation à ces cas des méthodologies normalisées appliquées dans l'évaluation des technologies médicales sera sans doute malaisée, et il n'existe à l'heure actuelle aucun système probant accepté susceptible de faciliter aux décideurs les arbitrages d'attributions appropriées à ces maladies rares (Danzon et Towse, 2002).

Ces problèmes d'attribution seront vraisemblablement exacerbés par l'arrivée attendue des médicaments « sur mesure » issus de la pharmacogénétique, des traitements dotés d'une efficacité présumée supérieure, mais à des coûts plus élevés (en partie parce que la population ciblée par ces traitements est par définition plus restreinte que celle des médicaments « conventionnels » équivalents).

6. Le dilemme d'attribution est peut être plus prononcé ici, tout simplement parce que les biotechnologies sont à l'origine de traitements efficaces pour des maladies rares et graves.

Ces développements confrontent les décideurs à deux enjeux principaux. Premièrement, comment encourager les évaluateurs d'ETM à considérer l'efficacité différentielle des technologies dans des groupes polymorphiques différents, et deuxièmement, déterminer si la méthodologie d'ETM doit évoluer, et comment, pour accorder à certains bénéfices médicaux une valeur proportionnellement plus élevée qu'à d'autres (par exemple, aux enfants atteints de maladies métaboliques rares).

L'avènement des technologies fondées sur la génétique

Les nouvelles biotechnologies liées à la santé impliquent généralement l'obtention d'informations génétiques sur des individus (par exemple, les tests génétiques), le traitement d'anomalies génétiques (par exemple, la thérapie génique), ou bien utilisent des substances génétiquement modifiées pour en tirer des bénéfices médicaux (par exemple, certaines applications de la xénotransplantation).

Les perspectives de ces biotechnologies fondées sur la génétique sont particulièrement encourageantes en termes de bénéfices pour la santé, mais soulèvent également des problèmes particuliers. Par exemple, alors qu'il existe des pratiques bien établies de manipulation des données médicales garantissant le respect de la vie privée et de la sécurité, le contexte est légèrement différents pour les données génétiques car les connaissances acquises sur le patrimoine génétique d'un individu peuvent bénéficier non seulement à l'individu, mais également à ses descendants, sa fratrie et à d'autres membres de la famille. De surcroît, l'information génétique est potentiellement prédictive de maladie, et peut donc dans ce cadre également véhiculer une valeur positive ou négative pour d'autres que le patient individuel. Enfin, la dimension temporelle potentielle qui caractérise la génétique et certaines technologies fondées sur la génétique les différencie nettement des autres technologies liées à la santé.

La structure politique dans laquelle fonctionne le processus décisionnel est également façonnée par les aspects de respect de la vie privée, de sécurité et d'accès. La capacité de prédiction des tests individuels (même s'il subsiste pour certains une incertitude considérable), et l'efficacité des interventions fondées sur la génétique sont des sujets qui concernent directement les décideurs. En outre, l'accroissement des connaissances en génétique peut modifier notre perception de la maladie et engendrer ainsi de nouveaux défis pour les systèmes de soins de santé.

Considérations éthiques et liées à la perception par le public

Certaines techniques biotechnologiques (par exemple le transfert thérapeutique de noyaux, les applications de cellules souches embryonnaires humaines et le dépistage génétique) font l'objet de controverse éthique, et soulèvent des questions liées au concept même de vie. L'utilisation de cellules souches embryonnaires humaines dans les travaux de recherche, qu'elles soient dérivées d'embryons créés à des fins de fécondation in vitro (FIV) puis abandonnés, ou qu'elles soient développées intentionnellement, soulève des questions préoccupantes sur la dignité humaine et le droit à la vie ainsi que sur la liberté de la recherche. D'autres domaines dans lesquels les biotechnologies médicales pourraient bouleverser les valeurs éthiques dans de nombreux pays sont les suivantes:

- Respect du caractère privé et confidentiel des informations génétiques (par exemple l'utilisation des informations génétiques par un tiers).
- Début et fin de la vie (par exemple, utilisation de matériel fœtal et interruption de grossesse).

- Valeur de l'information et utilisation de l'information dans des choix éthiquement difficiles (par exemple, interruption de grossesse, choix du partenaire ou sélection de donneurs tels que les frères et sœurs et test de jeunes atteints de maladies incurables).

Bien entendu, de nombreuses autres technologies et pratiques liées à la santé soulèvent des problèmes éthiques (par exemple, les techniques de fécondation *in vitro*, l'interruption de grossesse). L'importance des perspectives éthiques est illustrée par l'exemple du transfert thérapeutique de noyaux de cellules (clonage thérapeutique). Sur cette question, les positions des différents pays membres de l'OCDE sont très contrastées, bien que la base factuelle soit raisonnablement précise et que les avantages présumés soient similaires dans tous les pays. Néanmoins, les opinions et les conclusions divergent considérablement sur cette question et sont loin de faire l'objet d'un consensus international.

Les profondes différences qui marquent les opinions qui portent sur les biotechnologies liées à la santé humaine s'expliquent partiellement par l'adoption par les pays de positions qui s'appuient sur des principes éthiques distincts, mais relèvent également, d'une décision politique en réaction à une opinion publique perçue. Dans la majorité des cas il est impossible de définir quel est le poids de chacun de ces mécanismes sur les décisions dans le climat politique prévalent.

Sans conteste, la biotechnologie retient l'attention du public avec une force que n'ont jamais eu d'autres technologies médicales. Plusieurs études (Tambor *et al.*, 2003; Priest, 1999) ont montré que l'enthousiasme des profanes à propos des avantages apportés par les technologies biomédicales est tempéré par une perception de ses dangers potentiels, en particulier la crainte qu'elles soient mal employées (c'est le cas, par exemple, du clonage reproductif humain). Le public s'intéresse par exemple davantage aux informations issues des tests génétiques qu'aux autres sources d'informations médicales (Tabor *et al.*, 2002; Jallinoja *et al.*, 1998; Laskey *et al.*, 2003). On peut supposer que cet intérêt s'accroîtra encore davantage avec le développement de nouveaux tests génétiques appliqués aux principales maladies, et leur banalisation.

Toutefois, bien que le public soit très sensible à ces problèmes, sa compréhension des bases scientifiques et des implications et des problèmes économiques est généralement assez restreinte. Ce contraste entre intérêt et compréhension peut se traduire par des aspirations et des angoisses exagérées.

Les décideurs sont donc soumis aux aléas d'un environnement politique particulièrement complexe, dans lequel ils doivent s'engager par des décisions en matière de biotechnologies liées à la santé humaine. Les origines multiples de l'intérêt du public pour ces technologies doivent être sérieusement prises en compte dans l'objectif d'une acceptation large des décisions relatives à leur utilisation par toutes les parties prenantes concernées, en particulier le public. Une appréciation correcte de ce contexte est essentielle pour éviter les cas où l'absence de décision se traduit par une décision négative qui interdirait aux patients l'accès à des technologies prometteuses et à leurs bénéfices potentiels.

Les défis majeurs pour les décideurs

Les perspectives économiques présumées et la nécessité de décisions politiques fiables qui en découle pour aménager un environnement de développement structuré pour ces technologies, associées à un intérêt profond du public, incitent vivement les décideurs à s'engager tant sur des technologies spécifiques que sur des problématiques plus larges qu'elles engendrent, à un stade de plus en plus précoce.

Comme c'est le cas pour d'autres technologies médicales, les méthodes actuelles d'ETM contribuent à préparer les décisions politiques lorsque des critères tels que la validité scientifique et clinique, l'utilité clinique et la rentabilité sont relativement bien définis. En général, moins une décision est dépendante de facteurs étrangers à l'analyse coût-efficacité, plus l'ETM peut se révéler utile.

Toutefois, les caractéristiques des biotechnologies liées à la santé humaine décrites ci-dessus font qu'il est particulièrement difficile de prendre certaines décisions dans le domaine de la biomédecine, car les facteurs à considérer peuvent dépasser les frontières de la validité scientifique et clinique, de l'utilité clinique et de la rentabilité et dépendre bien plus étroitement de paramètres sociétaux (comme l'acceptation du patient ou des principes d'attributions des ressources). Certaines de ces questions peuvent recevoir une réponse dans le cadre de l'ETM⁷ alors que d'autres doivent sans équivoque être prises en compte par une structure politique plus large.

Encadré 8.1. La thérapie génique - une étude de cas de l'impact de l'incertitude sur l'innovation en biotechnologie médicale

Les décisions prises dans le contexte du système de santé ont des implications sur l'investissement en RD public et privé, et les choix de stratégie RD influencent la réalisation des objectifs des systèmes de santé. Le cas de la thérapie génique en est un exemple. Les premiers succès des essais cliniques ont créé une atmosphère féconde et ont suscité de nombreux espoirs dans ce domaine de recherche, avant même l'obtention de résultats décisifs. Toutefois, les essais cliniques ultérieurs ont révélé l'existence de risques inattendus associés à la technologie. Les espoirs prématurés des patients ont été bien souvent déçus, ce qui a engendré une crise de confiance entre investigateurs et patients. De nombreux décideurs ont alors réagi en supprimant les aides aux études de thérapie génique. Les énergies innovantes ont été asphyxiées à un moment critique dans un secteur technologique émergent porteur de perspectives enthousiasmantes. Si l'on s'était efforcé de répondre aux attentes des patients à un stade précoce et d'assurer leur implication dans le processus décisionnel, les conséquences auraient peut-être été plus favorables.

Il est bien entendu de la responsabilité des décideurs d'effectuer des choix bien informés. L'évocation des enjeux suscités par les biotechnologies liées à la santé humaine suggère toutefois que, pour les responsables, les risques de prendre des décisions mal informés sont plus élevés que dans d'autres domaines des technologies médicales. La recherche et le développement qui fondent de nombreux domaines de la biomédecine sont encore relativement immatures et par conséquent particulièrement vulnérables à ces décisions mal documentées. En effet, une décision prise aujourd'hui (même lorsqu'elle se borne à ne rien faire) infléchira les orientations scientifiques de demain et freinera éventuellement les découvertes scientifiques futures (voir encadré 8.1).

7. Voir Figure 1.2 au chapitre 1.

Comme dans d'autres domaines des technologies de la santé, le processus décisionnel procède grossièrement de trois niveaux, le macro-niveau, le méso-niveau et le micro-niveau⁸.

Tous les niveaux de décision ont leur importance, mais les enjeux les plus sérieux pour les décideurs en matière de biotechnologies liées à la santé se situent surtout au macroniveau ; par exemple, les problèmes plus généraux portant sur les programmes de dépistage ou les décisions d'inclure des tests prédictifs dans le système de santé sont souvent traités au niveau national. Dans le même ordre d'idée, les questions de méthodologie d'ETM (par exemple leur corrélation avec les enjeux suscités par la pharmacogénétique ou les médicaments orphelins) peuvent également être prises en charge au macro-niveau.

Développement d'outils et d'approches utiles

Dans de nombreux cas, les problèmes suscités par les technologies liées à la santé, et qu'il faut résoudre pour préparer au mieux le terrain dans le domaine de la biomédecine, se posent également pour d'autres types de technologies. En effet, pour la plupart, ils s'insèrent parfaitement dans le cadre traditionnel de l'ETM et ne bouleversent pas le processus décisionnel. Toutefois, les caractéristiques des technologies biomédicales (par exemple, les technologies investies d'une grande valeur qui retiennent toute l'attention du public), exigent davantage de précautions dans le processus décisionnel.

Il existe de nombreuses techniques de collecte des informations nécessaires à une bonne évaluation préparatoire dans le domaine décisionnel en matière de biotechnologies liée à la santé. Plusieurs d'entre elles sont énumérées ici, dont certaines requièrent un développement méthodologique considérable. Il faudrait également déterminer lesquelles sont les plus efficaces. Ce sous-chapitre examine comment affiner la préparation des décisions, et faciliter ainsi des choix mieux informés sur les biotechnologies liées à la santé.

Questions éthiques, sociales et légales

Les implications éthiques potentielles de la technologie et de son utilisation tant au niveau du système de santé qu'à l'échelle plus large de la société, doivent être élucidées. Chacune d'entre elles doit être envisagée par des structures chargées de l'éthique déjà existantes, telles que celles développées par les comités d'éthique en recherche médicale, les lois sur les droits et les devoirs des citoyens, ainsi que les traités et les déclarations internationales.

Comme c'est le cas de nombreuses autres technologies liées à la santé, les biotechnologies ont parfois des conséquences sociales. Par exemple, certaines d'entre elles sont susceptibles de produire de meilleurs résultats cliniques pour un petit nombre de patients souffrant de maladies invalidantes, mais à un coût très élevé. Face à cette situation, comme dans d'autres également liées aux biotechnologies médicales, la tâche des décideurs serait facilitée s'ils pouvaient se référer à un concept d'équité mieux défini, ainsi qu'à des informations plus fournies sur les compromis entre efficacité et équité qui sont socialement acceptables.

8. Ces niveaux sont détaillés dans le chapitre 1.

Toutes les conséquences éthiques et sociales d'une biotechnologie liée à la santé donnée se répercuteront dans l'opinion publique. C'est pourquoi, une bonne évaluation préparatoire ne se restreindra pas aux faits les plus tangibles (par exemple, les données prouvées scientifiquement), mais accordera également une plus large part aux faits moins palpables dans le processus décisionnel. Ces informations moins palpables pourraient être, par exemple, rassemblées par le biais de conférences à destination des citoyens, d'enquêtes, d'opinions d'experts et de panels.

Ces travaux préparatoires devront systématiquement tenir compte de l'opinion publique et mettre au point une évaluation claire des aspects de la technologie en question susceptibles d'être controversés, incertains ou sans conséquence. Par exemple, ils pourraient s'atteler à la construction de quelques scénarii, dans lesquels les conséquences des diverses options politiques seraient analysées.

Ces technologies et les conséquences de leur utilisation peuvent soulever des questions de légalité et de fiabilité (concernant, par exemple, le caractère privé de l'information). Une évaluation de l'impact de la législation actuelle sur l'utilisation potentielle de ces technologies pourrait faciliter la tâche des décideurs.

Prendre les décisions en temps opportun

Les implications éthiques potentielles d'une technologie soulignent la nécessité d'un travail préparatoire en temps opportun préalable à la prise de décision. Si le travail préparatoire n'est pas exécuté suffisamment tôt, les risques s'accroissent pour les innovateurs et la société. Pour les innovateurs, une information incomplète risque de retarder les décisions ou d'imposer des décisions négatives. Pour la société, le risque est celui d'une mauvaise décision. Par exemple, les décisions peuvent être retardées sans nécessité, une technologie limitée en raison d'une mauvaise perception d'un problème éthique, ou une technologie diffusée alors qu'elle a des implications éthiques.

La nécessité d'une analyse préparatoire en temps opportun pour des technologies porteuses d'implications éthiques suggère qu'il pourrait s'avérer utile de perfectionner les modèles d'évaluation existants.

Diffusion et communication

L'amélioration des techniques de diffusion de l'analyse préparatoire s'impose particulièrement dans le cas des biotechnologies liées à la santé. En effet, les évaluations préparatoires ont pour objectifs d'informer non seulement les décideurs en matière de soins de santé, mais également un ensemble plus large de parties prenantes, car les biotechnologies liées à la santé font souvent l'objet d'une grande vigilance de la part du public. Pour une meilleure implication et une meilleure formation des destinataires concernés sur l'impact éventuel d'une nouvelle technologie, il convient d'encourager la diffusion à destination d'un éventail élargi de parties prenantes, incluant des associations de prestataires cliniques, les médias et des associations de patients.

Les stratégies de diffusion futures pourraient favoriser l'intégration de domaines de connaissances plus larges nécessaires pour étoffer l'information fournie par l'ETM traditionnelle.

De l'évaluation statique à l'évaluation dynamique

Actuellement, l'ETM est souvent menée, en particulier sous l'égide des autorités publiques, au stade de la finalisation de la technologie pour l'application clinique et la commercialisation. Habituellement, l'ETM s'appuie sur des données scientifiques issues d'essais contrôlés randomisés, ou d'autres études scientifiques, dans l'objectif d'évaluer des données qui correspondent à une information sur les coûts et l'efficacité. Par conséquent, ce processus est appliqué vers la fin du cycle de RD, les données probantes sont ensuite appréciées et une décision est prise.

Cette démarche s'inscrit dans une perspective statique du cycle d'innovation et néglige les aspects dynamiques de l'évolution future d'une technologie. Elle peut également se traduire par l'absence de considération accordée à l'impact sociétal d'une technologie avant sa mise en place. L'incertitude ressentie alors par les décideurs peut retarder son utilisation clinique. La perspective statique peut donc se révéler risquée.

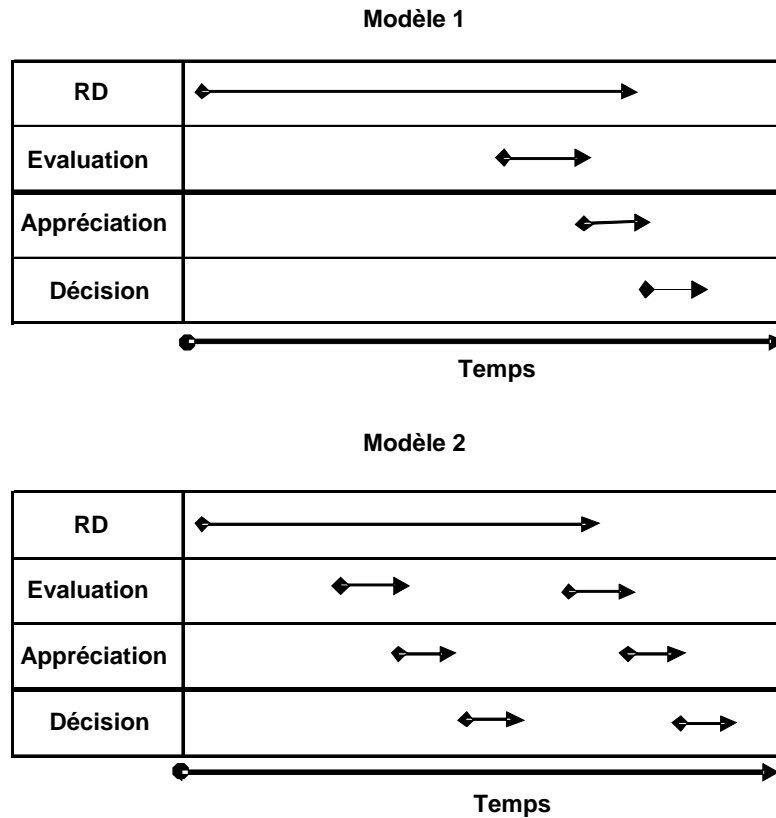
La figure 8.1 présente cette évaluation statique sous la forme du modèle 1. Une méthode d'évaluation, d'appréciation et de prise de décision plus dynamique est définie par le modèle 2. Dans ce cadre, « l'évaluation », réalisée par un innovateur ou un tiers, ou une certaine forme « d'appréciation » est produite à plusieurs reprises au cours du cycle d'innovation et les résultats réintroduits dans la RD. Ce modèle s'applique aussi bien à l'identification précoce des conséquences sociétales quelconques d'une technologie (en évitant ainsi de retarder son lancement) ainsi qu'à l'adaptation d'une innovation post-commercialisation (voir chapitre 7).

Cette démarche semble assez peu développée. Par exemple, dans le domaine des régimes de remboursement public, l'accent est essentiellement mis sur le résultat de la surveillance post-commercialisation (voir chapitre 4), dans l'objectif principal de produire des données de terrain qui permettront aux planificateurs de la santé, aux responsables du financement et aux cliniciens d'évaluer précisément dans quelle mesure les résultats revendiqués par une certaine technologie sont confirmés par les données cliniques à long terme. Ces mécanismes pourraient potentiellement être utilisés comme dispositifs de signalisation à l'usage de la RD. Toutefois, l'expérience d'une telle surveillance dans un contexte de politique publique reste à ce jour limitée.

Des systèmes permettant de présager de l'émergence d'une technologie pourraient améliorer la compréhension de la technologie (et de ses implications potentielles) à un stade très précoce, par le biais, par exemple, d'enquêtes prévisionnelles et de bulletins des technologies émergentes. Des conseils consultatifs prévisionnels ont déjà été créés dans plusieurs pays pour maintenir une veille sur les technologies et leur développement.

Cette question est fondamentale pour de nombreuses technologies liées à la santé, en particulier les biotechnologies. Les petites et moyennes entreprises courantes dans le secteur de la biotechnologie, sont sensibles aux retards de commercialisation.

Figure 8.1. Modèles statique et dynamique d'évaluation



Estimation des bénéfices

Les ETM, et plus spécifiquement l'analyse coût-efficacité, ont également été critiquées sur le choix des méthodes d'estimation des bénéfices apportés par une technologie. Ce point est d'importance cruciale dans plusieurs domaines tels que le dépistage génétique (Col 2003, Giacomini *et al.* 2003, Hall *et al.* 1998). Comme pour tout test diagnostique, le résultat d'un test génétique est une somme d'informations. Les décisions de traitement consécutives, fondées sur les informations fournies par le test, peuvent produire des résultats cliniques additionnels (par exemple, ajouter des années de vie). Toutefois, l'information issue des tests génétiques peut également présenter une valeur (positive et négative) pour le patient et sa famille (par exemple, les rassurer) et peut également influencer les interactions et les relations sociales (par exemple, le choix d'un partenaire pour la reproduction). Si les techniques d'évaluation sont incapables d'intégrer ces notions de bénéfices plus larges, leurs résultats resteront incomplets ou trompeurs (Hall *et al.*, 1998).

Il convient de considérer avec attention les inquiétudes sociétales concernant la justice lors de l'estimation des bénéfices apportés par des biotechnologies liées à la santé. Le coût par traitement peut être très élevé pour certains traitements issus d'une biotechnologie en raison des dépenses importantes de RD et de la petite taille du groupe de patients. Dans le même temps, ces traitements peuvent bénéficier à des patients: 1) gravement atteints; ou 2) qui représentent un groupe de population hautement

prioritaire (par exemple les enfants). Pour toutes ces raisons, la considération de l'équité peut peser lourdement dans l'estimation des bénéfices.

Les préférences sociétales peuvent être incorporées dans l'estimation des bénéfices selon plusieurs modalités (Morone *et al.*, 2003; Nord *et al.*, 1999). Ces approches ont pour objectifs d'intégrer les notions sociétales d'équité dans l'estimation des bénéfices médicaux par le biais, par exemple, d'enquête sur les valeurs et les compromis. On peut ensuite intégrer les mesures dérivées de ces enquêtes dans une estimation plus juste des programmes de santé qui prennent en compte aussi bien l'équité que l'efficacité (Nord *et al.*, 1999).

Considérations à inclure dans le processus décisionnel en matière de biotechnologies liées à la santé.

Si la question se pose de savoir « comment » ajouter de nouveaux éléments lors de la préparation des décisions concernant des biotechnologies spécifiques, elle doit être distincte de la question de savoir à « qui » il incombera de fournir ces informations aux décideurs. En particulier, cette tâche peut-elle être incorporée dans l'ETM ou faudra-t-il utiliser d'autres moyens d'évaluation?

L'un des arguments en faveur de la diversification du processus « d'évaluation » préparatoire préalable à la décision est que, malgré un niveau de compétence élevé dans les domaines économiques et épidémiologiques et d'efficacité en évaluation des technologies, l'expérience fait défaut en dehors de ces spécialités. Il pourrait être plus avantageux de répartir les tâches entre des spécialistes séparés, en exploitant au mieux les compétences des praticiens d'ETM et en recherchant une expertise sur les problèmes éthiques, légaux et sociaux hors de l'ETM.

Il existe cependant quelques exemples d'agences d'ETM qui ont réalisé des appréciations approfondies sur divers aspects sociétaux en utilisant des méthodes participatives (par exemple, entretiens avec des groupes de discussion, processus Delphi et tribunes publiques)⁹. Le nombre de méthodes qualitatives augmente et l'application de l'ETM s'élargit, mais elle n'est pas encore aussi répandue qu'il serait souhaitable. Des méthodes de recherches sur les aspects éthiques sociaux et légaux des nouvelles technologies sont en cours de développement. Selon la structure des processus politiques respectifs, il reviendra aux agences d'ETM ou à d'autres d'utiliser ces outils.

Un autre modèle à suivre par les institutions d'ETM consiste à rechercher et intégrer les expertises d'évaluation de technologie générale lorsque des méthodes participatives spécifiques sont nécessaires. Il existe en Europe un réseau d'institutions d'évaluation des technologies générale (Réseau d'évaluation des technologies parlementaire européen, EPTA).

Toutefois, il reste à savoir si les spécialistes d'ETM sont désireux de supporter ces nouvelles charges, ou s'ils pensent que l'ETM (telle qu'elle est pratiquée dans leur pays) doit se restreindre aux données scientifiques expérimentales. L'option consistant à cantonner à l'ETM à ses compétences sur les questions de validité et d'économie, et à confier l'analyse qualitative moins factuelle à des organismes externes, est défendue par l'argument suivant. Du point de vue du décideur, la transparence, l'impartialité et l'objectivité sont des conditions fondamentales indissociables du fonctionnement actuel

9. Voir, par exemple, le British Columbia Office of Health Technology Assessment (2000).

des sociétés démocratiques. Pour remplir ces conditions, il semble plus sage d'éviter de concentrer toutes les tâches préparatoires dans une seule institution, même si cet organisme se réfère pour ses évaluations à de multiples sources externes, car l'interprétation des faits, des incertitudes et des impacts sociaux ne se référeront qu'aux principes respectés par cette unique agence.

Ceci posé, il reste évident que l'activité d'ETM est elle-même très diversifiée, et que l'implication de l'ETM dans les processus décisionnels se conforme à des modèles différents aussi nombreux que les pays la pratiquant. Il convient donc probablement de laisser au soin du pays individuel ou du décideur en matière de santé de juger comment procéder, sous réserve que tous les aspects de l'évaluation soient couverts, que sa qualité soit garantie, et qu'elle implique une coopération inter-disciplinaire.

Conclusions

On a montré que les caractéristiques collectives des biotechnologies liées à santé compliquaient les méthodes actuelles de décisions, en particulier la vitesse du processus d'innovation, le marché de l'investissement, la relation étroite entre certaines valeurs fondamentales et l'intérêt du public. Ces caractéristiques soulèvent quelques questions supplémentaires lors de la mise en œuvre des travaux préparatoires. Le premier concerne le perfectionnement méthodologique de l'ETM ; toutefois, cette tâche devrait revenir aux organismes d'ETM nationaux et internationaux.

Le second point se rapporte au développement d'outils et de bonnes pratiques en matière de décisions. Des recherches inédites devraient être entreprises au niveau international, visant essentiellement à combler les lacunes qui marquent le processus décisionnel politique dans le domaine des biotechnologies liées à la santé. Le développement de bonnes pratiques et d'outils pourraient suivre le modèle du développement des normes d'ETM.

L'objectif principal de ces travaux serait d'aider les décideurs à prendre de bonnes décisions, quelle que soit la forme actuelle de leur processus d'évaluation des technologies. Le développement et l'analyse des meilleures pratiques et des outils appropriés contribuerait à améliorer l'adéquation de décision spécifique aux objectifs des systèmes de santé individuels, tout en perfectionnant le processus décisionnel lui-même. Cette démarche exige une relation étroite entre toutes les parties prenantes susceptibles de contribuer au développement et à l'utilisation des technologies biomédicales.

Si l'on analyse la sphère internationale dans laquelle fonctionnent les processus décisionnels en biomédecine et au-delà, on s'aperçoit qu'il existe de nombreuses approches différentes pour intégrer le jeu de conditions mentionnées ci-dessus dans les processus décisionnels politiques. Néanmoins, alors que les résultats des processus de mise en œuvre des politiques ont été soumis à des comparaisons internationales (essentiellement légales), les outils et les pratiques employés dans ces processus y ont échappé. Des échanges internationaux multidisciplinaires plus structurés sont envisagés dans une démarche valide et efficace visant à combler ces lacunes. Il paraît hors de question que les pays individuels procèdent par tâtonnement dans ce champ politique sensible.

Plusieurs particularités des biotechnologies liées à la santé caractérisent également d'autres technologies innovantes. Par conséquent, certains résultats des travaux proposés pourront de toute évidence être appliqués, par exemple, à des techniques non biomédicales dont la valeur est reconnue. Les résultats d'une étude menée dans le domaine

de la biomédecine pourront également être valorisés hors du champ des décisions concernant la technologie. Par exemple, les problèmes croissants de financement et d'attribution des ressources qui se posent dans tous les systèmes de santé développés partagent de nombreuses caractéristiques identiques décrites ici. Ils sont livrés à la vigilance du public, ils touchent à des valeurs fondamentales, et, pour diverses raisons, ils ne relèvent d'approches d'ETM traditionnelles axées sur des technologies spécifiques que dans une mesure limitée. Il est donc très vraisemblable que les réponses obtenues par de futures études concernant l'analyse préparatoire adéquate aux pratiques décisionnelles politiques concernant les technologies biomédicales (par exemple directive de prise de décision, meilleures pratiques), puissent également être valorisées à plus large échelle.

L'ensemble des activités définies ci-dessus pourrait être adéquatement mis en œuvre dans le cadre de l'OCDE, qui a déjà réalisé des travaux sur la politique factuelle et la prise de décision dans les systèmes de santé, et sa structure consensuelle pourrait permettre le perfectionnement d'outils. De surcroît, dans le contexte de la pleine expansion de l'internationalisation des industries exploitant les technologies, de la recherche médicale et de la pratique clinique, le développement des meilleures pratiques et d'outils plus performants sera d'autant plus fructueux qu'il s'effectuera au niveau international.

Références

- British Columbia Office of Health Technology Assessment (2000), "Triple-Marker Screening in British Columbia: Current Practice, Future Options". Vancouver, Canada.
- Col, N.F. (2003), "The Use of Gene Test to Detect Hereditary Predisposition to Chronic Disease: Is Cost-Effectiveness Analysis Relevant?" *Medical Decision Making: an International Journal of the Society for Medical Decision Making*, 23(5): 441-448.
- Danzon, P. and A. Towse (2002), "The Economics of Gene Therapy and of Pharmacogenetics, Value in Health", *The Journal of the International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research*, 5(1): 5-13.
- Ernst & Young (2003), "Resilience: America's Biotechnology Report", July.
- Frost and Sullivan (2001), "US Tissue Engineering Market", 26 September.
- Giacomini, M. F. Miller and G. Browman, (2003), "Confronting the 'Gray Zones' of Technology Assessment: Evaluating Genetic Testing Services for Public Insurance Coverage in Canada", *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, 19(2): 301-315.
- Hall, J., R. Viney and M. Haas (1998), "Taking a Count: the Evaluation of Genetic Testing", *Australian and New Zealand Journal of Public Health*, 22(7): 754-758.

- Jallinoja, P., A. Hakonen, A.R. Aro, P. Niemela, M. Hietala, J. Lonnqvist, L. Peltonen, P. Aula (2003), "Attitudes towards Genetic Testing: Analysis of Contradictions", *Social Science and Medicine*, 46(10): 1367-1374.
- Laske, S. Williams, J. Pierre-louis, J. O'riordan, M. Matthews, A. Robin, N (2003). Attitudes of African American Premedical Students Toward Genetic Testing and Screening, *Genetics in Medicine* 5(1): 49-54.
- Morone, J.A. and E. Kilbreth (2003), "Power to the People? Restoring Citizen Participation", *Journal of Health, Policy and Law*, 28(2-3): 271-288.
- Nord, E., J. Pinto, J. Richardson, P. Menzel and P. Ubel (1999), "Incorporating Societal Concerns for Fairness in Numerical Valuations of Health Programs", *Health Economics*, 8: 25-39.
- OCDE (1999), *Xenotransplantation: International Policy Issues*, Proceedings of the joint OECD-New York Academy of Sciences workshop held in New York, March 1998.
- OCDE (2000), *Conférences de l'OCDE – Tests génétiques : les enjeux du nouveau millénaire*, Proceedings from OECD workshop held in Vienna. n° 932000052E1
- OCDE (2004), "Les biotechnologies au service d'une croissance et d'un développement durable".
- Priest, S. (1999), "Popular Beliefs, Media, and Biotechnology", in S. Friedman, S. Dunwoody and C. Rogers (eds), *Communicating Uncertainty: Media Coverage of New and Controversial Science*, pp. 95-112, Lawrence Erlbaum Associates, New Jersey.
- Tambor, E., B. Berhardt, J. Rodgers, N. Hotzman and G. Geller (2002), "Mapping the Human Genome: An Assessment of Media Coverage and Public Reaction", *Genetics in Medicine*, 4(1): 31-36.
- Tollman, P., P. Guy, J. Altshuler, A. Flanagan and M. Steiner (2001), *A Revolution in R&D – How Genomics and Genetics are Transforming the Biopharmaceutical Industry*, Boston Consulting Group, November.

Chapitre 9

CONCLUSIONS

Les innovations médicales ont bouleversé la pratique de la médecine au cours du dernier siècle. Les technologies innovantes peuvent largement contribuer à l'amélioration de la prévention, du diagnostic et du traitement de la maladie, ainsi qu'à l'accès aux soins. Pour autant, l'utilisation des technologies de soins de santé est extrêmement variable selon les pays de l'OCDE, ce qui suggère que les technologies les plus efficaces et les plus efficaces ne sont pas toujours celles qui sont le plus fréquemment utilisées. Favoriser l'intégration des technologies médicales efficaces et efficaces est un enjeu politique majeur pour de nombreux pays de l'OCDE.

Cette étude de l'OCDE, consacrée aux modalités selon lesquelles sont prises les décisions concernant l'intégration et la diffusion des technologies dans les systèmes de santé, visait à démontrer comment le processus décisionnel en matière d'utilisation des technologies pourrait être amélioré dans les systèmes de santé des pays de l'OCDE. Elle a analysé la production des données probantes, principalement sous la forme de l'évaluation des technologies médicales (ETM), et l'utilisation de ces données dans la prise de décision, et tout particulièrement la transition depuis la production et la synthèse des données, vers l'appréciation des données, la prise de décision et l'application de la décision.

Pour de nombreux responsables politiques, l'enjeu consiste à mettre au point des instruments permettant non seulement d'optimiser les niveaux de diffusion ou d'utilisation, mais aussi d'encourager le développement de technologies conformes aux priorités établies. Toutefois, l'intégration efficace de la technologie dans les systèmes de santé est un processus complexe en raison des milliers de décideurs qui influent collectivement sur la diffusion et l'intégration de la technologie. Ce processus est rendu encore plus difficile par le fait que certaines décisions en matière de soins se traduisent directement par des choix déterminant les catégories d'individus qui accèdent aux soins, quand et dans quelles conditions. Ces décisions soulèvent des questions analytiques complexes sur lesquelles se focalise l'attention de l'opinion publique et d'une multitude de groupes organisés.

Cette étude a porté principalement sur les décisions prises en règle générale aux niveaux national, provincial ou hospitalier, souvent appelés macro- et méso-niveaux¹. Les conclusions présentées ici s'appuient sur cinq études de cas consacrées à des technologies spécifiques qui illustrent la production d'ETM, le processus décisionnel et l'application des décisions dans 12 pays de l'OCDE participant à l'enquête. Elles s'inspirent également de données provenant de rapports soumis à l'atelier sur les technologies de la santé qui

1. Les résultats de ce projet tiennent compte des perspectives des décideurs dans le contexte des décisions prises au macro- et au méso-niveaux. Il conviendra d'éviter la généralisation des résultats de l'enquête hors de ces contextes.

s'est tenu à La Haye les 27 et 28 octobre 2003 et des discussions qui ont eu lieu à cette occasion. Ce chapitre présente de façon détaillée les conséquences de cette étude pour l'action des pouvoirs publics et expose quelques-uns des enjeux importants auxquels sont confrontés les décideurs.

Avant d'aborder les conclusions détaillées de l'étude, il convient de rappeler quelques résultats essentiels :

- L'ETM contribue de façon notable à la prise de décision factuelle. Elle doit encore résoudre certains problèmes majeurs posés par la fourniture d'informations pertinentes et en temps opportun, prenant en compte la dynamique de la technologie et du système de santé.
- Les modalités de prise de décision doivent être plus claires et transparentes, et inciter davantage à intégrer les données.
- Une implication plus large des parties prenantes pourrait améliorer l'application des décisions et des mesures, ainsi que la gestion de l'incertitude, tout en permettant l'accès à des technologies sûres, efficaces et efficientes.

Conclusions à tirer sur le plan de l'action

La production de données et l'évaluation des technologies médicales

Une meilleure gestion et une meilleure intégration des technologies médicales exigent des informations précises et accessibles en temps opportun sur leur efficacité et leurs coûts. Sinon, l'intégration et la diffusion des technologies seront vraisemblablement influencées par une série de facteurs sociaux, financiers, professionnels et institutionnels, au risque de ne pas garantir les meilleurs soins possibles. Par conséquent, l'accès à des données probantes et la possibilité de se référer à des stratégies établies dans les cas où les données détaillées font défaut sont des conditions essentielles pour procéder à des choix informés.

Les pays de l'OCDE reconnaissent la nécessité de mettre en place, dans le domaine de la santé, un processus décisionnel reposant davantage sur des données probantes. La production et la diffusion de l'ETM² sont une composante majeure de cette prise de conscience et de nombreux pays ont accru les investissements alloués aux activités liées à l'ETM, en particulier pour développer des méthodologies et recourir davantage aux technologies de l'information pour diffuser les résultats des ETM.

Dans de nombreux pays de l'OCDE, l'ETM joue déjà un rôle prépondérant dans la prise de décision tant dans le secteur public que dans le secteur privé. Ce rôle devrait s'accroître encore à l'avenir. Selon toute vraisemblance, la dynamique de l'innovation médicale, et les progrès scientifiques récents vont accélérer le rythme du développement technologique. Contraints de ne négliger aucune des perspectives ni aucun des enjeux créés par les nouvelles technologies, les décideurs devront avoir accès à des données synthétisées de meilleure qualité. En outre, la tendance actuelle consistant à déléguer les

2. L'ETM considère les impacts plus larges des technologies médicales et implique généralement 1) l'identification des questions de fond, 2) la recherche systématique et l'analyse de données scientifiques, et 3) l'appréciation des données, notamment des jugements sur les preuves. Les données et leur appréciation étayent ensuite le processus décisionnel.

décisions en matière de santé aura pour effet d'accroître le nombre de décideurs devant avoir accès à ces données, et la valeur accordée à l'ETM devrait par conséquent augmenter. D'importants problèmes restent cependant à résoudre si l'on veut que l'ETM joue pleinement son rôle qui est d'optimiser l'utilisation de données concrètes dans le processus décisionnel.

La recherche en évaluation clinique et l'ETM n'absorbent qu'une très faible proportion des dépenses de santé totales. L'instauration, dans le domaine de la pratique médicale et de la politique de la santé, d'une culture privilégiant les données probantes exige des investissements garantis et à long terme permettant le développement de capacités d'analyse et de compétences techniques. La constitution de nouveaux partenariats (entre le gouvernement, l'industrie, les organismes de R-D publics et les organismes d'assurances, par exemple) investissant dans ce type de recherche pourrait permettre de répartir la charge financière de ces efforts.

Il est essentiel de développer la coopération et la communication entre les producteurs, les utilisateurs d'ETM et d'autres parties concernées afin d'entreprendre des évaluations plus approfondies d'une gamme plus large de technologies, de réduire les éventuelles duplications et de s'assurer que les évaluations correspondent aux priorités des décideurs. Ces modèles de coopération doivent aussi tenir compte des capacités de production d'ETM et des institutions au niveau local.

Par ailleurs, la production d'ETM varie considérablement entre les pays et cette constatation n'a rien de surprenant. L'ETM s'est développée dans le contexte des systèmes de santé spécifiques des pays membres de l'OCDE. Les ETM diffèrent tout autant que les systèmes de santé. En effet, l'adaptation de l'ETM aux caractéristiques individuelles d'un système de santé permet de fournir des informations mieux adaptées à la structure décisionnelle de ce système, et facilite l'interaction entre données scientifiques et valeur locales.

Améliorer la sensibilisation aux données probantes et leur utilisation

Il reste beaucoup à accomplir pour optimiser l'utilisation des données et de l'ETM dans le processus décisionnel. Les efforts à cette fin doivent être répartis entre les parties prenantes, notamment les responsables politiques, les décideurs, les innovateurs et les producteurs des données. Par exemple, pour sensibiliser davantage les participants aux résultats d'ETM, une part significative de l'activité d'ETM doit être consacrée à la diffusion des résultats. Même s'il reste nécessaire d'accentuer les travaux de recherche pour développer les meilleures pratiques en matière de techniques de diffusion, certains faits incitent à penser qu'il est plus efficace de recourir à un large éventail de stratégies de diffusion que de s'en remettre à une seule.

Des efforts restent à faire pour faciliter l'utilisation de l'ETM dans le processus décisionnel. Pour répondre à ce défi, les pays de l'OCDE pourraient envisager les pistes suivantes :

- Pour favoriser l'acceptation et l'utilisation appropriée de l'ETM (et plus généralement instaurer une culture de politique de la santé et de pratique médicale fondée sur des données probantes), il conviendra de renforcer les compétences des décideurs en matière d'interprétation et d'analyse des données et de mettre en place une infrastructure de l'information facilitant l'accès aux données.
- L'utilisation de l'ETM peut être améliorée grâce à l'élaboration de processus décisionnels précis, dans lesquels la fonction de l'ETM pourrait être mieux définie.

Des processus plus clairs permettront aux producteurs d'ETM de diffuser plus efficacement leurs résultats.

- L'ETM doit répondre aux besoins des décideurs. Ainsi, l'information devra être disponible en temps opportun, conforme aux priorités de décision, et à même de s'adapter aux dynamiques diverses des différents marchés de technologies et aux différents développements des technologies. Des mises à jour régulières de l'ETM, en fonction des évolutions de la recherche et des innovations technologiques, permettraient de fournir des informations actualisées, bien que dans certains pays de l'OCDE, le montant des ressources actuelles allouées à l'ETM soit insuffisant pour mener cette tâche à bien. Il est tout aussi important d'établir une communication précoce entre producteurs et utilisateurs d'ETM pour délivrer une information de meilleure qualité et plus pertinente.

Méthodes de prise de décision

Il est de plus en plus largement admis que les modalités de la prise de décision jouent un rôle essentiel dans l'acceptation de cette décision par les parties prenantes. Des processus décisionnels transparents, fondés sur des données probantes et qui incorporent un mécanisme de suivi recueillent plus largement le soutien des parties prenantes. Ce soutien est quant à lui crucial pour la bonne mise en œuvre des décisions.

Des décisions qui influent sur l'intégration et la diffusion de la technologie sont prises à tous les niveaux du système de santé ; il s'agit aussi bien des décisions arrêtées au niveau central qui portent sur la couverture que des choix effectués par les patients et les médecins individuels quant au médicament à prescrire. Dans le cadre du système de santé d'un pays membre de l'OCDE, chaque niveau de décision se caractérise par ses forces et faiblesses spécifiques. Par exemple, les décideurs locaux seront sans doute mieux placés pour se prononcer sur l'adéquation d'une technologie aux besoins des patients locaux, mais les décideurs situés à un niveau plus élevé seront mieux à même d'examiner l'efficacité de la coordination et la compatibilité des technologies médicales utilisées dans l'ensemble du système de santé. C'est en s'efforçant de mieux comprendre les forces et les faiblesses des niveaux de décision dans chaque système de santé, et comment ceux-ci répondent aux enjeux inhérents à des technologies spécifiques, que l'on peut parvenir à des décisions plus efficaces.

Application des décisions : facteurs défavorables et favorables et politiques innovantes

L'un des obstacles à l'adoption efficace des technologies tient à l'existence de systèmes de financement cloisonnés en vertu desquels les décideurs sont responsables de leur propre budget et n'ont que rarement l'occasion (ou les motivations suffisantes) d'envisager le système de santé selon une perspective plus large. Dans certains contextes, les décideurs seront même dissuadés d'optimiser les avantages ou l'efficacité sur le plan de la santé car ils ne sont pas en mesure de transférer des ressources entre les budgets. Il est donc nécessaire de mieux comprendre l'impact des incitations à des achats efficaces, et de recenser les méthodes qui mettent en adéquation les incitations avec les données probantes et les priorités sanitaires.

La bonne application des décisions dépend largement de l'utilisation de données de haute qualité et fiables, ainsi que d'une plus grande flexibilité des ressources et d'une aide au financement. Cependant, les outils d'application doivent eux aussi davantage tenir

compte des meilleures données probantes disponibles. Il s'agit notamment de développer ou de mettre en place des moyens d'action qui encouragent les décideurs (dans tous les secteurs du système de santé) à intégrer ces données dans leurs choix, ou qui suppriment les obstacles susceptibles de les en dissuader.

Ces dernières années, de nombreux pays ont renoncé aux contrôles stricts de l'offre en ce qui concerne l'utilisation des technologies pour privilégier l'utilisation optimale des ressources, la mesure et l'obligation de rendre compte. Ainsi, un nombre croissant de pays de l'OCDE recherchent des instruments d'action permettant d'atteindre simultanément plusieurs objectifs des systèmes de santé. Certains de ces instruments innovants prennent en compte désormais la valeur des nouvelles technologies, facilitent l'accès, utilisent plus largement les données probantes dans le processus décisionnel et tiennent compte des incertitudes. Si ces nouveaux mécanismes doivent certes faire l'objet d'une évaluation approfondie, ils offrent des perspectives pour mieux intégrer les nouvelles technologies médicales dans la fourniture des soins.

Plusieurs pays de l'OCDE ont par exemple commencé à introduire des mécanismes de partage des risques qui facilitent l'accès au marché et le financement des remboursements, mais renforcent également la sécurité financière pour les payeurs. Des accords de coûts et de volume entre les pouvoirs publics (payeurs), les groupes professionnels et l'industrie sont des exemples de ce type de mécanismes ; ils sont déjà utilisés sous diverses formes dans un certain nombre de pays.

De même, dans plusieurs pays, les décideurs sont habilités à autoriser l'accès à une technologie (ou son financement) sur une base conditionnelle, ce qui ouvre un accès limité à titre expérimental. L'objectif de l'approbation conditionnelle est de poursuivre la collecte des informations sur la technologie pour éclaircir des incertitudes fondamentales. Elle peut simultanément réduire les nombreux risques associés à la diffusion élargie d'une technologie de valeur incertaine. Ces politiques reconnaissent également la dynamique de l'innovation médicale et intègrent parfois des processus de retour de l'information à l'usage des innovateurs, fondés sur une évaluation permanente de la technologie en question, de manière à éviter ainsi des délais coûteux de commercialisation des technologies.

Toutefois, pour que l'utilisation de l'approbation conditionnelle donne de bons résultats il faut poursuivre la collecte des données, ce qui exige non seulement des ressources, mais aussi l'engagement des parties prenantes à s'accorder sur un protocole de collecte d'un ensemble minimal de données qui fournira des informations supplémentaires concernant les principaux critères de prise de décision. De surcroît, les décideurs doivent être en mesure de réévaluer leurs décisions, pas seulement en théorie, mais aussi en pratique. Toutes les parties prenantes devront donc accepter un processus et s'engager quant au résultat final de la décision.

Enjeux pour l'ETM et le processus décisionnel

Tout au long de cette analyse, de nombreux enjeux ont été recensés dans le domaine du processus décisionnel et de l'ETM. Cette dernière section présente quelques-uns de ces enjeux actuels et trace quelques pistes possibles pour la poursuite de l'action publique et des travaux de recherche.

Cadre pour l'analyse de l'impact de l'ETM

Si l'on augmente l'investissement accordé à la production et à la diffusion des données probantes vers un éventail de décideurs plus large, il est important de s'assurer de l'efficacité et de l'efficience de ces processus. A cette fin, il faut mettre en place un cadre plus cohérent pour analyser la contribution apportée par l'ETM à la formulation de choix rationnels, notamment des indicateurs permettant d'établir comment l'ETM a influé sur :

- Les décisions en matière de soins de santé.
- L'utilisation et la diffusion des technologies en conformité avec les données probantes.
- Les résultats cliniques, l'accès et l'efficience.

Un cadre d'analyse offrirait de meilleures chances de développement de bonnes pratiques dans la production d'ETM et encouragerait l'utilisation d'ETM dans le processus décisionnel. Si ce cadre était approuvé et mis en œuvre au niveau international, il serait alors plus facile de comprendre l'impact des caractéristiques des systèmes de santé (par exemple, des mécanismes de paiement) et d'élaborer des meilleures pratiques pour l'application et l'utilisation de l'ETM, tant dans le domaine des soins de santé que dans les processus décisionnels politiques, à partir d'un éventail d'expériences plus large.

Enjeux pour l'évaluation économique dans le processus décisionnel

L'évaluation économique, qui fait souvent partie intégrante de l'ETM, se heurte elle aussi à un certain nombre de problèmes. L'un d'entre eux est lié au fait qu'il est pratiquement impossible de transférer les études d'évaluation d'un environnement à l'autre ; c'est là en réalité la principale raison pour laquelle les évaluations économiques sont rarement utilisées dans les décisions prises au niveau local. Les variables prises en compte dans une évaluation économique peuvent différer de celles existant dans le contexte local du décideur. La recherche empirique a montré que les modalités de présentation de la plupart des évaluations économiques permettent difficilement aux décideurs locaux d'apprécier si l'étude est pertinente ou non dans l'environnement local.

Les approches actuelles adoptées dans les travaux sur les services de santé permettent rarement aux décideurs de déterminer quels sous-groupes d'une étude pourraient bénéficier le plus d'un acte. Cette lacune est souvent inhérente à la conception de l'étude, qui vise surtout à mesurer l'effet de l'acte sur une population « moyenne ». Alors même que ce sont les populations les plus défavorisées qui peuvent souvent bénéficier le plus des dépenses de santé, les normes actuelles en recherche technologique ne permettent pas aux décideurs de disposer des données suffisantes pour mener des politiques susceptibles d'aboutir à des résultats plus équitables et plus efficaces sur le plan de la santé. Cette question prend toute son ampleur dans le contexte des produits issus de la pharmacogénomique.

Selon toute vraisemblance, les préférences des patients joueront un rôle croissant lors de la détermination de la valeur des nouvelles technologies. Par exemple, les patients pourront préférer une technique à une autre, même si les résultats attendus sur le plan de la santé sont identiques. On pourrait utiliser des mesures des préférences des patients parallèlement à des mesures des résultats cliniques et de la qualité de la vie, mais il faudra auparavant que les utilisateurs et les producteurs d'ETM comprennent et définissent

mieux les méthodologies, notamment les mesures des préférences des patients. L'autre problème qui se pose alors est d'intégrer efficacement ces informations dans la décision.

Les réponses à ces questions exigent de nouveaux développements méthodologiques dans la réalisation et la présentation des évaluations économiques. Des avancées dans ce domaine permettront aux décideurs d'évaluer la pertinence des études économiques eu égard au contexte local, notamment la possibilité d'appliquer l'étude aux besoins et aux paramètres d'une population locale donnée. L'un des moyens de progresser serait d'élaborer des normes arrêtées d'un commun accord pour la présentation (voire la réalisation) des évaluations économiques. Toutefois, se mettre d'accord sur des normes n'est pas chose aisée et il faut s'attendre à ce que leur élaboration soit une source de débats contradictoires. En outre, quelles qu'elles soient, ces normes devront permettre de s'adapter à la dynamique des changements méthodologiques.

Meilleure articulation entre l'évaluation et l'appréciation

Il est nécessaire de distinguer l'évaluation (l'analyse objective de l'impact d'une technologie) et l'appréciation (l'interprétation de l'analyse objective). Les activités d'évaluation et d'appréciation sont d'égale importance dans l'élaboration de décisions acceptables pour la société et conformes aux données probantes. Il subsistera cependant un décalage inévitable entre les jugements de valeur et l'analyse objective. Des organismes tels que National Institute for Clinical Excellence (NICE) au Royaume Uni ont résolu ce problème et ont intégré des normes intéressantes dans leur processus d'appréciation qui s'appuient sur des valeurs scientifiques et sociales.

L'ETM peut fournir des informations d'une grande diversité qui vont d'éléments très techniques comme l'efficacité et la rentabilité, jusqu'à des analyses de l'équité, de l'impact social, éthique et organisationnel des technologies. Toutefois, ces derniers aspects ne sont pas toujours intégrés dans les ETM et sont en fait parfois délibérément écartés par les organismes d'évaluation qui considèrent qu'ils ne relèvent ni de leur rôle ni de leur compétence. De surcroît, de nombreux responsables politiques peuvent n'être guère désireux d'accepter ce type d'analyse moins scientifique provenant de la source même qui leur fournit des analyses techniques, car cela leur évite d'être soumis à l'influence excessive d'une seule et même source. En effet, selon certains, même la fourniture d'informations de nature très technique est influencée par une gamme limitée de perspectives (par exemple celles du domaine de la santé publique plutôt que celles des innovateurs), et les dispositifs de contrôle par des analyses complémentaires constituent par conséquent un élément nécessaire du système. De ce fait, la question de savoir comment et où, au cours du processus qui va de l'évaluation à la décision en passant par l'appréciation, l'ensemble des perspectives sur la nouvelle technologie devait entrer en jeu, reste ouverte, et la réponse variera selon les systèmes de santé considérés.

Innovations complexes dans le domaine des biotechnologies liées à la santé

Des innovations complexes, comme celles que l'on rencontre souvent dans le domaine des biotechnologies liées à la santé humaine, peuvent non seulement offrir de nouvelles opportunités d'aboutir à de meilleurs résultats cliniques, mais aussi remettre en cause les techniques d'évaluation et le processus décisionnel actuels. Par exemple, quels sont les inconvénients d'un test génétique qui influe sur l'assurabilité de la personne ou ceux des hypothèses implicites sur la valeur de l'allongement de la vie chez les personnes âgées ? Quelle valeur accorde la société à des technologies éventuellement très efficaces,

mais ne concernant qu'un groupe très restreint de patients et qui sont par conséquent très onéreuses ?

Les décideurs auront de plus en plus besoin de données sur tous les aspects des innovations médicales, non seulement les effets cliniques et économiques, mais aussi les caractéristiques éthiques, sociales et macro-économiques, dès lors que de nouvelles biotechnologies liées à la santé arrivent sur le marché. L'ETM peut-elle et doit-elle adapter ses méthodologies pour tenir compte de ces questions, ou bien ces données doivent-elles provenir d'autres sources?

Pour mieux comprendre comment les responsables politiques utilisent les divers outils et données à leur disposition, il faudra réaliser davantage d'études empiriques visant à bien cerner le processus décisionnel. Toutefois, les décideurs se trouvent souvent dans l'impossibilité de préciser clairement leurs valeurs et leurs objectifs finals. Par exemple, des politiciens qui exposent leur souhait d'autoriser des inégalités entre individus afin d'élever le niveau de bien-être général n'en retireront aucun soutien public. Il faut donc analyser divers cadres d'action possibles pour traiter ces questions, notamment la mise au point d'outils destinés à transmettre les informations pertinentes aux décideurs. L'absence de structure de ce type a pour effet d'accroître l'incertitude pour les innovateurs. La mise en place d'un cadre d'action pourrait non seulement aider les décideurs à optimiser les avantages des biotechnologies dans les systèmes de santé, mais aussi réduire les risques pour les innovateurs. De plus, les enseignements tirés d'un tel exercice pourraient s'appliquer à des technologies présentant des caractéristiques complexes similaires.

Les progrès biomédicaux ont fortement mis en relief la nécessité de renforcer le débat sur les bonnes questions à poser en matière de biotechnologies, et sur les mécanismes appropriés - techniques et politiques- à utiliser pour y répondre ; cette situation souligne à son tour la nécessité d'efforts de formation et de développement mieux appropriés à l'intention des évaluateurs et des décideurs. Il n'en demeure pas moins qu'il faudra également resserrer les liens entre les valeurs sociétales, les innovateurs en technologies et les évaluateurs.

De l'ETM et du processus décisionnel à l'innovation

Au cours du siècle dernier, les technologies médicales ont nettement contribué à l'amélioration des résultats cliniques. Les progrès de la science fondamentale, en particulier les sciences de la vie, laissent envisager des technologies encore plus efficaces dans le domaine de la fourniture des soins, et contribuent également à la croissance économique.

Les nouvelles innovations sont dans une large mesure déterminées par la demande émanant des acheteurs. Les pays de l'OCDE sont de plus en plus nombreux à reconnaître la dynamique de l'innovation médicale et prennent désormais en compte le rôle du système de santé en tant que moteur de l'innovation. Dans certains cas, les dispositifs en place tiennent plus explicitement compte des signaux renvoyés par les utilisateurs au secteur de la R-D, qui mettent souvent en évidence des défaillances dans les domaines de l'efficacité, de la sécurité et de la simplicité de fonctionnement, mais s'intéressent moins à l'exigence de rentabilité.

Il est difficile d'établir si ces signaux correspondent véritablement à la valeur accordée à la nouvelle innovation, ou s'ils sont faussés par diverses actions publiques et privées³. Autrement dit, les actions collectives des décideurs du domaine de la santé, de même que les actions des responsables publics, sont porteuses de signaux pour les innovateurs. Ces signaux ne fournissent cependant pas toujours les indicateurs les plus appropriés et cohérents pour le développement de technologies dans les domaines où l'on en a grand besoin.

En principe, définir les domaines prioritaires en termes de soins de santé pourrait contribuer à assurer une meilleure adéquation entre l'innovation et les besoins sanitaires de la société. Or, on ne dispose que d'informations très limitées sur les mesures pratiques prises par les pays de l'OCDE pour favoriser cette adéquation.

Il ressort de l'analyse présentée dans ce rapport que de nombreux pays de l'OCDE utilisent les ETM pour communiquer des informations aux responsables politiques et aux décideurs et leur permettent ainsi d'effectuer des choix mieux informés. Il reste cependant de nombreux problèmes à résoudre pour créer l'environnement institutionnel qui définit les conditions requises pour mettre à la disposition des patients qui en ont véritablement besoin, et au moment opportun, les technologies les plus efficaces et les plus efficaces. Il reste encore des problèmes à résoudre pour favoriser une meilleure convergence entre les priorités sanitaires et l'innovation.

3. L'ETM peut jouer un rôle en mettant en évidence des zones d'incertitudes, en suggérant des domaines dans lesquels il conviendrait de poursuivre la recherche, et en définissant les secteurs dans lesquels il pourrait être nécessaire d'améliorer, par exemple, la rentabilité de la technologie.

Annexe 1

PARTICIPANTS AUX REUNIONS D'EXPERTS SUR LES TECHNOLOGIES LIÉES A LA SANTE

Mme Christiane AVELINE, Délégation permanente de la France auprès de l'OCDE
M. Armando ALBERT, Centre d'information et de documentation scientifique, Espagne
M. José AMATE BLANCO, Agencia de Evaluacion de Tecnologias Sanitarias, Espagne
M. Heinz BADER, Novartis Pharma AG, Suisse
Mme Alena BLAZKOVA, Ministère de l'Education de la Jeunesse et des Sports, République Tchèque
Mme Rosemary BOOTHMAN, Ministère de la santé et des enfants, Irlande
M. Bengt BRORSSON, Conseil suédois sur l'évaluation des technologies en soins de santé (SBU)
Mme Helena BRUS, Merck & Co. Inc., Etats-Unis d'Amérique
Mme Milagros CASALS ARQUIMBAU, Délégation permanente de l'Espagne auprès de l'OCDE
Mme Aline CHABLOZ, Délégation permanente de la Suisse auprès de l'OCDE
M. Damian COBURN, Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie
Mme Jane COOK, Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie
Mme Agnes CZIMBALMOS, Institut national de la promotion de la santé, Hongrie
M. Andrew DILLON, National Institute for Clinical Excellence, Royaume-Uni
M. Luis DURAN, Institut mexicain de la sécurité sociale
M. Ralf EKEBOM, Ministère de la santé et des services sociaux, Finlande
Mme Anne-Florence FAY, CREDIT, France
Mme Laurence FORT, MEDTRONIC Europe, Suisse
M. Paal FRISVOLD, SPRL, Belgique
Mme Maria GALLI, Istituto Superiore di Sanita, Italie
M. Felix GURTNER, Département fédéral de l'intérieur, Suisse
M. Esko HÄNNINEN, STAKES - Recherche et développement national, Finlande
M. Ingo HÄRTEL, Ministère fédéral de la santé, Allemagne
M. Jan-Willem HARTGERINK, Ministère de la santé, du bien-être et des sports, Pays-Bas
M. Kwang-Lae HOE, Institut de recherche en bioscience et en biotechnologie, Corée
Mme Leena HOMMO, Ministère du commerce et de l'industrie, Finlande
Mme Melissa HORWITZ, Délégation permanente des Etats-Unis d'Amérique auprès l'OCDE
M. Jeroen HULLEMAN, Ministère de la santé, du bien-être et des sports, Pays-Bas
M. Yuichi IMANAKA, Direction des hautes études universitaires de médecine de Kyoto, Japon
M. Phil JACKSON, Ministère de la santé et des soins de longue durée, Canada
Mme Anne JANIN, CHU St. Louis, France
Mme Christine JESTIN, Ministère de la santé, France
M. Richard JOHNSON, Arnold & Porter, Etats-Unis d'Amérique
Mme Susanna JONAS, Académie des sciences autrichienne, Autriche

M. Thomas KOCH, Délégation permanente de la Suisse auprès l'OCDE
M. Masato KUMAKI, Délégation permanente du Japon auprès l'OCDE
Mme Aline LAUTENBERG, EUCOMED, Belgique
Mme Diane LUGSDIN, Santé Canada
M. Zoltán MARCSEK, Centre national de santé publique József Fodor, Hongrie
M. Lars-Åke MARKÉ, Conseil suédois sur l'évaluation des technologies
M. Pascal MEEUS, Organisation des établissements de soins, Belgique
Mme Teresa MORALES, Ministerio de Sanidad y Consumo, Espagne
M. Juan Carlos MORENO, Délégation permanente du Mexique auprès l'OCDE
Mme Berit MØRLAND, Centre norvégien pour l'évaluation des technologies médicales
Mme Lyndsay MOUNTFORD, Commission Européenne
M. Richard MURRAY, Ministère de la santé, Royaume-Uni
M. Akio NISHIMURA, Institut national de santé publique, Japon
M. Machel E.M. NUYTEN, Confédération de l'industrie et des employeurs des Pays-Bas, VNO-NCW
Mme Marie-Odile OTT, Direction de la technologie, Ministère de la recherche, France
M. Matti OIVUKKAMAKI, Ministère du commerce et de l'industrie, Finlande
Prof. José Luis PINTO, Université Pompeu Fabra de Barcelone, Espagne
Mme Nathalie POUTIGNAT, Agence nationale d'accréditation d'évaluation en santé, France
Mme Nicole PRIMMER, Comité consultatif économique et industriel auprès de l'OCDE (BIAC)
M. Alexandre QUINTANILHA, Université de Porto, Portugal
M. Luca Alessandro REMOTTI, Fondation FORMIT, Italie
M. Luc RIFFLET, Délégation permanente de la France auprès de l'OCDE
M. John ROBINSON, Délégation permanente des Etats-Unis d'Amérique auprès de l'OCDE
Mme Hanni ROSENBAUM, Comité consultatif économique et industriel auprès de l'OCDE (BIAC)
M. Manuel RUIZ DE CHAVEZ GUERRERO, Fundacion Mexicana para la Salud (Fondation mexicaine de la santé)
M. Alric RUTHER, Agence allemande pour l'évaluation des technologies
Mme Jill SANDERS, Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé (OCCETS)
M. Markus SIEBERT, EUCOMED, Belgique
M. Alain SOMMER, USINOR INDUSTRIEEL, France
M. Keiji TAKEBAYASHI, Délégation permanente du Japon auprès de l'OCDE
Mme Tania TESCHKE, Délégation permanente des Etats-Unis d'Amérique auprès de l'OCDE
Mme Bernie TOWLER, Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie
Mme Adriana VELAZQUEZ-BERUMEN, Ministère de la santé, Mexique
M. Carl VINCENT, Ministère de la santé, Royaume-Uni
Mme Salome VON GREYERZ, Office fédéral des assurances sociales, Suisse

Annexe 2

« SAISIR LES OPPORTUNITÉS ET REpondre AUX ENJEUX DES TECHNOLOGIES MEDICALES NOUVELLES ET EMERGENTES » PROGRAMME DE L'ATELIER

La Haye, Pays-Bas
Lundi, 27 octobre 2003

Allocution de bienvenue : Roel Bekker, Secrétaire Général, Ministère de la santé, du bien-être et des sports, Pays-Bas

Objectifs de l'atelier : Iain Gillespie, Chef de l'Unité de biotechnologie, OCDE

Session 1. Evaluation des technologies médicales et prise de décision : l'état des connaissances

Président Berit Morland, Centre norvégien pour l'évaluation des technologies médicales, Norvège

Présentateurs Finn Borlum Kristensen, Centre danois pour l'évaluation et l'ETM, Danemark
Pascale Lehoux, Université de Montréal, Canada

Session 2. L'infrastructure décisionnelle en technologies de la santé

Président Andrew Dillon, National Institute for Clinical Excellence, Royaume-Uni

Présentateurs Egon Jonsson, OMS Bureau régional de l'Europe, Danemark
Kees van Gool, Unité de biotechnologie, OCDE

Panel Egon Jonsson, OMS Bureau régional de l'Europe, Danemark
Akio Nishimura, Institut national de la santé publique, Japon
Frans Rutten, Institut pour l'évaluation des technologies médicales, Pays-Bas

Session 3. Traduire les données probantes en politique et la politique en pratique

Président Jill Sanders, Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé, Canada

Présentateurs Andrew Dillon, National Institute for Clinical Excellence, Royaume-Uni
Albert Boer, Bureau d'assurance des soins collégial, Pays-Bas
Kees van Gool, Unité de biotechnologie, OCDE

Panel Andrew Dillon, National Institute for Clinical Excellence, Royaume-Uni
Alric Ruther, Agence allemande pour l'évaluation des technologies médicales, Allemagne
Albert Boer, Bureau d'assurance des soins collégial, Pays-Bas
Bengt Brorsson, Conseil suédois sur l'évaluation des technologies en soins de santé, Suède

Session 4 (Partie 1). Enjeux à grande échelle de l'ETM et de la politique

- Président* Gabriël Ten Velden, Conseil de la santé, Pays-Bas
- Présentateurs* Luis Duran, Institut mexicain de la sécurité sociale, Mexique
John Bridges, Université Case Western Reserve, Etats-Unis d'Amérique
Kees van Gool, Unité de biotechnologie, OCDE
- Panel* Luis Duran, Institut mexicain de sécurité sociale, Mexique
Ingo Haertel, Ministère fédéral de la santé, Allemagne
Damian Coburn, Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie
John Bridges, Université Case Western Reserve, Etats-Unis d'Amérique

Mardi 28 octobre 2003

Session 4 (Partie 2). Enjeux à grande échelle de l'ETM et de la politique

- Président* Luis Duran, Institut mexicain de la sécurité sociale, Mexique
- Présentateurs* Ingo Haertel, Ministère fédéral de la santé, Allemagne
Damian Coburn, Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie
- Panel* Gabriël Ten Velden, Conseil de la santé, Pays-Bas
Ingo Haertel, Ministère fédéral de la santé, Allemagne
Damian Coburn, Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie

Session 5. Produits pharmaceutiques : processus décisionnel et évaluation

- Président* Damian Coburn, Ministère de la santé et des soins aux personnes âgées, Australie
- Présentateurs* Frans Rutten, Institut pour l'évaluation des technologies médicales, Pays-Bas
Jill Sanders, Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé, Canada
Albert Wertheimer, Centre for Pharmaceutical Health Services Research, Etats-Unis d'Amérique
Claus Moldrup, Université danoise des sciences pharmaceutiques, Danemark
- Panel* Frans Rutten Institut pour l'évaluation des technologies médicales, Pays-Bas
Jill Sanders, Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé, Canada,
Claus Moldrup, Université danoise des sciences pharmaceutiques, Danemark
Albert Wertheimer, Centre for Pharmaceutical Health Services Research, Etats-Unis d'Amérique

Session 6. Conclusions de l'atelier

- Président* Iain Gillespie, Chef de l'Unité de biotechnologie, OCDE
- Rapporteur* John Gabbay, Wessex Institute for Health Research and Development, Royaume-Uni

Annexe 3

RESUME DES QUESTIONS DE L'ENQUETE

Pour chacune des cinq technologies faisant l'objet d'une étude de cas, les participants dans les pays de l'enquête ont été priés de répondre aux questions suivantes :

Partie A : Système de soins de santé et technologies : le contexte

- A quel niveau du système de santé est introduite la technologie ?
- Comment les patients accèdent-ils à la technologie ?
- Quels sont les mécanismes politiques mis en place pour gérer la diffusion et l'utilisation de la technologie ?
- Quels sont les mécanismes de paiement des prestataires relatifs à l'utilisation de la technologie mis en place ?
- Comment a été ou est financée la technologie ?
- Calendrier des événements significatifs de l'évaluation et de la prise de décision pour la technologie.

Partie B : Evaluation des technologies médicales et données probantes sur la technologie

- Une ETM a-t-elle été réalisée dans votre pays pour cette technologie ?
- Combien de temps a duré l'ETM et quelles en ont été les coûts ?
- Quelles informations contenait l'ETM et qu'elle était la source de ces informations ?
- Les préférences des patients étaient-elles incluses ?
- Quelles étaient les recommandations principales de l'ETM ?
- L'ETM a-t-elle confirmé ou infirmé les hypothèses antérieures ?
- Quel était le rôle envisagé de l'ETM et quelles étaient les raisons de la mener ?
- Qui a mené et financé l'ETM ?
- Quel a été le public principal et comment l'ETM a-t-elle été diffusée ?
- Plusieurs ETM ont-elles été entreprises dans votre pays sur cette technologie ?
- Quels sont les enjeux les plus importants de l'ETM dans votre pays ?

Partie C : Comment a été prise la décision d'intégrer ou non la technologie dans le système de soins de santé ?

- A quel niveau a été prise la décision ?
- Qu'est-ce qui a motivé la nécessité d'une décision ?
- Quelles décisions peuvent prendre les décideurs et quelles décisions ont-ils choisies ?
- Qui a été impliqué dans le processus décisionnel et qui a pris la décision ?
- Le processus remplissait-il les quatre conditions de prise de décision « raisonnable » ?
- Les décisions ont-elles été acceptées par les parties concernées ?
- L'ETM était-elle une exigence formelle du processus décisionnel ?
- Une ETM étrangère ou nationale était-elle disponible et a-t-elle été utilisée dans la décision ?
- Si l'ETM a été réalisée à l'étranger, y-a-t-il eu tentative de placer les résultats dans un contexte national ou local ?
- Quelle importance a-t-on accordée à des types spécifiques de données dans la décision ?
- L'ETM était-elle adaptée aux besoins des décideurs ? Quels moyens auraient permis de rendre l'ETM plus utile au processus décisionnel ?
- L'ETM a-t-elle comblé, dépassé, ou déçu vos attentes ?

Partie D : Application de la décision

- Comment la décision s'est-elle traduite en politique ?
- Comment la décision s'est-elle traduite dans la pratique ?
- Y-a-t-il eu des évaluations concernant l'efficacité des mécanismes destinés à influencer l'intégration de la technologie par l'intermédiaire des prestataires ou des citoyens/patients ?
- Quelles caractéristiques du système de santé contribuent à la transposition de la politique en pratique ?
- Quels facteurs sont considérés comme des obstacles principaux du système de santé à la transposition de la politique en pratique ?
- Dans le cas où la décision devait être appliquée, a-t-elle été soutenue par un nouveau financement ?

Partie E : Résultats

- Quels étaient, le cas échéant, les moyens de contrôle permettant de déterminer si les recommandations avaient été appliquées ?
- Veuillez détailler, en particulier par des références, les données existantes, quel qu'elles soient, sur les mesures suivantes :
 - Quelle a été la variation entre la pratique réelle et la pratique recommandée au cours du temps ?
 - Quelle a été la pratique avant et après la décision (surveillance post-décision) au cours du temps ?
 - Quel est le niveau de diffusion de la technologie (et la vitesse de diffusion) au cours du temps ?
 - Y-a-t-il eu une modification des résultats cliniques au cours du temps ?
- Le système de santé collecte-t-il des données sur les quatre mesures indiquées ci-dessus ?

LES ÉDITIONS DE L'OCDE, 2, rue André-Pascal, 75775 PARIS CEDEX 16
IMPRIMÉ EN FRANCE
(92 2005 02 2 P) ISBN 92-64-10838-6 - n° 52682 2005

Le projet de l'OCDE sur la santé

Technologies de la santé et prise de décision

Les technologies de la santé offrent d'immenses perspectives : elles ont le pouvoir de modifier notre compréhension de la maladie, de transformer les prestations de services de santé, et d'améliorer les résultats dans ce domaine. Mais le recours à ces technologies a un prix. Les décisions qui gouvernent leur achat et leur utilisation doivent être fondées sur des observations solides permettant d'apprécier leur impact sur les soins et sur les résultats en matière de santé.

Les pays de l'OCDE sont confrontés à une difficulté dans ce domaine : leurs décisions doivent s'appuyer sur les meilleurs éléments d'appréciation disponibles. Si de nombreux pays ont investi dans les outils d'évaluation des technologies de la santé, on dispose de peu de données sur leur rôle dans la prise de décision.

Cet ouvrage analyse les facteurs qui entravent ou au contraire facilitent la prise de décision fondée sur des données d'observation dans les systèmes de santé des pays de l'OCDE. L'ouvrage étudie comment les pays peuvent maîtriser les opportunités et les défis associés aux technologies dans le domaine de la santé. Il s'agit notamment d'optimiser la prise de décision, de reconnaître la valeur de l'innovation, de gérer l'incertitude, ou encore de promouvoir et de coordonner l'évaluation de ces technologies. Enfin, cette publication examine également la capacité des systèmes de santé à faire face aux défis particuliers que pose l'envolée des biotechnologies dans le domaine de la santé.

Voir le site de l'OCDE sur la santé : www.oecd.org/sante.

Voir également le site de l'OCDE sur la biotechnologie : www.oecd.org/biotechnologie.

Le texte complet de cet ouvrage est disponible en ligne aux adresses suivantes :

<http://www.sourceocde.org/scienceTI/9264108386>

<http://www.sourceocde.org/questionssociales/9264108386>

Les utilisateurs ayant accès à tous les ouvrages en ligne de l'OCDE peuvent également y accéder via :

<http://www.sourceocde.org/9264108386>

SourceOCDE est une bibliothèque en ligne qui a reçu plusieurs récompenses. Elle contient les livres, périodiques et bases de données statistiques de l'OCDE. Pour plus d'informations sur ce service ou pour obtenir un accès temporaire gratuit, veuillez contacter votre bibliothécaire ou SourceOECD@oecd.org.

www.oecd.org/sante
www.oecd.org/biotechnologie



ÉDITIONS OCDE

ISBN 92-64-10838-6
92 2005 02 2 P

