

Le calcul économique en santé

Ce cours vous est proposé par Jérôme Wittwer, Professeur des universités en économie, Université de Bordeaux, et AUNEGe, l'Université Numérique en Économie Gestion.

Table des matières

Préambule	2
Le calcul économique public	2
Le calcul économique en santé	3
Mesurer la qualité de vie associée aux états de santé	5
Les instruments de mesure de la qualité de vie liée à la santé	5
Le scoring en utilité des états de santé	8
Évaluation en Qalys des bénéfices en santé et ratio coût-utilité	12
Quelques questions en suspens	14
Qaly versus Daly	14
Quelle valeur pour la disposition collective à payer un Qaly ?	15
Se référer à la valeur statistique de la vie humaine (VSL)	16
Évaluer le consentement à payer un Qaly par des méthodes de préférences déclarées.....	16
Évaluer le coût d'opportunité des dépenses de santé	17
A Qaly is a Qaly is a Qaly	17
Quel usage dans la décision publique ?	18
Références	20

Préambule

Objectifs d'apprentissage :

- Comprendre les origines et les fondements du calcul économique en santé ;
- Maîtriser les notions de Qaly, efficience et ratio coût-utilité ;
- Savoir appréhender les limites et les difficultés d'application du calcul économique en santé.

Le calcul économique public

Les dépenses de soins sont, nous le savons, majoritairement financées par l'assurance maladie obligatoire. Les décisions d'investissement dans des infrastructures de soins ou les décisions de remboursement des stratégies médicales (médicaments, dispositifs médicaux) relèvent ainsi d'un choix collectif. Il s'agit de décider de l'usage des fonds publics, de déterminer le niveau global des ressources allouées au système de santé mais aussi de décider de l'allocation de ces ressources aux différents usages possibles dans le système de santé.

Cette question est ancienne et remonte aux travaux des premiers économistes ingénieurs français du XIXème siècle, Jules Dupuit en particulier (Etner 1983). Ces économistes ingénieurs s'interrogeaient notamment sur l'opportunité de la construction d'infrastructures publiques : comment précisément fonder la décision d'investir ou non l'argent public dans un pont, une voie de chemin de fer, un canal ?

Le principe proposé par ces précurseurs est immédiat, il consiste à mettre en regard le coût de l'infrastructure et les bénéfices qu'en retireront les usagers. Toute la difficulté est dans la mise en œuvre d'une telle idée : comment valoriser monétairement les bénéfices attendus pour les utilisateurs ? La notion mobilisée par Jules Dupuit (Etner 1983, Siroën 1995) pour répondre à cette difficulté est celle de *surplus du consommateur* qui représente ce que les utilisateurs seraient disposés à payer (au maximum) pour utiliser l'infrastructure. Son principal apport est de proposer une méthode pour déduire des comportements de consommation (de l'observation de la fonction de demande plus précisément) les consentements à payer (CAP) ou dispositions à payer. Dans un chapitre précédent nous avons déjà mobilisé cette notion pour discuter du coût de l'aléa moral conséquence de la couverture des dépenses de soins par une assurance maladie.

Il existe aujourd'hui des méthodes permettant de mesurer directement les CAP grâce à des questionnaires demandant aux personnes concernées combien elles sont prêtes à payer au maximum pour bénéficier des avantages d'une infrastructure ou d'un projet d'investissement

public quelconque. Ce sont des méthodes dites de préférences déclarées que l'on oppose aux méthodes de préférences révélées fondés sur l'observation des comportements observés des individus. Ces dernières ont souvent la préférence des économistes parce que moins sensibles aux choix des méthodes d'élicitation des préférences.

Une fois les CAP estimées le calcul économique public consiste à confronter le coût du projet à évaluer à la somme des CAP. Ainsi, si l'on note C le montant de l'investissement le *surplus global*, SG , est défini comme suit :

$$SG = \sum_i CAP_i - C \quad (1)$$

où i indice les individus concernés par l'investissement public.

La décision de financer le projet est prise si le surplus global est positif, c'est-à-dire si la somme des dispositions individuelles à payer excède le montant de l'investissement. Les économistes parlent d'analyse *coût-bénéfice*. Cela correspond à une approche *welfariste* dans le sens où les CAP individuels peuvent être considérés comme des mesures des gains individuels en bien-être ou en utilité.

Ce type de méthode a connu de très nombreux débats notamment autour des enjeux distributionnels de la méthode. En effet, les CAP sont généralement fonctions croissantes du revenu des individus. Ceci conduit la méthode coût-bénéfice à avantager les investissements valorisés par les plus riches puisque leurs préférences se traduisent par des CAP plus élevés, qui ont donc un poids important dans la somme totale des CAP. Des amendements au calcul coût-bénéfice ont été proposé pour tempérer cette inclinaison pro-riches. Cette question se pose également pour le calcul économique en santé, nous y reviendrons plus loin.

Le calcul économique en santé

Dans le contexte de la santé, les investissements publics (financement d'une infrastructure ou remboursement d'un produit de santé) doivent avoir pour résultat une amélioration de l'état de santé des patients bénéficiant de l'infrastructure ou du produit considéré. Pour appliquer une analyse coût-bénéfice il est donc nécessaire, en toute rigueur, d'obtenir les CAP des patients bénéficiant de l'amélioration de leurs états de santé.

La première difficulté d'une approche coût-bénéfice en santé tient à la fréquence et à la très grande hétérogénéité des traitements/stratégies donnant lieu à des évaluations économiques. L'application d'un calcul coût-bénéfice appliqué à la santé demanderait de mettre en œuvre des méthodes de révélation des CAP pour chaque nouveau traitement évalué ce qui se

révélerait très coûteux au regard de la complexité de la mise en œuvre de ces méthodes. L'évaluation monétaire des gains sanitaire est en outre souvent mal comprise et peut faire l'objet de rejet ce qui questionne la faisabilité de ces méthodes en routine et leur acceptabilité comme outil d'aide à la décision.

Le calcul économique en santé s'est ainsi éloigné de ce « gold standard » du calcul économique pour privilégier une approche coût-efficacité en évaluant les bénéfices des traitements en termes sanitaires. Evaluer les bénéfices sur des échelles cliniques spécifiques aux pathologies étudiées pose immédiatement la question de la comparabilité des résultats des évaluations si les critères d'efficacité diffèrent d'une pathologie à l'autre. Cela réduit singulièrement la portée de l'évaluation économique dans l'aide à la décision publique dès lors que le calcul économique est mobilisé pour orienter les fonds publics vers le financement de tel ou tel nouveau traitement indifféremment de la pathologie considérée. Une solution naturelle serait de considérer les gains en espérance de vie permis par les traitements. La limite d'une telle approche est de ne pas prendre en considération la qualité de vie (QdV) associée aux années de vie gagnées.

Dans les décennies 1970 et 1980, la nécessité de prendre en compte la QdV dans l'appréciation de l'efficacité de traitements est une idée qui s'est peu à peu imposée aussi bien en recherche clinique que dans les débats autour des outils d'évaluation publique des politiques de santé (Armstrong et al. 2004, Benamouzig 2010). Cette nécessité s'est imposée notamment au regard de l'arrivée de nouveaux traitements dont certains permettaient de prolonger la vie de personnes très sévèrement diminuées alors que d'autres apportaient des bénéfices allant au-delà de l'allongement de la durée de vie en améliorant conjointement la qualité de vie (dans le domaine des thérapies du champ cardio-vasculaire en particulier).

La métrique qui s'est peu à peu imposée est des celle des Qalys - années de vie en bonne santé (« Quality Adjusted Life Years »). Elle est aujourd'hui la plus couramment utilisée. Elle consiste à évaluer un traitement en fonction du gain en années de vie pondérées par la qualité de vie associée à l'état de santé. Une année de vie dans un mauvais état de santé compte moins qu'une année en bonne santé car elle correspond à une qualité de vie dégradée.

La méthode coût-efficacité consiste à rapprocher les gains en santé ΔQ (gains en Qalys) du surcoût ΔC de l'investissement évalué. Le ratio $\frac{\Delta C}{\Delta Q}$ est dénommé ratio coût-utilité (nous précisons plus bas pourquoi il est question d'utilité), il donne ainsi le coût moyen d'un Qaly gagné. Ce ratio ne conduit pas à une règle de décision simple comme le calcul coût bénéfice le propose en comparant directement le bénéfice au coût.

Dans le cas du calcul coût-efficacité il s'agit en fait de confronter le ratio à une disposition sociale à payer un gain en Qalys que l'on notera λ : $\frac{\Delta C}{\Delta Q} < ou > \lambda$. Si le ratio coût-utilité est inférieur à λ le traitement sera jugé efficient et non efficient dans le cas contraire. On parle d'approche non welfariste ou extra-welfariste parce que λ n'est pas directement issue des CAP individuels. Si cette approche a l'avantage de s'affranchir des difficultés pratiques liées à la mise en œuvre des méthodes de révélation des CAP, la question de la nature des fondements de la fixation du niveau de la disposition sociétale à payer reste ouverte. Nous y reviendrons plus loin.

Avant cela il est nécessaire de revenir sur les méthodes permettant d'évaluer en Qalys l'efficacité des dépenses de santé.

Mesurer la qualité de vie associée aux états de santé

Pour bien comprendre la démarche qui permet d'évaluer en Qalys les bénéfices d'un traitement médical (ou de toute politique à impacts sur la santé) il est important de distinguer deux étapes :

1. La description des états de santé par des **instruments de mesure de la qualité de vie**
2. **Le « scoring » des états de santé** traduisant la pondération des états de santé en termes de qualité de vie, on parle de score d'utilité, de 1 pour la bonne santé à 0 pour la mort (sachant que des états de santé peuvent être considérés comme pire que la mort avec un poids - un score - négatif).

La première étape vise donc à construire des questionnaires ayant pour objectif d'évaluer le retentissement de l'état de santé des patients sur leur QdV. On parle d'instrument de mesure de la QdV liée à la santé.

La deuxième étape a pour objectif de donner un poids - un score d'utilité - à chaque état de santé décrit par l'instrument de mesure de la QdV. Ces poids permettent de calculer les Qalys qu'accumulent un patient pendant la durée de suivi de ce patient.

Les instruments de mesure de la qualité de vie liée à la santé

La qualité de vie est une notion complexe, multidimensionnelle qui renvoie à la subjectivité des individus ; l'OMS en donne en 1994 la définition suivante : « C'est la perception qu'a un individu de sa place dans l'existence, dans le contexte de la culture et du système de valeurs dans lequel il vit, en relation avec ses objectifs, ses attentes, ses normes et ses inquiétudes. Il s'agit

d'un large champ conceptuel, englobant de manière complexe la santé physique de la personne, son état psychologique, son niveau d'indépendance, ses relations sociales, ses croyances personnelles et sa relation avec les spécificités de son environnement ».

Dans le cadre de l'évaluation économique l'objectif est plus limité il s'agit d'évaluer la qualité de vie liée à la santé (HRQL pour Health related Quality of Life en anglais). Il s'agit plus précisément de mesurer les retentissements dans la vie courante d'une dégradation de l'état de santé.

L'Organisation Mondiale de la Santé décrit les états de santé sur trois dimensions : les déficiences, les incapacités et les désavantages sociaux :

- Les **déficiences** correspondent à toute perte ou altération d'une structure ou fonction physiologique, psychologique ou anatomique,
- Les **incapacités** correspondent à une réduction (résultant d'une déficience), partielle ou totale, de la capacité d'accomplir une activité dans les limites considérées comme normales par un être humain,
- Les **désavantages sociaux** correspondent à une limite dans l'accomplissement d'un rôle social jugé comme normal (en rapport avec l'âge, le sexe, les facteurs sociaux et culturels).

Ces trois dimensions s'emboîtent : les incapacités sont les conséquences des déficiences alors que les désavantages sociaux découlent des incapacités. Si on prend l'exemple d'une déficience visuelle, elle peut générer des difficultés pour lire, incapacité qui implique des limites dans les possibilités d'emploi et donc un désavantage social. Il existe de nombreux instruments (questionnaires) qui mesurent la qualité de vie. Ceux qui nous intéressent sont les questionnaires **génériques** (qui s'opposent aux instruments **spécifiques**, conçus pour une pathologie donnée) qui peuvent être administrés à tout patient quelle que soit sa pathologie. Il s'agit en effet de pouvoir comparer les bénéfices en santé d'un traitement indépendamment de la pathologie pour que les ratios coût-utilité soient comparables et puissent guider l'allocation des ressources.

La complexité de la notion de QdV et son caractère profondément multidimensionnel ne permet pas la convergence univoque vers un instrument générique jugé indiscutable.

L'instrument EQ-5D (voir encadré 1) s'est néanmoins peu à peu imposé comme le *gold standard* dans les principales agences de santé mobilisant le calcul économique. Cet instrument interroge des dimensions qui renvoient aux désavantages sociaux (autonomie, activités courantes) mais également à des dimensions plus proches des incapacités (mobilité) ou des déficiences (douleurs/gênes et anxiété/dépression). Il est en effet concrètement

difficile, pour espérer capturer toutes les répercussions possibles de la santé sur la qualité de vie, de ne pas interroger les patients sur des dimensions qui se situent en amont des désavantages sociaux dans l'architecture proposée par l'OMS.

Il faut pour finir garder à l'esprit que ce sont les patients (ou des proxys si les patients sont dans l'incapacité de répondre) qui renseignent l'instrument c'est-à-dire qui répondent au questionnaire. Par ailleurs, on ne doit pas être surpris par la parcimonie des instruments génériques (tels que l'EQ-5D qui n'interroge que 5 dimensions avec 5 niveaux de sévérité par dimension) qui décrivent les états de santé en termes de qualité de vie. Il est en effet nécessaire que chaque état de santé décrit par l'instrument soit scoré en utilité. Cette étape de scoring, que nous décrivons dans la section suivante, sera d'autant plus robuste que le nombre d'états de santé à scorer est réduit.

Encadré 1 : l'EQ-5D (European Quality of Life Instrument)

Cet instrument a été développé dans le but de construire un questionnaire de qualité de vie très compact pouvant être administré (en face à face, par courrier ou par téléphone) très rapidement. Il comporte cinq dimensions évaluée chacune par trois ou cinq niveaux de sévérité mesurant l'intensité de la douleur, l'anxiété, les incapacités liées à la mobilité et à l'autonomie, et l'intensité des désavantages sociaux pour reprendre le vocabulaire de l'OMS. Le choix de ces dimensions résulte d'un consensus entre experts européens.

Le choix a été clairement fait par les promoteurs de l'EQ-5D de centrer l'instrument sur l'évaluation des conséquences des états de santé sur la vie quotidienne plus que sur les déficiences fonctionnelles. L'avantage de la simplicité de cet instrument tient, au-delà de son administration facile, dans le relatif faible nombre d'états de santé décrits : 3125 pour la version à 5 niveaux de sévérité. L'application des méthodes de valorisation des états de santé en utilité s'en trouve facilitée ce qui confère une robustesse méthodologique à ces évaluations. Pour ces raisons, l'EQ-5D est aujourd'hui recommandé par de nombreuses agences de santé (le NICE en Grande-Bretagne et la HAS en France pour prendre des exemples).

Questionnaire EQ-5D-5L

MOBILITÉ

- Je n'ai aucun problème pour me déplacer à pied
- J'ai des problèmes légers pour me déplacer à pied
- J'ai des problèmes modérés pour me déplacer à pied
- J'ai des problèmes sévères pour me déplacer à pied
- Je suis incapable de me déplacer à pied

AUTONOMIE DE LA PERSONNE

- Je n'ai aucun problème pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e)
- J'ai des problèmes légers pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e)
- J'ai des problèmes modérés pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e)
- J'ai des problèmes sévères pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e)
- Je suis incapable de me laver ou de m'habiller tout(e) seul(e)

ACTIVITÉS COURANTES (*exemples: travail, études, travaux ménagers, activités familiales ou loisirs*)

- Je n'ai aucun problème pour accomplir mes activités courantes
- J'ai des problèmes légers pour accomplir mes activités courantes
- J'ai des problèmes modérés pour accomplir mes activités courantes
- J'ai des problèmes sévères pour accomplir mes activités courantes
- Je suis incapable d'accomplir mes activités courantes

DOULEURS / GÊNE

- Je n'ai ni douleur ni gêne
- J'ai des douleurs ou une gêne légère(s)
- J'ai des douleurs ou une gêne modérée(s)
- J'ai des douleurs ou une gêne sévère(s)
- J'ai des douleurs ou une gêne extrême(s)

ANXIÉTÉ / DÉPRESSION

- Je ne suis ni anxieux(se), ni déprimé(e)
- Je suis légèrement anxieux(se) ou déprimé(e)
- Je suis modérément anxieux(se) ou déprimé(e)
- Je suis sévèrement anxieux(se) ou déprimé(e)
- Je suis extrêmement anxieux(se) ou déprimé(e)

Le scoring en utilité des états de santé

Le scoring en utilité des états de santé repose sur le principe selon lequel un état de santé - décrit par l'instrument de QdV considéré - offre une meilleure qualité de vie qu'un autre si le premier est préféré au second. La valorisation des états de santé décrits par l'instrument choisit passe par les préférences individuelles, par les utilités individuelles. C'est pour cela que l'on parle de score d'utilité et de ratio coût-utilité. C'est ici un emprunt direct à l'analyse économique qui fonde sa compréhension des comportements de consommation ou de

production comme le reflet des préférences individuelles que l'on peut représenter par des fonctions d'utilités individuelles.

Pour scorer les états de santé il est fait appel à un panel représentatif de la population du pays concerné. Les individus de ce panel sont amenés à exprimer leurs préférences sur les états de santé de l'instrument évalué. Les scores d'utilité sont ainsi censés rendre compte d'une préférence collective. Ce ne sont donc pas les patients qui scorent en utilité leur état de santé. Ce choix d'en appeler à un échantillon représentatif est discutable, il rend compte d'un a priori *non welfariste* dans le sens où ce ne sont pas les personnes malades qui expriment leurs préférences. Ceci rentre en contradiction avec les principes de l'analyse coût-bénéfice qui évalue les bénéfices d'un investissement public par les CAP des bénéficiaires de l'investissement évalué. Les justifications de s'en remettre aux préférences de la population générale (et non à celles des patients) pour scorer en utilité les états de santé est double. La première justification s'appuie sur l'idée qu'il s'agit pour le calcul économique de statuer sur l'utilisation des ressources du système de santé en voile d'ignorance (sans connaissance de son état de santé) par l'ensemble des citoyens. La deuxième justification souligne que les patients peuvent minorer la répercussion de leur état de santé par un phénomène d'habitude qui ne serait pas légitime de considérer dans le calcul économique.

Il demeure deux questions :

1. Comment faire si les choix individuels sont discordants ?
2. Comment passer d'un choix entre deux états de santé à des valeurs pour chacun de ces états de santé ?

A la première question, il est apporté une réponse pragmatique. En pratique c'est le « choix moyen » de la population interrogée qui décidera des scores d'utilité. Nous revenons plus bas sur les méthodes statistique qui conduisent à cette valorisation moyenne.

La deuxième question est plus ardue car elle ne trouve pas de solution immédiate dans l'analyse économique : les préférences individuelles sont par nature ordinales, elles rendent compte des choix individuels, si tel état de santé est préféré à tel autre, mais ne nous permettent pas de donner des valeurs à ces états de santé (de cardinaliser le choix). La cardinalité des échelles de qualité de vie est pourtant indispensable au calcul économique en santé puisqu'il s'agit de mesurer les effets agrégés d'un traitement sur une population : les gains en utilités sont sommés, et cette addition suppose de définir des scores d'utilité, des valeurs pour chaque état de santé.

Pour justifier une mesure cardinale des utilités associées aux états de santé, les économistes mobilisent la théorie du choix en incertitude de von Neumann et Morgenstern (vNM)¹. La théorie de vNM est fondée sur une axiomatique formelle du choix rationnel dans l'incertain. Nous ne la détaillerons pas ici (voir Falissard 2008 pour une discussion). Cette axiomatique conduit à une représentation des choix individuels dans l'incertain par une fonction d'utilité espérée cardinalisant les utilités tirées par les individus de chaque possible état du monde (par exemple les différents états de santé possible). C'est le résultat connu sous le nom de théorème de vNM. Comme illustré dans l'encadré 2, la représentation des préférences dans l'incertain, par l'utilité espérée, permet de donner une valeur, un score d'utilité, à chaque état de santé décrit par l'instrument considéré.

Encadré 2 : Utilité espérée et score d'utilité

L'utilité u qu'un individu attribue à l'état de santé h peu être révélée par l'observation de ses choix dans l'incertain. Considérons ainsi qu'il soit confronté à un choix risqué, un pari standard (« standard gamble »), ainsi défini : être dans l'état de santé h (décrit par un instrument générique de QdV tel que l'EQ-5D) pendant t années (alternative A) ou avoir une probabilité p d'être en bonne santé t années et $(1 - p)$ de mourir immédiatement (alternative B).

Le théorème de vNM nous dit que si l'individu est rationnel (selon l'axiomatique de vNM) on peut écrire sa fonction utilité dans l'incertain (définie sur les alternatives risquées) sous la forme d'une utilité espérée (en omettant de considérer la durée de vie dans chaque état de santé) :

$$U(B) = p \cdot u(\bar{h}) + (1 - p) \cdot u(\underline{h}) \text{ (et } U(A) = u(h))$$

où \bar{h} définit le bon état de santé et \underline{h} la mort ; la fonction d'utilité u est la fonction d'utilité dite de von Neumann-Morgenstern, elle est définie à une transformation linéaire près ce qui lui donne une dimension cardinale (les rapports des différences d'utilité sont indépendants du choix de la transformation linéaire : il fait sens de dire que l'utilité u augmente deux fois plus en passant de h à h' que de h' à h'' par exemple).

¹ Von Neumann est un mathématicien très célèbre du 20^{ème} siècle et Morgenstern un économiste qui lui était contemporain. Ils ont collaboré pour poser les premières pierres de la théorie des jeux dans un ouvrage célèbre (Theory of Games and Economic Behavior. Princeton University Press, 1944) et établir le résultat connu sous le nom de théorème de von Neumann et Morgenstern (vNM).

Supposons maintenant que nous interrogeons l'individu sur le niveau de la probabilité p qui le laisse indifférent entre ces deux alternatives et notons p^* cette probabilité limite. p^* est ainsi définie par l'identité $U(A) = U(B)$, ou encore :

$$u(h) = p^* \cdot u(\bar{h}) + (1 - p^*) \cdot u(\underline{h})$$

Compte tenu des normalisations usuellement adoptées ($u(\underline{h}) = 0$ et $u(\bar{h}) = 1$) on obtient : $u(h) = p^* \cdot u(\bar{h}) = p^*$; p^* définit donc le niveau d'utilité de l'état de santé h . En réalité, l'utilité de h s'exprime en fonction de l'utilité de \bar{h} , $u(\bar{h})$, qui dans l'exemple suivi est l'utilité d'être en bonne santé pendant t années. On peut donc conclure que l'utilité de h pendant t années est p^* fois celle d'être en bonne santé pendant t années.

Le fondement théorique de l'évaluation en utilité des états de santé par la méthode du pari standard se heurte aux difficultés de mise en œuvre d'une telle méthode. Le choix qu'il est demandé de faire aux individus interrogés est complexe. Il demande aux enquêteurs de s'assurer que la personne interrogée a bien assimilé l'ensemble des éléments de l'arbitrage qui lui est proposé. C'est une méthode coûteuse qui se traduit par de nombreuses non réponses, ou des réponses non utilisables.

C'est pour cette raison que, très usuellement, les travaux cherchant à scorer en utilité les états de santé s'appuient sur des arbitrages sur le temps (« Time Trade-Off ») qui consiste à demander aux personnes interrogées la diminution d'espérance de vie maximale qu'elles sont prêtes à accepter pour retrouver un bon état de santé plutôt que de conserver un état de santé dégradé (celui que l'on cherche à valoriser en utilité) pendant un nombre d'années fixé arbitrairement. Cette méthode n'a pas l'assise théorique de la méthode du « Standard Gamble » mais elle est plus facilement comprise et acceptée par les personnes interrogées dans les enquêtes. On considère que c'est une façon plus robuste en pratique pour évaluer les scores d'utilités associés aux états de santé.

Ces méthodes de révélation des scores d'utilité se heurtent à une difficulté pratique majeure qui est celle du grand nombre d'états de santé à évaluer (3 125 par exemple pour l'EQ-5D-5L). On ne peut demander, pour des raisons pratiques évidentes, à une personne interrogée d'évaluer plus que quelques états de santé. Il serait donc nécessaire constituer des échantillons très importants pour évaluer avec précision l'ensemble des états de santé décrits par un instrument. Ceci n'étant pas envisageable dans la pratique, des modélisations statistiques sont mobilisées afin d'inférer de l'évaluation d'un nombre réduits d'états de santé des scores d'utilité pour tous les états de santé décrits par l'instrument considéré. Pour simplifier l'estimation il est ainsi souvent considéré que l'utilité d'un état de santé s'écrit comme en fonction des

décréments d'utilité associés à chaque niveau de sévérité de chaque dimension de l'instrument. Ainsi pour l'EQ5D-5L l'utilité de l'état de santé h sera supposé s'écrire ainsi :

$$U(h) = 1 - u(h_m) - u(h_a) - u(h_{ac}) - u(h_d) - u(h_d)$$

où h_j ($= 1,2,3,4,5$) définit le niveau de sévérité de la dimension j , $u(h_j)$ le décrement d'utilité associé à la dimension j et au niveau de sévérité h_j ; par normalisation on fixe à 0 les décrets d'utilité : $u(h_j) = 0$ pour $h_j = 1$.

Il y ainsi 4 décrets d'utilité à estimer par dimension. Il n'y a donc plus que 20 paramètres à estimer pour évaluer l'utilité de l'ensemble des états de santé décrits par l'instrument. C'est la méthode mobilisée pour estimer les scores d'utilité de l'EQ5D-5L (Andrade et al 2020). Ces estimations sont des estimations moyennes dans le sens ou elles rendent compte du mieux possible (en mobilisant des méthodes statistiques) les évaluations individuelles du panel interrogé. Chaque individu du panel interrogé est conduit à scorer un nombre réduit d'états de santé.

Rappelons que cette valorisation n'est pas réalisée par les patients mais **par un échantillon représentatif de la population**. Il est donc valorisé une seule fois et non par les patients pour chaque étude.

Évaluation en Qalys des bénéfiques en santé et ratio coût-utilité

Sur la figure1, typiquement, on représente l'évolution sur deux ans et demi de la QdV liée à la santé d'un patient. Les scores d'utilité correspondant aux états de santé du patient sont représentés sur l'axe des ordonnées alors que la durée en années se lit en abscisse. L'aire située sous la « courbe » en traits bleus représente les Qalys accumulés, QT , qui se calculent comme la somme des produits de durées, exprimées en années, par les scores d'utilité associés à chacun de ces états de santé, soit : $QT = 1x1 + 0,7x1 + 0,4x0,5 = 1,9$ Qalys accumulés sur la période de suivi (2,5 ans).

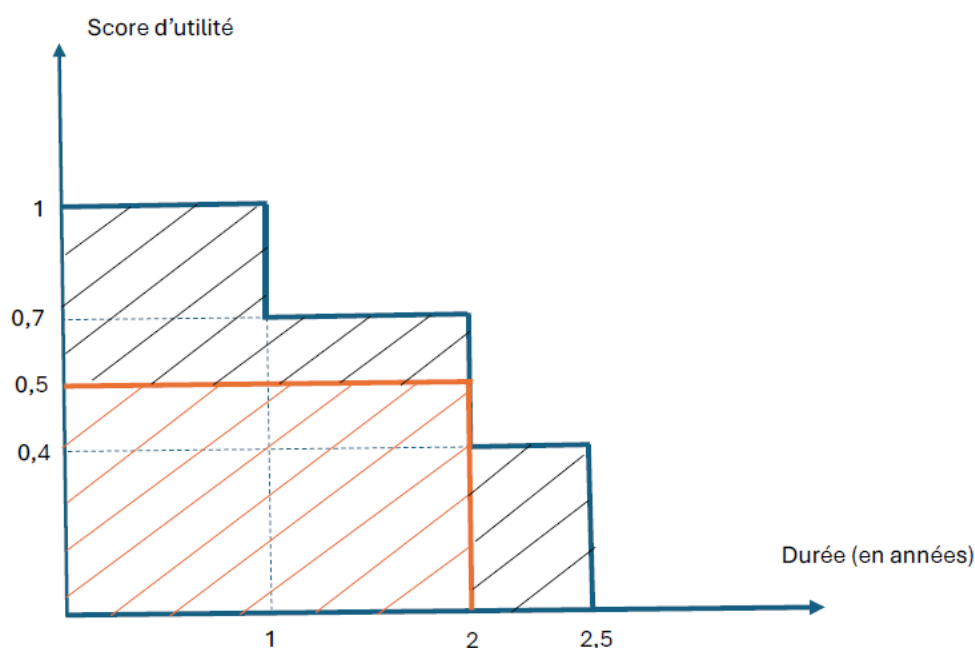


Figure 1 : Durée, scores d'utilité et Qalys accumulés

L'objet du calcul économique en santé est de comparer les Qalys accumulés par les patients avec et sans le traitement évalué (avec ou sans l'intervention/politique évaluée). Ainsi, sur le graphique 1, on représente par l'aire hachurée en orange les Qalys accumulés sans traitement, soit : $Q_{ST} = 1$

Les Qalys gagnés grâce au traitement sont définis par l'aire hachurée en noire, soit $\Delta Q = QT - Q_{ST} = 0,9$.

Si l'on note ΔC le surcoût par patient induit par le traitement évalué (ou par la nouvelle politique, le nouvel investissement ...), avec par exemple $\Delta C = 18\ 000\text{€}$, on obtient le ratio coût-utilité ou ratio différentiel coût-résultat (*RDCR*) : $RDCR = \frac{\Delta C}{\Delta Q} = 20\ 000\text{€}$. Ceci signifie simplement que le coût d'un Qaly gagné grâce à ce traitement est de 20 000€.

Ce ratio est confronté à la disposition collective à payer un Qaly, lambda, **si le ratio est inférieur à lambda on dira que le traitement est efficient et non efficient sinon.**

Quelques questions en suspens

Le cadre de l'évaluation économique en santé tel que nous l'avons présenté soulève de nombreuses questions. Nous proposons d'en discuter certaines pour en mesurer la portée et les enjeux.

Qaly versus Daly

La mise en œuvre du calcul économique en santé peut, comme toute évaluation, se faire avant le déploiement de l'intervention évaluée, on parle d'évaluation *ex ante*, ou après déploiement pour une évaluation *ex post*. Nous ne reviendrons pas ici sur la difficulté d'être en capacité de comparer de manière robuste l'intervention évaluée par rapport à la situation contrefactuelle (c'est-à-dire sans intervention). C'est bien entendu un sujet méthodologique majeur de l'évaluation quantitative des politiques publiques mais cela nous conduirait trop loin ici (voir Bozio 2015).

Dans les deux cas, évaluation *ex post* ou *ex ante*, le calcul économique en santé est très exigeant en termes d'information à recueillir puisqu'il demande en particulier le suivi de l'état de santé de la population cible (dans l'état du monde avec intervention et dans celui sans intervention). Utiliser la métrique des Qalys exige de collecter l'état de santé à l'aide d'un instrument générique de qualité de vie tel que l'EQ-5D. Quand le calcul économique peut s'appuyer sur des protocoles médicaux ou de santé publique (essais cliniques ou de suivi de cohortes) cette information est généralement collectée et peut être mobilisée pour le calcul économique mais ceci n'est généralement plus le cas quand il s'agit d'évaluer des politiques publiques qui ont un impact sur la santé mais qui ne s'appuie pas sur des données issues d'études protocolisées.

Ainsi, pour prendre un exemple, si l'on s'intéresse à l'effet des politiques d'urbanisation sur la santé des populations aucune données de qualité de vie liée à la santé collectées grâce à des instruments génériques ne sont mobilisables (Northridge et al 2003). En revanche, le calcul économique en santé peut s'appuyer sur des travaux épidémiologiques montrant l'impact favorable de tel ou tel environnement urbain sur la santé des populations et plus précisément sur l'incidence d'affections chroniques. Pour transformer la réduction de l'incidence d'une pathologie sur les gains en espérance de vie en bonne santé il est possible de mobiliser la métrique des Dalys. Cette métrique est en particulier utilisée par l'OMS pour évaluer le fardeau

des maladies². Pour chaque pathologie ou incapacité cette métrique propose une échelle, par âge et par sexe, informant de la perte en espérance de vie et en incapacités. La pondération en termes d'incapacité (entre 0 pour absence d'incapacité jusqu'à un pour un état équivalent à la mort) pour chaque pathologie/incapacité est obtenue en interrogeant un échantillon représentatif de la population. Le principe de fonder la pondération sur les préférences de la population est le même que celui mobilisé pour fonder la métrique des Qalys bien que les préférences révélées par enquête dans le deux cas sont différentes.

Pour la métrique des Qalys, comme nous l'avons vu, les personnes enquêtées sont interrogées sur leurs préférences vis-à-vis des états de santé alors que dans le cas de la métrique des Dalys les personnes sont interrogées sur leurs préférences vis-à-vis d'interventions de santé publique réduisant l'incidence de pathologies/incapacités.

La métrique des Dalys est ainsi plus habituellement mobilisée pour évaluer des interventions ou politiques publiques en population (sans possibilité d'un suivi de l'état de santé individuel) alors que la métrique des Qalys est la métrique de référence pour le calcul économique dans l'évaluation des médicaments et des dispositifs médicaux qui disposent en général d'évaluation de données sur l'état de santé des patients par des instruments ad-hoc de mesure de la qualité de vie.

Quelle valeur pour la disposition collective à payer un Qaly ?

Comme nous l'avons précisé précédemment l'efficacité d'une politique ou d'une intervention en santé est évaluée par la comparaison entre le ratio coût-utilité (RDCR) et la valeur de référence qui rend compte de la disposition à payer un Qaly (une année de vie en bonne santé) par la collectivité.

Comme nous l'avons dit, alors que le calcul économique somme les dispositions à payer individuelles pour estimer le bénéfice d'un investissement/intervention, le calcul économique en santé somme les bénéfices sanitaires (les gains en Qalys) qui sont valorisés dans un deuxième temps par la valeur collectivement donnée au gain d'un Qaly. Si la valeur des gains en Qalys est supérieure au coût de l'intervention alors elle sera jugée efficiente.

² WHO methods and data sources for global burden of disease estimates 2000-2019. https://cdn.who.int/media/docs/default-source/gho-documents/global-health-estimates/ghe2019_daly-methods.pdf?sfvrsn=31b25009_7

La question se pose alors de la méthode mobilisée pour évaluer cette valeur de référence c'est-à-dire la valeur donnée collectivement au gain d'un Qaly. On identifie trois grands types de méthode.

Se référer à la valeur statistique de la vie humaine (VSL)

La VSL est définie comme le consentement à payer des individus pour une réduction du risque de mortalité. Elle est estimée soit par des méthodes de préférences révélées consistant à comparer les salaires de personnes faisant face à des risques professionnels différents, soit par des méthodes de préférences déclarées en demandant aux individus la somme qu'ils seraient prêts à consacrer pour réduire le risque de mortalité. La valeur retenue est la valeur moyenne des consentements à payer ce qui permet d'éviter les biais « pro-riche » du calcul économique que nous avons discuté précédemment.

Ainsi, imaginons qu'un risque cause la mort de 100 personnes dans une population de 100 000 personnes, si la disposition moyenne à payer de cette population pour réduire le mortalité de 100 décès à 80 est de 500 euros alors la valeur statistique de la vie humaine sera évaluée à 2,5 millions d'euros. On peut en effet collecter 50 millions d'euros ($100,000 \times 500$) dans cette société pour éviter statistiquement 20 décès ($50 \text{ millions} / 20 = 2,5 \text{ millions}$).

Cette valeur statistique de la vie humaine est formellement retenue par France-Stratégie dans le calcul économique public pour valoriser les vies sauvées par les investissements publics évalués (le rapport Quinet de 2013 évalue la VSL à 3 millions d'euros à partir d'une revue de littérature scientifique). La difficulté pour le calcul économique en santé est de traduire cette valeur en la valeur d'une année de vie en bonne santé sauvée (d'un Qaly gagnée).

Certains travaux proposent des calculs des méthodes d'annualisation (transformant la valeur pour une vie sauvée en valeur pour chaque année de vie sauvée), par exemple le rapport Quinet propose une valeur de l'année de vie sauvée à 115 000 euros (Quinet 2013, Baumstark et al 2013).

Évaluer le consentement à payer un Qaly par des méthodes de préférences déclarées

Les méthodes de préférences déclarées consistent à demander aux personnes interrogées à évaluer la somme qu'ils sont prêts à consacrer pour éviter un état de santé dégradé (ou à réduire le risque d'être confronté à un état de santé dégradé).

Les travaux sont assez nombreux mais les résultats assez sensibles aux méthodes de révélation des préférences utilisées (Kouakou et al 2022).

Évaluer le coût d'opportunité des dépenses de santé

Cette méthode consiste à évaluer combien le système de santé, dans son fonctionnement courant, doit dépenser pour sauver une année de vie en bonne santé (les difficultés empiriques de l'estimation sont considérables, voir par exemple Vallejo-Torres et al 2017).

On parle de coût d'opportunité pour désigner le fait, qu'à budget constant, si l'on dépense plus que ce coût d'opportunité pour gagner un Qaly on réduit la production totale de Qalys du système de santé (on réalloue le budget vers une dépense moins efficace que les dépenses déjà financées).

Une valeur de référence ainsi définie ne rend pas compte d'un consentement à payer et donc du principe usuel du calcul économique. Elle ne fait sens que si l'on raisonne à budget constant et que la question posée est celle de la répartition optimale de ce budget. Le coût d'opportunité n'est pas une valeur de référence pertinente quand on s'intéresse à l'efficacité d'une politique publique sans restriction budgétaire *a priori*.

L'utilisation explicite de valeurs de référence dans le calcul économique en santé est peu fréquente dans les agences de santé internationales, et absente dans le cas de l'agence Française, alors que, comme nous l'avons dit, l'utilisation de la VSL pour évaluer monétairement les vies sauvées est d'usage courant quand il s'agit d'évaluer les investissements publics. La raison tient au fait que dans les cas des interventions en santé l'impact mesuré est essentiellement un impact sanitaire ce qui donne bien sûr un rôle central à la valeur de référence dans la caractérisation de l'efficacité. La monétisation de la santé demeure une question très délicate, moralement dérangement, ce qui explique certainement les réticences à une utilisation plus ouverte des valeurs de référence dans le calcul économique en santé.

A Qaly is a Qaly is a Qaly

Cette expressions « A Qaly is a Qaly is A Qaly » renvoie à l'expression « a dollar is a dollar is a dollar » rendant compte de la fongibilité de la monnaie, peut importe la source de la monnaie les sommes s'agrègent, se somment, pour définir un coût ou un revenu. Il en va de même pour les Qalys qui se somment entre individus peut importe les caractéristiques de ces individus (Thebaut et al 2017).

Ce principe utilitariste de sommation des Qalys se heurtent à deux principales objections :

1. On ne tient pas compte dans le calcul économique en santé, quand on somme les Qalys gagnés pour évaluer l'efficacité d'une intervention, de la sévérité de la

pathologie des patients concernés, seuls les gains sont considérés. C'est une difficulté majeure de la pratique courante de l'évaluation économique en santé. Certaines agences de santé (au Royaume-Uni et aux Pays-Bas en particulier) proposent d'utiliser des pondérations en fonction du fardeau de la maladie définie de manière absolue (perte d'espérance de vie due à la maladie) ou de manière relative (perte d'espérance de vie rapportée à l'espérance de vie sans maladie). Il s'agit de donner plus de poids aux gains en Qalys des patients dont le fardeau de la maladie est plus élevé pour compenser le désavantage de leur maladie (Phelps et al 2023).

2. D'autres auteurs considèrent qu'il est nécessaire de prendre en compte la situation sociale des individus pour favoriser les personnes appartenant aux catégories sociales pour lesquelles l'espérance de vie est la plus basse. L'idée est de valoriser les interventions en santé non seulement en fonction des gains totaux en Qalys mais aussi en fonction de leur impact sur les inégalités sociales de santé (Ward et al 2022). D'autres approches vont un pas plus loin et proposent de considérer non seulement les inégalités sociales de santé mais plus largement les inégalités de bien-être pour valoriser l'impact des interventions (Fleurbaey 2007).

Le calcul économique en santé est fondé sur un principe utilitariste de valorisation des bénéfices en santé qui conduit à sommer les Qalys gagnés grâce à la politique ou l'intervention évaluée. Ce principe est critiquable dans le sens où il ne priorise pas les bénéfices en santé en fonction des situations individuelles en termes d'espérance de vie ou plus largement en termes de bien-être et ne valorise donc pas les interventions réduisant les inégalités sociales. Bien que cette limite soit bien connue et que plusieurs auteurs proposent des amendements au calcul coût-utilité pour introduire des priorisations dans le calcul, l'essentiel des travaux d'évaluation économique des intervention en santé se fonde sur un calcul coût-utilité sans pondérations des Qalys.

Quel usage dans la décision publique ?

Le calcul économique en santé est mobilisé par de nombreuses agences de santé pour évaluer les innovations en santé (médicaments, dispositifs médicaux) ou encore les politiques de prévention.

L'usage est néanmoins très variable d'un pays à l'autre, pour décider du remboursement des médicaments comme au Royaume-Uni ou encore informer la négociation du prix des innovations comme en France.

La référence à des valeurs de références pour juger de l'efficacité est également variable. C'est la règle au Royaume-Uni qui fixe une valeur plafond du ratio coût-utilité au-delà duquel les médicaments ou dispositifs médicaux ne sont pas remboursés. En France, en revanche, aucune valeur de référence n'est explicitement utilisée, les ratio coût-utilité produits ne sont pas explicitement confrontés à une valeur de référence.

Mais, comme nous l'avons déjà dit, au-delà des politiques de santé, le calcul économique public intègre depuis longtemps la dimension sanitaire quand il s'agit d'évaluer les politiques publiques ou les investissements publics en général. Il est ainsi habituel de mobiliser la valeur statistique de la vie humaine pour valoriser les vies sauvées grâce à l'investissement public évalué. C'est un usage institué en France et dans le plupart des pays européens depuis le milieu du siècle dernier. Cette prise en compte sommaire des effets sanitaires des politiques publiques peut, comme nous l'avons discuté, être raffinée en évaluant non seulement les impacts sur les décès mais aussi, plus largement, les impacts épidémiologiques des politiques publiques. Évaluer les impacts épidémiologiques permet d'estimer les Qalys gagnés grâce aux politiques évaluées et de se rapprocher ainsi des principes du calcul économique en santé. Un rapport récent de France Stratégie propose une évolution méthodologique dans ce sens du calcul économique public en France (France Stratégie 2022).

Références

Andrade LF, Ludwig K, Goni JMR, Oppe M, de Pouvourville G. (2020). A French Value Set for the EQ-5D-5L. *Pharmacoeconomics*. 2020 Apr;38(4):413-425.

Armstrong, D., Caldwell, D. (2004). Origins of the Concept of Quality of Life in Health Care: A Rhetorical Solution to a Political Problem. *Soc Theory Health* **2**, 361–371 (2004).

Baumstark L., Dervaux B., Treich N. (2013). Éléments pour une révision de la valeur statistique de la vie humaine. Commission présidée par E. Quinet. *L'évaluation socio-économique des investissements publics*, Commissariat général à la stratégie et à la prospective, 28 p., 2013.

Benamouzig D. (2010), Mesures de qualité de vie en santé. Un processus social de subjectivation ? *Les Cahiers du Centre Georges Canguilhem* 2010/1 (N° 4), p. 135-176.

Bozio A. (2015). L'évaluation des politiques publiques : enjeux, méthodes et institutions, *Revue française d'économie*, vol. 29, no 4, 2015, p. 59-85.

Ether F. (1983). Note sur Dupuit, *Revue économique*, vol. 34, n° 5, p. 1021-1035.

Falissard B. (2008), *Mesurer la subjectivité en santé*, Elsevier-Masson.

M. Fleurbaey M. (2007). Le revenu équivalent-santé, un outil pour l'analyse des inégalités sociales de santé, *Revue d'Épidémiologie et de Santé Publique*, Volume 55, Issue 1, Pages 39-46.

France Stratégie, ministère de la Transition écologique, & SGI. (2022). *L'évaluation socioéconomique des effets de santé des projets d'investissement public (Rapport du groupe de travail présidé par Benoît Dervaux et Lise Rochaix)*. Mars, 328 pages.

Kouakou CRC, Poder TG. (2022). Willingness to pay for a quality-adjusted life year: a systematic review with meta-regression. *Eur J Health Econ*. 2022 Mar;23(2):277-299.

Northridge ME, Sclar E. (2003). A joint urban planning and public health framework: contributions to health impact assessment. *Am J Public Health*. 2003 Jan;93(1):118-21.

Phelps CE, Lakdawalla DN. (2023). Methods to Adjust Willingness-to-Pay Measures for Severity of Illness. *Value Health*. 2023 Jul;26(7):1003-1010.

Quinet E., 2013, *L'évaluation socioéconomique des investissements publics*, Paris, Commissariat général à la stratégie et à la prospective, 354 p.

Siroën J-M. (1995). Dupuit et la pensée économique contemporaine. *Revue française d'Economie*, volume 10, n°2, 1995. pp. 35-54.

Thébaud, C. et Wittwer, J. (2017). L'évaluation économique en santé au prisme de l'économie normative : principes allocatifs et règles de priorisation. *Revue française des affaires sociales*, 169-191.

(2017). L'évaluation économique en santé au prisme de l'économie normative : principes allocatifs et règles de priorisation. *Revue française des affaires sociales*, 169-191.

Vallejo-Torres L, García-Lorenzo B, Serrano-Aguilar P. Estimating a cost-effectiveness threshold for the Spanish NHS. *Health Econ.* 2018 Apr;27(4):746-761.

Ward, T., Mujica-Mota, R.E., Spencer, A.E. *et al.* Incorporating Equity Concerns in Cost-Effectiveness Analyses: A Systematic Literature Review. *Pharmacoeconomics* **40**, 45–64 (2022).

Comment citer ce cours ?

Économie de la santé, Jérôme Wittwer, AUNEGe (<http://aunega.fr>), CC – BY NC ND (<http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/>).



Cette œuvre est mise à disposition dans le respect de la législation française protégeant le droit d'auteur, selon les termes du contrat de licence Creative Commons Attribution - Pas d'Utilisation Commerciale - Pas de Modification 4.0 International (<http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/>). En cas de conflit entre la législation française et les termes de ce contrat de licence, la clause non conforme à la législation française est réputée non écrite. Si la clause constitue un élément déterminant de l'engagement des parties ou de l'une d'elles, sa nullité emporte celle du contrat de licence tout entier.

Figures

Figure 1 : Durée, scores d'utilité et Qalys accumulés..... 13