

Les mesures d'efficacité dans les évaluations économiques en santé

Nouvelles pistes de recherche

Philippe Tessier

SPHERE (U1246), Nantes Université, Université de Tours
& SEEDePS, CHU de Nantes

Introduction

- L'évaluation économique : un outil d'aide à la décision pour l'allocation des ressources en santé
- Évalue les conséquences des soins en termes de QALYs (*Quality-Adjusted Life-Years*)
 - Les QALYs ont cinquante ans... âge de la maturité ?
 - De nombreux défis restent à relever ([Spencer et al., 2022](#))
 - Une suprématie indéniable (UK, France, Netherlands, Spain...)
- Une suprématie « contestée »
 - Raison normative : débat sur ce qui fait la valeur des soins
 - Raison descriptive : incapacité des QALYs à saisir toutes les facettes de l'expérience vécue par les patients
- Quelles pistes alternatives aux QALYs ?

Des principes des QALYs...

- Indicateur permettant les comparaisons entre interventions, pathologies, populations
- Combinant la durée de vie et la qualité de vie
 - Index de qualité de vie sur un continuum sur lequel 0 correspond à la mort et 1 à la parfaite santé
- Focus sur la qualité de vie liée à la santé
 - Les soins visent l'amélioration de la santé, pas l'amélioration de la qualité de vie globale ([Torrance, 1987](#))
- Evaluation de la qualité de vie par la population générale
 - Les poids de qualité de vie (utilités) proviennent de mesures des préférences de la population sur des états de santé hypothétiques
 - Pas de consensus sur la justification de cette approche de poids qui ne sont pas fournis par les patients ([Versteegh & Brouwer, 2016](#))

...Aux limites des QALYs

- Le focus sur la santé (pas celle définie par l'OMS !)
 - Des conséquences des traitements pourraient dépasser les conceptions de la qualité de vie liée à la santé
 - Des interventions « hors santé » : soins palliatifs, services médico-sociaux, télémédecine...
 - Quelles autres dimensions considérer ?
 - Une littérature en développement autour de l'identification de « bolt-on » pour l'EQ-5D notamment
- Démarche de valorisation indirecte
 - Avec les QALYs, les poids de qualité de vie concernent des états décrit de manière abstraite et sont fixes dans le temps
 - Ces poids peuvent-ils refléter l'expérience vécue des patients ?
 - Des travaux suggèrent que les pondérations anticipées et vécues diffèrent (Dolan et Metcalfe, 2011; Dolan et al., 2012 ; Mukuria et Brazier, 2013)

Pistes de recherche

- Le bien-être subjectif (*Subjective Well-Being, SWB*)
 - Mesures représentant ce que les personnes pensent et ressentent à propos de leur situation (Diener et al., 2009)
 - Cognitif : mesures de satisfaction liée à la vie ou à un domaine de vie (santé)
 - Affectif : mesures des états émotionnels + (joyeux, enthousiaste, se sentir bien, ...) et - (anxieux, triste, se sentir mal ...)
 - Eudémonique : mesures de la réalisation ce qui est bon pour la nature humaine, de ce qui est important dans la vie
 - Les WELLBYs plutôt que les QALYs ? (Layard et Oparina, 2021)
- Les capacités
 - Mesure de la liberté de choix dans ce qu'une personne est capable d'être et de faire (Sen 1985, 2001)
 - Les CALYs plutôt que les QALYs ? (Månsdotter et al., 2017)

L'adaptation hédonique

- Adaptation hédonique ([Frederick et Loewenstein, 1999](#))
 - Après la survenue d'un événement négatif, le SWB s'améliore dans le temps alors que la situation objective ne change pas
 - Des travaux suggèrent une adaptation complète ou partielle aux problèmes de santé ([Wu, 2001](#); [Oswald et Powdthavee, 2008](#); [McNamee & Mendolia, 2014](#); [De Hond et al., 2019](#))
- L'adaptation d'un point de vue moral
 - Selon Sen ([1993, 2001](#)), elle distord les évaluations subjectives et les rend dès lors moralement incomparables entre les individus
 - Selon Dolan et Kahneman ([2007](#)), le SWB peut renseigner sur les situations auxquelles on ne parvient pas à s'adapter

Préférences adaptatives (Elster, 1983)

- Préférences qui changent en raison de la contraction de l'ensemble des options disponibles
- Le Renard et les Raisins ([Jean de la Fontaine, 1668](#))
 - « Certain renard gascon, d'autres disent normand,
Mourant presque de faim, vit au haut d'une treille
Des raisins mûrs apparemment
Et couverts d'une peau vermeille.
Le galant en eût fait volontiers un repas ;
Mais comme il n'y pouvait point atteindre :
"Ils sont trop verts, dit-il, et bons pour des goujats."
Fit-il pas mieux que de se plaindre ? »
- Le Renard va-t-il mieux ? Faut-il tenir compte ou ignorer sa capacité d'adaptation ?

L'approche des capacités

- Mesures opérationnelles des capacités
 - Personnes interrogées sur les possibilités qu'elles ont dans différents aspects de leur vie (ICECAP-O) -> qualité de vie générale

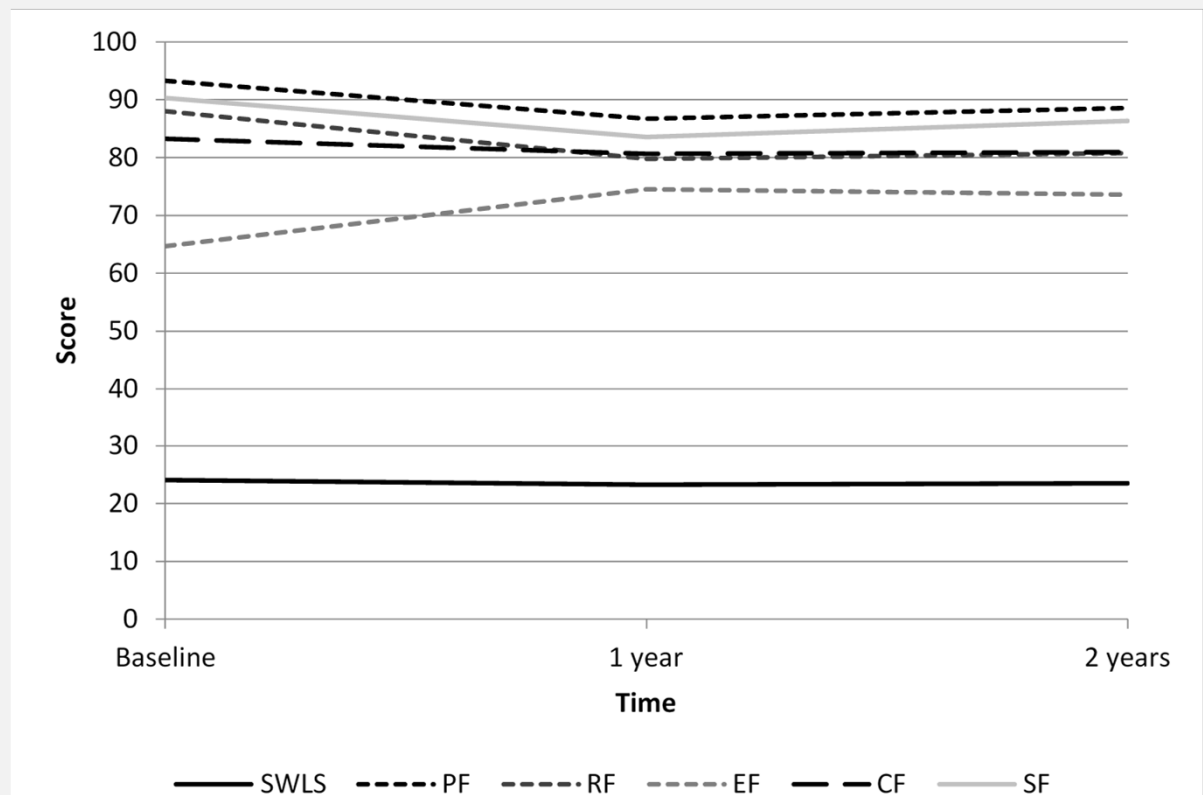
I am able to do all of the things that make me feel valued
I am able to do many of the things that make me feel valued
I am able to do a few of the things that make me feel valued
I am unable to do any of the things that make me feel valued

- Index de capacités obtenus à partir de mesures des préférences ([Coast et al., 2008](#)) voire du bien-être subjectif ([Himmler et al., 2020](#))
 - Différent de l'esprit originel de l'approche de Sen ([Karimi et al., 2016](#)), brouille le message sur le sens (et les raisons) de l'approche
- SWB et capacités perçues différent-ils ?
 - Semblent se référer à des concepts différents : différences dans les liens avec les dimensions de la qualité de vie ([Tessier et Thuilliez, 2018](#))

1) Adaptation au cancer ?

- Un diagnostic de cancer change-t-il l'importance des dimensions de la qualité de vie ? ([Tessier et al., 2017](#))
 - Lié au concept de « reprioritization response shift » ([Sprangers & Schwartz, 1999](#))
- Données
 - Etude ELCCA : 215 femmes avec diagnostic de cancer du sein, âge moyen = 53 ans, suivies durant 2 ans
 - 3 Mesures : mois du diagnostic, + 1 an, + 2 ans (627 obs.)
- Variables
 - QdV santé : dimensions du QLQ-C30 ([Aaronson et al., 1993](#))
 - Satisfaction with life scale, SWLS ([Diener et al., 1985](#))
 - Variables sociodémographiques : Age, statut matrimonial, situation financière perçue, niveau éducation
- Estimations de modèles à coefficients aléatoires

Qualité de vie sur 2 ans



Corresponding numerical values

Scale	Baseline mean (s.d.)	At one year mean (s.d.)	At two years mean (s.d.)
Satisfaction with Life (SWLS)	24.1 (7.1)	23.3 (6.9)	23.5 (6.9)
QLQ-C30 functional scales			
Physical functioning (PF)	93.3 (10.2)	86.7 (11.8)	88.6 (11.0)
Role functioning (RF)	88.0 (21.5)	79.8 (22.0)	80.8 (22.9)
Emotional functioning (EF)	64.7 (23.3)	74.5 (21.2)	73.6 (22.2)
Cognitive functioning (CF)	83.3 (22.0)	80.6 (22.2)	81.0 (20.3)
Social functioning (SF)	90.3 (18.5)	83.6 (22.2)	86.3 (19.1)

Repriorisation face au cancer

La dimension sociale de la QdV acquiert plus d'importance à 2 ans du diagnostic de cancer du sein

Variable	Level	Estimate	Standard Error	P-value*
Intercept		14.6993	10.0296	0.1443
Time	1 year	-0.7047	3.7451	0.8510
	2 years	-3.4881	4.2996	0.4185
<i>HRQol scales QLQ-C30</i>				
Physical functional (PF)		0.0725	0.0421	0.0870
Emotional functional (EF)		0.0527	0.0182	0.0043
Role functional (RF)		0.0029	0.0214	0.8910
Social functional (SF)		-0.0403	0.0266	0.1320
Cognitive functional (CF)		0.0107	0.0216	0.6200
<i>Sociodemographic characteristics</i>				
Age at baseline		-0.2670	0.3654	0.4660
Age squared		0.0026	0.0036	0.4655
Education	high school	1.6957	0.7754	0.0303
Having a partner	yes	5.0574	1.0505	<0.0001
Financial situation	high	3.6917	1.6858	0.0301
INTERACTIONS BETWEEN TIME AND FUNCTIONAL SCALES				
Time * PF	1 year	-0.0912	0.0523	0.0832
Time * PF	2 years	-0.0457	0.0557	0.4132
Time * EF	1 year	0.0248	0.0239	0.3011
Time * EF	2 years	0.0010	0.0250	0.9684
Time * RF	1 year	0.0486	0.0289	0.0942
Time * RF	2 years	0.0120	0.0289	0.6795
Time * SF	1 year	0.0347	0.0308	0.2611
Time * SF	2 years	0.0869	0.0321	0.0075
Time * CF	1 year	-0.0161	0.0263	0.5429
Time * CF	2 years	-0.0249	0.0278	0.3730

2) Adaptation santé-vieillessement ?

- Constat d'une courbe en U du SWB selon l'âge
- Le vieillissement est-il associé à une réduction de l'importance de la mauvaise santé ? ([Bussière et al., 2021](#))
- Données
 - Vagues 2 à 6 de SHARE (« Survey of Health, Ageing and Retirement in Europe »), adultes de 50 ans et +, 11 pays
- Variables
 - SWB Cognitif : satisfaction liée à la vie
 - SWB Affectif : 2 index des affects positifs et négatifs
 - SWB Eudémonique : CASP-12 avec dimensions Control, Autonomy, Self-realization and Pleasure
 - Santé auto-déclarée (mauvaise santé)
- Estimation de modèles à effets fixes

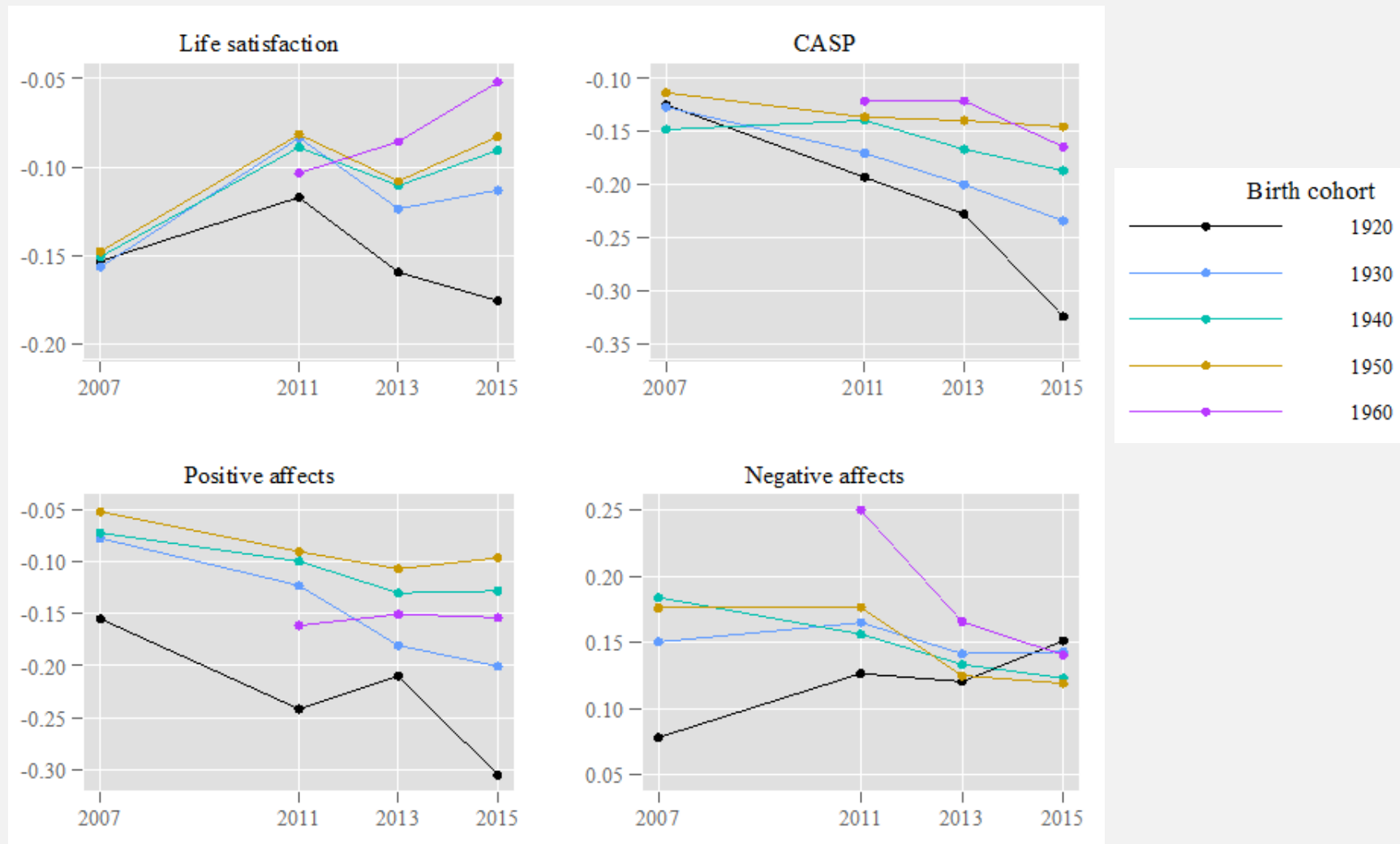
Santé et vieillissement

Dep. Var.	Cognitive WB	Eudaimonic	Affective WB	
	Life Sat.	WB CASP	Positive	Negative
Health				
Poor SRH (predicted)	-0.140***	-0.122***	-0.084***	0.157***
Health x Wave 2	Ref.	Ref.	Ref.	Ref.
Health x Wave 4	0.053***	-0.028***	-0.032***	0.008
Health x Wave 5	0.024***	-0.047***	-0.058***	-0.024***
Health x Wave 6	0.042***	-0.074***	-0.067***	-0.028***
Living alone	-0.127***	-0.000	-0.074***	0.121***
Retired (not at work)	-0.025**	0.030***	0.002	0.004
Social participation	0.046***	0.071***	0.042***	0.023***
Difficulties in making-ends-meet	-0.155***	-0.244***	-0.065***	0.050***
Time fixed effects				
Wave 2	Ref.	Ref.	Ref.	Ref.
Wave 4	0.101***	0.006	-0.064***	-0.011
Wave 5	0.019**	0.041***	-0.035***	-0.201***

Note: Panel FE estimates. * p<.1, ** p<.05, *** p<.01. t statistics in parentheses.

Santé et vieillissement

Les résultats dépendent de la mesure du bien-être considérée et ne sont pas monotones avec l'âge



3) Impact des maladies chroniques

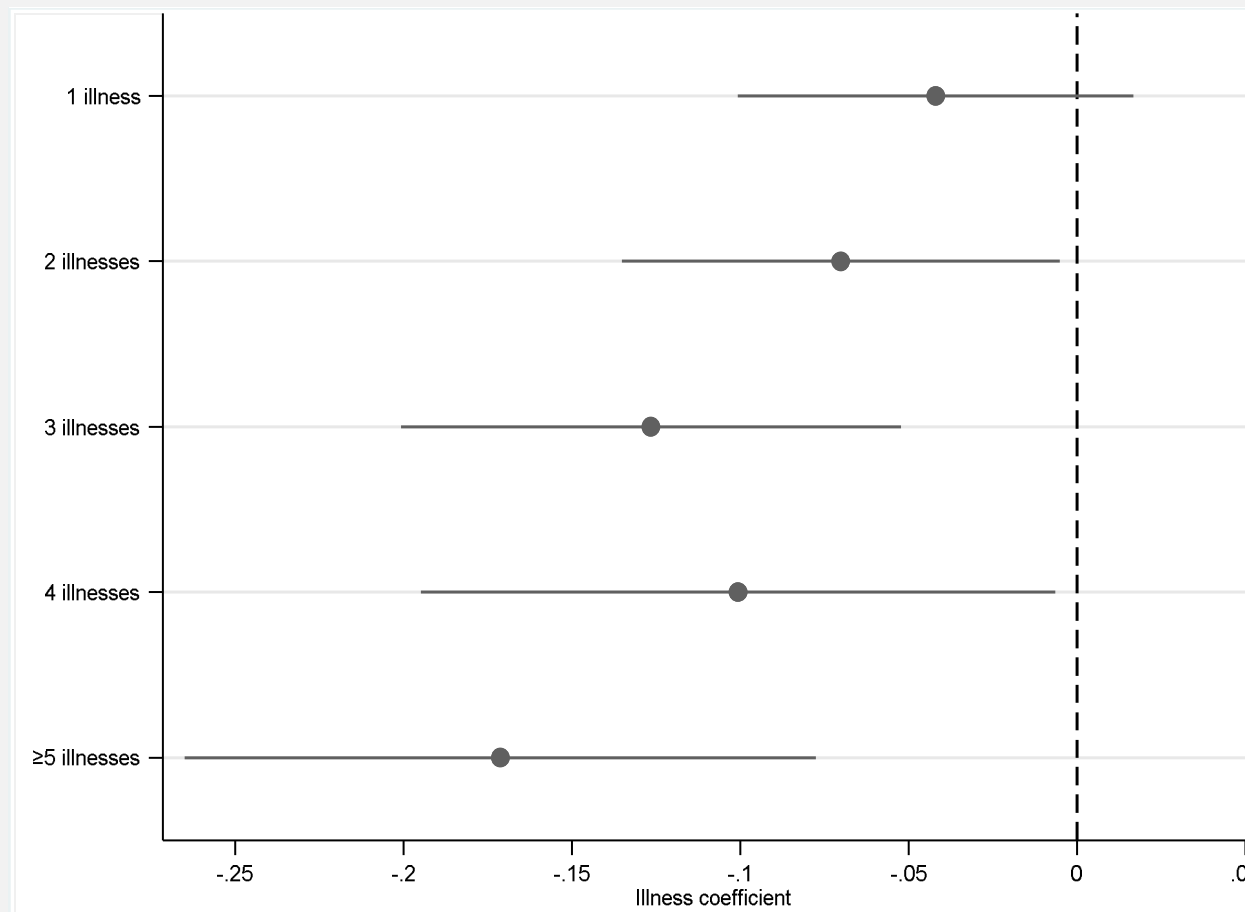
- Les mesures basées sur les préférences (EQ-5D, SF-6D) capturent-elles tous les effets des maladies chroniques ?
 - Dans le cas négatif, cela pose la question de leur pertinence pour les évaluations économiques en santé
- Revue de la littérature : résultats contrastés
 - Non ([Böckerman et al., 2011](#); [Chen & Olsen, 2022](#))
 - Oui ([Wu et al., 2014](#))
 - Oui ou non, cela dépend de la mesure ([Richardson et al., 2015](#))
- 2 aspects non étudiés ([Tessier et Wolff, 2024](#))
 - Estimation de l'importance des effets directs et indirects (via mesure de la QdV) de la maladie chronique sur le SWB
 - Effets de la multimorbidité (cas le plus fréquent)

L'impact des maladies chroniques

- Enquête handicap santé de 2008
 - France : 10 662 personnes interrogées
 - Anxiété et dépression souvent associées à une autre condition chronique (cohérent avec les constats internationaux)
- Variables
 - Maladies chroniques (MC) auto-déclarées
 - Index SF-6D (pondérations anglaises)
 - Satisfaction liée à la vie (1 question)
- Stratégie d'analyse
 - Analyse de médiation pour distinguer l'effet direct des MC sur la satisfaction de l'effet indirect (via SF-6D)
 - Une régression pour la variable de médiation (SF-6D) et une régression pour la variable d'intérêt (SWB)

Effet multi-morbidité

Modèle probit ordonné de la satisfaction



Effets direct et indirect de la maladie

Mediation analysis of mental and other chronic illnesses on happiness, with SF-6D as mediator

Variables		Direct effect	Indirect effect	Total effect
Panel A. All [N=10,662]				
Other illness only	coefficient	-0.061**	-0.089***	-0.151***
	t-value	(-2.01)	(-3.90)	(-5.73)
	%	40.7%	59.3%	100.0%
Mental illness only	coefficient	-0.373***	-0.241***	-0.615***
	t-value	(-3.34)	(-2.79)	(-7.44)
	%	60.8%	39.3%	100.0%
Mental and other illnesses	coefficient	-0.279***	-0.501***	-0.781***
	t-value	(-4.83)	(-10.08)	(-20.80)
	%	35.8%	64.2%	100.0%
Panel B. Men [N=4,557]				
Other illness only	coefficient	-0.012	-0.174***	-0.187***
	t-value	(-0.25)	(-4.64)	(-4.71)
	%	6.6%	93.4%	100.0%
Mental illness only	coefficient	-0.572***	-0.013	-0.585***
	t-value	(-3.37)	(-0.11)	(-4.84)
	%	97.7%	2.3%	100.0%
Mental and other illnesses	coefficient	-0.358***	-0.455***	-0.813***
	t-value	(-3.28)	(-5.24)	(-11.99)
	%	44.0%	56.0%	100.0%
Panel C. Women [N=6,105]				
Other illness only	coefficient	-0.051	-0.068**	-0.119***
	t-value	(-1.29)	(-2.14)	(-3.31)
	%	43.1%	56.9%	100.0%
Mental illness only	coefficient	-0.183	-0.437***	-0.620***
	t-value	(-1.19)	(-3.40)	(-5.32)
	%	29.5%	70.5%	100.0%
Mental and other illnesses	coefficient	-0.284***	-0.464***	-0.748***
	t-value	(-4.07)	(-7.99)	(-15.59)
	%	38.0%	62.0%	100.0%

Conclusion

- Le bien-être subjectif donne une autre image de l'impact des maladies que les QALYs
 - L'importance des dimensions de la qualité de vie change en cas de maladie
 - L'importance de la santé pourrait changer tout au long de la vie
 - Les outils les plus courants (EQ-5D, SF-6D) pour estimer les QALYs ne capturent pas nécessairement tous les effets des maladies chroniques
- Quelles implications potentielles pour l'évaluation économique ?
 - Reconstruire les QALYs avec des poids SWB ? ([Fujiwara et Dolan, 2014](#))
 - Utiliser le SWB pour identifier des « bolt-on » ? ([Chen et Olsen, 2020](#))
 - Substituer des WELLBYs aux QALYs ?
 - Des alternatives aux QALYs dans les analyses de sensibilité ?
- Mais quelle mesure du SWB utiliser ? Comment établir le « 0 » ?

Merci de votre attention