

Vers une culture de l'évaluation économique des produits de santé par les politiques publiques ?

Dans certains pays, notamment le Royaume-Uni, l'évaluation économique est reconnue et intégrée à la politique de santé.

En France, en revanche, la doctrine officielle en matière de remboursement et de tarification des biens de santé n'y fait guère référence.

On évoque souvent la faible crédibilité des études. Le refus de l'évaluation économique conduit cependant à des impasses et à des incohérences. Une prise de conscience s'impose.

par **Claude Le Pen**,
Université Paris-Dauphine

L'évaluation économique des biens de santé n'est rien d'autre que l'application des techniques de calcul économique - habituellement utilisées pour l'évaluation des investissements publics - aux décisions de prix, de remboursement et d'utilisation des biens de santé pris en charge par l'assurance maladie et bénéficiant donc à ce titre d'un financement collectif. Son cadre méthodologique est celui de

l'analyse coût-bénéfice, elle-même issue de la théorie normative de la décision publique (1), dont le principe simple et intuitif consiste à recommander l'adoption des projets dont le bénéfice pour la collectivité l'emporte sur le coût... L'application de ce principe, banale dans le secteur privé - la plupart des agents l'adopte spontanément - l'est beaucoup moins dans le secteur public où la décision est souvent soumise à des logiques politico-administratives dont on ne peut être certain *a priori* qu'elles servent l'intérêt général. L'évaluation économique établit ainsi des règles contraignantes et normatives de calcul d'une « bonne » décision publique.

Les principes de l'analyse et leur transcription dans la pratique

L'analyse doit prendre en compte l'intégralité des coûts et des bénéfices, dits « sociaux » et non uniquement ceux qui incombent directement aux parties contractantes. Elle doit envisager les retombées sur les tiers, ce qu'on appelle en langage technique les « externalités » (2), qui seraient exclues d'un calcul « privé ».

Elle doit, en outre, envisager les conséquences à long terme des décisions et s'inscrire dans un horizon de temps défini par un taux d'actualisation social (*social rate of discount*) exprimant l'arbitrage que la collectivité opère entre un sacrifice présent et un bénéfice futur. L'horizon de temps de la décision publique n'est en effet pas nécessairement le même que celui de la décision

privée tel que le reflète la structure des taux d'intérêt du marché financier.

L'analyse doit aussi intégrer les coûts et bénéfices non monétaires, ce qui est particulièrement important pour des décisions affectant la santé (ou l'environnement) dont les principaux bénéfices se mesurent en quantité de biens pour lesquels il ne saurait exister de valorisation par le marché, par exemple les années de vie gagnées grâce à une intervention médicale coûteuse.

L'analyse doit enfin expliciter les éléments du calcul, de manière à permettre le contrôle démocratique de la décision.

Ces principes ont fait l'objet de plusieurs tentatives de transcription dans la pratique, au-delà du secteur sanitaire. La plus générale et la plus aboutie en ce qui concerne la France, a été, au début des années 70, l'implantation - ou la tentative d'implantation - de la démarche dite de « rationalisation des choix budgétaires » (RCB). Il s'agissait, à l'initiative du Président de la République de l'époque (Georges Pompidou) et de son ministre de l'Économie et des Finances (Valéry Giscard d'Estaing), de rendre l'action de l'État plus efficace et la sortir du cadre étroit du budget annuel d'un département ministériel. La RCB devait

(1) Voir, par exemple, Drèze J. et Stern N., *The Theory of Cost-Benefit Analysis*, in *Handbook of Public Economics*, Vol. 2, Auerbach A.J. et Feldstein M. (eds.), Elsevier Science, Amsterdam, 1987.

(2) Les externalités peuvent être positives (par exemple les effets de la vaccination sur les personnes qui ne se vaccinent pas) ou négatives (par exemple les effets sur l'emploi d'une mesure de déremboursement d'un médicament produit en France).

produire des plans pluriannuels et interministériels, poursuivant des objectifs explicites et quantitatifs et comportant les mesures sélectionnées pour leur contribution à l'atteinte de ceux-ci. Les résistances administratives et l'accroissement d'incertitude imputable au choc pétrolier de 1974 ont eu raison d'une démarche qui a connu cependant de notables succès : deux programmes sont notamment restés célèbres, le premier portant sur l'amélioration de la sécurité routière et l'autre sur la réduction de la mortalité périnatale.

Après une période d'oubli relatif, l'évaluation économique a refait surface dans les années 90, plus spécialement dans certains secteurs, comme la santé et l'environnement, où le besoin de rationalisation et de planification des politiques publiques se fait particulièrement sentir, en raison précisément de l'importance des bénéfices et coûts sociaux, de la longueur de la perspective temporelle et de l'ampleur des effets non marchands. Dans le domaine de la santé, on ne compte plus, depuis une dizaine d'années, les études de type coût-efficacité, coût-utilité ou coût-bénéfice (3) portant sur les technologies médicales, et tout particulièrement sur les biens de santé, médicaments et dispositifs médicaux.

Une initiative du secteur privé

Contrairement aux années 70, l'initiative d'une évaluation économique dans le domaine de la santé est venue du secteur privé. Ce sont en effet les industriels de la santé (médicaments et dispositifs médicaux) qui ont promu l'évaluation économique dans l'objectif de convaincre les autorités de tutelle d'accorder à leurs produits les prix qu'ils demandaient, de les admettre au remboursement ou encore d'en approuver l'usage dans le cadre des recommandations de pratiques cliniques qui structurent de plus en plus la pratique médicale. Les industriels entendaient démontrer qu'il n'existait pas de contradiction entre leurs intérêts privés et l'intérêt collectif, dans la mesure où le bénéfice médical que la collectivité tirait de produits innovants compensait

largement le sacrifice consenti par l'octroi de prix rémunérateurs. Tel était - tel est encore souvent

- le but des études d'évaluation économique.

De très nombreuses travaux, financés par des industriels, ont ainsi été réalisés par des équipes universitaires ou des cabinets de consultants, donnant naissance à une véritable discipline académique avec ses concepts, ses manuels (4), ses diplômes, ses experts, ses congrès. Des revues scientifiques spécialisées, comme *PharmacoEconomics*, *Value in Health* ou *Medical Decision Making*, se sont développées à côté des grandes revues médicales traditionnelles qui ont également ouvert leurs colonnes à ces articles. Dans la plupart des grands pays occidentaux des groupes de travail ont publié des guides méthodologiques afin d'harmoniser les méthodes et d'accroître la crédibilité des résultats. En France, la principale société savante d'économie de la santé, le Collège des économistes de la santé (CES), a publié en 2003 un important document réalisé par une trentaine d'experts coordonnés par Gérard de Pourville et Emile Lévy qui actualisait une version antérieure de 1997 (5). Le CES assure en outre la maintenance de bases de données bibliographiques d'évaluation économique pour la France (base CODECS) et pour l'Europe (base EURONHEED) qui sont accessibles en ligne, à travers le site de l'INSERM pour ce qui concerne la première (6).

Des reconnaissances diverses selon les pays

Face à ce mouvement, la réaction des instances de régulation a été diverse. Dans certains pays, notamment le Royaume-Uni, l'évaluation économique a été reconnue officiellement et s'est rapidement intégrée à la politique de santé. L'origine des études n'a pas fait obstacle à la prise de conscience que, dans leur principe, et sous réserve d'analyse critique, elles pouvaient

aider à la qualité de la décision collective.

Le *National Institute for Clinical Excellence* (NICE) créé en 1999 pour « promouvoir l'excellence clinique et l'usage efficace

des ressources » au sein du système de santé britannique (NHS), y a explicitement recours. Certaines de ses recommandations négatives, par exemple sur l'usage des interférons dans la sclérose en plaques, ont été motivées, non par l'absence d'efficacité des traitements, mais par le fait que leur coût paraissait trop élevé au regard du bénéfice clinique. Tel est, en effet, une des conséquences du « faut-il encore que le coût du traitement soit proportionné à ce bénéfice ! ». Les spécialistes britanniques discutent intensément du seuil d'acceptabilité. La valeur actuellement retenue, mentionnée dans divers documents, est de l'ordre de £ 30 000 par année de vie sauvée. NICE déconseillera donc un traitement dont le coût actualisé, calculé sur toute la durée de vie des patients et ramené au gain de survie qu'il procure (7), est supérieur à ce seuil. Cela correspondrait, dans la logique du calcul économique, à un usage inefficace des ressources, les sommes consacrées à un tel traitement pouvant être plus utilement allouées à d'autres maladies ou à d'autres patients où le bénéfice serait supérieur.

Si le NICE britannique est sans conteste l'institution publique qui a été le plus

(3) Ces trois types d'étude diffèrent par la manière dont sont comptabilisés les effets non marchands. Ils sont traités en « unités naturelles » (années de vie sauvées par exemple) dans les études coût-efficacité, en indicateur de bien-être des patients dans les études coût-utilité et ils sont monétarisés dans les études coûts-bénéfices. Cela a une influence sur l'interprétation des résultats dont l'exposé sort du cadre du présent article. Cf. par exemple M. Drummond, B. O'Brien, G. D. Stoddart et G. Torrance : *Methods for the economic evaluation of health care programs*, 2^e ed., Oxford University Press, Oxford, 1997.

(4) La référence est toujours M. Drummond et alii, op. cit.

(5) Le texte, en français en anglais, est disponible sur le site du CES : <http://www.ces-asso.org>.

(6) <http://www.inserm.fr/codecs>

(7) La méthode recommandée par le NICE, celle des Quality Adjusted Life Years (QALYs), permet de ramener à des gains nets de survie l'ensemble des effets des traitements, y compris ceux qui jouent sur la morbidité et sur la symptomatologie, et non directement sur la mortalité.

loin dans l'intégration du point de vue économique à la décision publique, d'autres pays semblent prêts à suivre l'exemple : les Pays-Bas ont ainsi annoncé que les études d'évaluation économique deviendront obligatoires à partir de 2006 pour le remboursement de certains biens de santé notamment les plus coûteux. En Allemagne, en Scandinavie, des réflexions en ce sens sont en cours.

En France en revanche, la doctrine officielle en matière de remboursement et de tarification des biens de santé n'y fait guère référence, même si un groupe d'experts a été créé au sein de l'Agence du Médicament pour effectuer des analyses critiques des études soumises par les industriels.

On évoque souvent, pour expliquer ce désintérêt, les limites techniques des études : elles seraient faiblement crédibles ; elles reposeraient sur de nombreuses hypothèses et extrapolations ; les méthodes ne seraient pas assez robustes notamment en raison du recours fréquent à la modélisation ; des indicateurs de mesure du bénéfice clinique comme les fameux QALYs recommandés par le NICE seraient trop sommaires ; les données de coût trop fragiles ; les résultats obtenus dans certains pays guère transposables à la France, etc.

Ces objections techniques ne sont généralement pas décisives et pourraient aisément trouver des réponses techniques. On ne voit pas pourquoi au demeurant une méthode de calcul du bénéfice médical pourrait être considérée comme valide en Grande-Bretagne et aux Pays-Bas et pas en France. Une autre objection - pas davantage convaincante - tient au manque de contre-expertise et à l'absence de formation des décideurs publics. Si les pouvoirs publics étaient convaincus de l'utilité de l'évaluation économique des biens de santé, ils mettraient en place les institutions et les méthodes d'analyse nécessaires. Ce même raisonnement s'applique également à l'objection la plus courante, selon laquelle les études d'évaluation ne sont pas crédibles car le

plus souvent financées par les industriels. Mais cela est vrai partout et n'empêche guère le NICE britannique de procéder à de très rigoureuses contre-expertises. Pourquoi ne pourrait-il pas en être de même en France ?

On fait également ressortir qu'il est légitime que des facteurs autres que l'efficacité interviennent dans la fixation du prix, par exemple la taille du marché, le prix des produits concurrents ou les objectifs macro-économiques de croissance des dépenses de santé. C'est exact, mais rien n'empêche de les intégrer alors explicitement au calcul de la décision optimale.

Une logique française particulière

La vraie raison du peu d'engouement pour les méthodes de l'évaluation économique dans notre pays n'est pas technique, ni même politique, mais culturelle. Nous avons en France - comme d'ailleurs dans les autres pays latins - une difficulté à admettre que le bénéfice médical d'un traitement, d'une part, et son coût économique, d'autre part, puisse être mis en balance.

La logique française se refuse, au moins officiellement, à des arbitrages de ce genre, qui constituent le cœur et la raison d'être de l'évaluation économique. Elle a recours, dans la législation comme dans la pratique institutionnelle, à un processus dichotomique, qui sépare le temps de la décision médicale, prise ou recommandée par une commission d'experts sans compétence économique, et le temps de la décision économique qui est l'apanage d'une commission administrative dépourvue de compétence médicale. Tel est le modèle qui régit aussi bien le médicament que les dispositifs médicaux. En ce qui concerne le médicament, la commission d'expertise médicale est la « Commission de transparence » rattachée depuis le 1^{er} Janvier 2005 à la Haute Autorité en Santé (HAS) créée dans le cadre de la

récente réforme (loi du 13 août 2004). En ce qui concerne les dispositifs médicaux, c'est la « Commission d'Évaluation des Produits et Prestations de Santé » (CEPP) également rattachée à la HAS. Ces deux commissions sont chargées d'évaluer le « Service Médical Rendu » par les biens de santé en dehors de tout critère économique. Il revient ensuite au « Comité Économique des Produits de Santé » (CEPS), une instance interministérielle sise au Ministère de la Santé, d'en fixer les tarifs au terme d'une négociation purement commerciale avec les fabricants.

La discussion parlementaire en août 2004 à l'occasion de la création de la Haute Autorité en Santé, a bien fait ressortir cette doctrine en n'accordant à cette dernière qu'une mission « scientifique », c'est-à-dire excluant toute considération économique. Le marchandage, le *trade-off*, entre efficacité et coût, qui constitue pourtant le fondement de la rationalité économique, est explicitement banni de la représentation française de la décision publique en matière de santé. Il est au contraire au cœur du mode de décision du NICE britannique.

Cette opposition a des conséquences pratiques. Le modèle français est sans doute moins restrictif que le modèle britannique. Tout traitement, pourvu qu'il rende un « service médical » suffisant, peut revendiquer une prise en charge, indépendamment de toute considérations de prix. Il revient ensuite à l'Etat d'obtenir ou d'imposer le prix qui lui semble compatible avec les équilibres financiers de la Sécurité Sociale. Le prix peut, certes, être d'autant plus élevé que l'apport médical est important. Mais rien n'y oblige l'Etat et la relation reste aléatoire.

Moins restrictif, le modèle français est sans doute également moins efficient sur le plan économique. C'est-à-dire qu'il ne garantit sans doute pas le meilleur résultat collectif au meilleur coût. Si la décision finale de tarification d'un bien de santé s'avérait économiquement efficiente - ce qui est fort possible - cela résulterait des hasards d'une négociation de prix dont l'issue est toujours contingente, et non de la logique intrinsèque du processus insti-

tutionnel de prise de décision. L'efficacité est possible mais le processus de décision n'est pas construit pour la produire.

La France devant « l'heure des choix »

Cette méfiance à l'égard de l'évaluation économique s'accorde bien au discours politique qui, de manière constante, a toujours refusé l'idée d'opérer des choix économiques dans les prises en charge, assimilant à tort l'idée de choix à celle de « rationnement ». Elle s'accorde également à une certaine conception de la décision publique qui n'entend pas laisser grignoter son autonomie par des études normatives. Elle s'accorde enfin avec une tradition intellectuelle qui a du mal à considérer l'économie comme une science et l'économique comme une réalité

objective. Pour le peuple de juristes que nous sommes, l'économie, en tant que science comme en tant que réalité, n'est au fond que politique... L'objectivation de ses lois et mécanismes ne serait qu'illusion, au pire idéologie !

Bien entendu, le refus ou l'ignorance de l'évaluation économique expose à des impasses. Elle conduit à des incohérences quand certains produits comme le Viagra®, incontestablement « utiles » médicalement, ne sont pas pris en charge pour des raisons financières, au mépris donc de la doctrine officielle. Elle conduit à l'impuissance quand demain les possibilités de financement de tous les biens et services médicaux « utiles » auront été épuisées. Il faudra bien alors se mettre

à « l'heure des choix » et les meilleurs choix, du point de vue de l'efficacité comme de celui de l'équité, seront des choix fondés, explicitement ou non, sur les méthodes d'évaluation économique précisément conçue dans cette perspective. La doctrine française nous prépare mal à cette échéance qui est pourtant proche si l'on en croit les conclusions de l'excellent rapport qu'a produit le Haut Conseil pour l'avenir de l'assurance maladie et qui appelait précisément à une double prise de conscience : celle de la nécessité des choix et celle de l'importance de l'efficacité comme critère de gestion du système de santé. ●

Moins restrictif, le modèle français est sans doute également moins efficace sur le plan économique

