



Quelles méthodes pour (mieux) intégrer la dimension sociale et éthique dans les décisions publiques en matière de santé ?

Premier atelier

L'évaluation des aspects éthiques à la Haute Autorité de Santé

20 juin 2013, Bruxelles

Le contexte (Lise Rochaix, membre du Collège de la HAS)

La Haute Autorité de Santé (HAS) est une instance indépendante qui a été créée en France afin de contribuer au renforcement de la qualité des soins au bénéfice des patients et au maintien d'un système de santé solidaire et équitable. La HAS est notamment chargée d'émettre des avis destinés à éclairer la décision publique en matière de santé.

Dans son souci de documenter les conséquences des décisions publiques en santé, la HAS adopte une approche élargie de type 'full HTA' qui ne se limite pas à évaluer une intervention en termes de balance bénéfices/risques mais qui prend également en compte d'autres aspects tels que les dimensions économiques, éthiques ou sociologiques. Ainsi, la Commission d'Évaluation économique et de santé publique (CEESP) de la HAS, que préside Lise Rochaix, est un organe multidisciplinaire qui regroupe une trentaine d'experts issus d'horizons très variés : économistes, cliniciens, épidémiologistes, spécialistes en santé publique, en sciences humaines et sociales, représentants d'associations de patients et d'utilisateurs du système de santé. La CEESP émet des recommandations qui, selon le contexte, peuvent avoir ou non un caractère réglementaire.

Le guide consacré à l'évaluation des aspects éthiques complète deux précédentes publications qui portaient sur l'évaluation de la dimension sociale (2009) et de la dimension économique (2011). Ces documents doivent aider les membres de la CEESP à s'approprier des matières qui sont souvent d'une grande complexité et améliorer ainsi la qualité de leurs travaux. Mais le guide d'évaluation des aspects éthiques poursuit aussi un objectif plus ambitieux, au-delà des besoins de la Commission : inciter tous les décideurs et les acteurs concernés à prendre en compte les questions éthiques à un stade aussi précoce que possible et à les intégrer dans leur réflexion de manière systématique et rigoureuse. Trop souvent, en effet, la préoccupation éthique est invoquée tardivement, en fin de parcours, ou dans un esprit opportuniste, quand cela arrange certains acteurs. Le guide propose au contraire des règles claires pour repérer et analyser les enjeux éthiques que peut soulever une intervention, pour identifier les éventuels conflits de valeurs qu'ils recouvrent et pour mettre en évidence les conséquences des différents choix qui s'offrent aux décideurs. Cependant, il n'a pas vocation à prendre position sur ces questions ou à hiérarchiser les principes qui sont en jeu : le but est uniquement d'éclairer le débat avec le maximum d'impartialité.

Présentation du guide (Cléa Sambuc, chef du projet)

La place de l'éthique

Le guide, comme les deux publications précédentes, résulte de la volonté de la HAS de développer l'évaluation des différentes dimensions du service rendu à la collectivité. Il s'agissait donc de définir les méthodes les plus appropriées pour évaluer les enjeux à la fois économiques, éthiques et sociaux d'une décision, en approfondissant la question des préférences ou des jugements de valeur collectifs qui dictent les représentations sociales dans le champ de la santé. Toute cette réflexion s'inscrivait aussi dans un contexte international, avec le développement de l'évaluation de type full-HTA et la publication des trois documents du Core Model de l'EUnetHTA. Ce Core Model propose plusieurs méthodes, mais laisse les agences libres de choisir celles qui correspondent le mieux à leurs besoins.

Il est clair que ces différentes dimensions ne doivent pas être juxtaposées, mais intégrées en un tout dans lequel elles apportent des éclairages complémentaires. Les commissions et le Collège de la HAS ont précisément pour tâche d'assurer ce dialogue et de mettre en regard les différents registres de l'évaluation à travers leurs avis et conclusions. La méthode doit faciliter cette articulation en repérant en amont les sujets pour lesquels il pourrait être opportun d'inclure la dimension éthique et en présentant un état des lieux impartial de ces enjeux éthiques pour qu'ils puissent être pris en considération dans l'élaboration des conclusions.

Il est donc important de souligner que le guide est un outil pratique et opérationnel qui est lié aux productions de la HAS. Certains choix méthodologiques ont été dictés par des contraintes spécifiques à la HAS en termes de missions, de moyens et d'expériences. Le guide n'a pas pour vocation première de proposer une vision de l'éthique au niveau universel, même si ce travail est un point de départ qui pourra être enrichi par d'autres expériences.

Structure du guide

La première partie du guide rappelle ce contexte, situe la portée de ce document et retrace le processus d'élaboration du guide. Celui-ci a commencé par un séminaire international, organisé en juin 2011 (« *Ethics in HTAs : when and how ?* »), qui a permis de dresser un panel des méthodes disponibles pour documenter les aspects éthiques dans les questions de santé. Lors de la présentation d'une première version du guide, en mars 2012, la question s'est posée de savoir comment la faire valider et susciter des réactions. Le recours à un groupe de lecture a été préféré à la consultation publique parce qu'il permettait aussi un retour sur la méthode elle-même. La pertinence de la méthode était en effet une question centrale. Un groupe de lecture d'environ 25 membres a ainsi été constitué, avec une forte présence de philosophes et d'éthiciens, mais aussi des représentants d'autres disciplines des sciences sociales (sociologues, juristes, anthropologues...) afin d'avoir le retour le plus large possible. Les discussions au sein de ce groupe ont donné lieu à des échanges d'une grande richesse. Une synthèse des commentaires formulés par le groupe de lecture figure en annexe du guide. Elle esquisse une série de prolongements possibles et intéressants à mentionner au-delà de ce travail.

La deuxième partie est consacrée à la méthode d'évaluation proprement dite. Celle-ci se décline en deux temps : comme il n'est ni pertinent, ni possible d'intégrer les aspects éthiques de façon systématique dans l'ensemble des évaluations de la HAS, il faut d'abord repérer les évaluations qui soulèvent de tels enjeux ; ensuite, une fois qu'un sujet a été retenu, il faut déterminer comment prendre en compte cette dimension éthique.

La méthode de repérage

Comme on l'a dit, il est essentiel que le repérage des sujets qui soulèvent des controverses éthiques intervienne à un stade précoce (dès la phase du 'cadrage', dans la procédure de la HAS) pour ne pas que l'éthique soit invoquée tout en fin de processus et souvent de manière

opportuniste. En outre, il est évident que l'intégration d'une nouvelle dimension va inévitablement avoir des répercussions concrètes sur le délai du projet et les moyens à y consacrer.

La méthode propose des critères de repérage à partir de trois entrées différentes :

- en fonction des caractéristiques de l'intervention : celle-ci fait-elle l'objet de dispositions dans les lois de bioéthique ? Vise-t-elle des personnes en situation de vulnérabilité ou dont le consentement est difficile à obtenir (comme des populations d'enfants ou de personnes atteintes de déficience mentale) ? S'agit-il d'un processus d'innovation qui peut être qualifié de révolution thérapeutique (auquel cas on peut supposer que cette innovation soulève aussi de nouveaux enjeux éthiques) ? L'évaluation de ses conséquences implique-t-elle des difficultés particulières (par exemple dans le cas de la transplantation d'organes de donneurs vivants, qui oblige à prendre en considération l'intérêt de plusieurs parties) ? Touche-t-elle une population ciblée et pose-t-elle dès lors des questions en termes d'inégalités, de discrimination ou de sélection génétique ? Est-elle susceptible de soulever un conflit entre les préférences individuelles et l'intérêt de santé publique ?
- en fonction de l'existence d'un conflit potentiel entre l'intervention et les droits fondamentaux. Une intervention est de nature à soulever des enjeux éthiques si elle peut être contestée au nom du respect de la dignité humaine (ce qui est le cas, par exemple, des questions qui touchent à la fin de la vie et à l'arrêt des soins), du respect de l'intégrité du corps humain (songeons entre autres à la stérilisation définitive ou au transsexualisme) ou au nom du respect de la liberté de choix (comme tout ce qui relève du dépistage obligatoire, où il y a un conflit entre les intérêts de santé publique et la liberté individuelle)
- en fonction de l'existence d'un débat éthique dans la littérature ou les médias, soit pour justifier l'intervention, soit pour remettre en cause sa légitimité. Dans le discours, ces débats peuvent être repérés par des appels à une série de principes : 'droit à la santé', solidarité, codes déontologiques, principe de précaution, liberté individuelle...

Ces critères ne sont pas exhaustifs ou discriminants et ils ne doivent pas remplacer la discussion. Ce sont de simples outils d'analyse qui peuvent aider à déterminer si une évaluation des aspects éthiques est opportune. Ce sera bien sûr d'autant plus le cas si l'intervention de santé répond à plusieurs de ces critères de repérage, mais d'autres éléments pourront aussi être pris en compte. Il se peut même qu'aucune de ces questions ne se pose et qu'il soit pourtant nécessaire de mener une évaluation des aspects éthiques (ou, à l'inverse, que des questions ne soient pas traitées parce qu'elles ont déjà été largement documentées).

Trois étapes

La méthode d'analyse des aspects éthiques s'articule autour de trois étapes :

1. L'identification des arguments éthiques soulevés par l'intervention de santé évaluée

Une revue de la littérature apparaît, en principe, comme le moyen le plus fiable et le plus scientifique pour identifier les arguments éthiques qui sont en présence. Cette revue de littérature est entendue dans un sens plus large que dans le cadre d'une évaluation des dimensions économiques ou médicales puisqu'on ne dispose pas toujours de critères pour sélectionner les articles les plus pertinents. Elle peut être systématique ou narrative. La première méthode est plus appropriée pour des questions qui ont déjà été bien balisées, comme le consentement informé, tandis que la seconde sera plutôt utilisée pour étudier des domaines novateurs étant donné qu'il s'agit d'une méthode plus large qui n'exclut aucun article à la base.

Cependant, l'identification effectuée sur cette seule base risque d'être incomplète. Le travail doit donc parfois être complété par deux autres axes de recherche pour être sûr de prendre en considération l'ensemble des arguments et de n'oublier aucune des parties prenantes : une identification théorique des arguments éthiques (par une transposition d'arguments qui ont déjà été utilisés dans un domaine similaire) et la consultation de groupes de travail et de lecture, voire une consultation publique.

2. La présentation pragmatique des enjeux

Comment présenter les arguments afin de les rendre intelligibles dans le rapport d'évaluation et de faire apparaître les principaux désaccords ? Le guide propose un cadre de référence fondé sur les quatre grands principes de Beauchamp et Childress (bienfaisance, non malfaisance, respect de l'autonomie et justice), définis de façon extensive. Ils ont l'avantage d'être largement diffusés et de permettre de canaliser la discussion éthique. Cependant, leur validité a parfois été remise en question, notamment dans le contexte français où on a plutôt tendance à parler en termes de dignité, d'intégrité et de vulnérabilité.

C'est pourquoi le guide laisse la possibilité de recourir à d'autres cadres de référence et de classer les arguments selon d'autres principes ou typologies. On pourra même choisir de structurer le cadre d'évaluation autour des enjeux du débat et des questions clés les plus fréquentes répertoriées dans le discours des acteurs, ce qui constitue en quelque sorte la démarche inverse. Ce type de cadre peut être adapté plus finement à la question posée, mais il demande davantage de temps et nécessite une expertise plus avancée puisqu'il oblige l'évaluateur à justifier de manière minutieuse comment il a construit son cadre.

3. La mise en exergue des principaux désaccords identifiés afin d'aider le décideur

Une fois les arguments répertoriés et classés, la troisième étape consiste à les confronter afin de mettre en évidence les principaux désaccords. Pour cela, l'évaluateur met en regard l'analyse éthique avec les conclusions des autres dimensions (médicale, économique, juridique, organisationnelle, sociologique...). Ceci permet d'éliminer certains arguments qui peuvent être considérés comme non légitimes. C'est le cas par exemple s'ils reposent sur une fausse croyance (comme des effets secondaires négatifs dont toute l'analyse médicale montre qu'ils ne sont pas avérés) ou s'ils sont fondés sur la position d'un groupe d'acteurs dont on s'aperçoit qu'il n'est pas représentatif.

Les conflits qui subsistent à l'issue de cette confrontation peuvent être qualifiés de "désaccords raisonnables" : à moins de pondérer, il n'y a aucun argument légitime pour estimer qu'une valeur l'emporte sur l'autre. La méthode s'arrête là : elle n'a pas pour vocation de prendre position, mais bien de rendre visibles ces nœuds de décision et ces tensions qui traversent la société. Le décideur pourra alors faire des choix éclairés en toute connaissance de cause, en sachant de quels impératifs il devra tenir compte pour justifier sa décision et quelles difficultés il risque de rencontrer en termes d'acceptation sociale.

Enfin, la méthode permet aussi de révéler la nature du conflit et de qualifier les désaccords au moyen d'une typologie, selon qu'ils portent sur la pondération entre différents principes, sur la définition d'un principe, sur l'analyse de faits différents ou sur la portée d'un principe. Le guide propose deux typologies sur les désaccords raisonnables, celle de Rawls et celle de Beauchamp et Childress.

En conclusion, le guide de la HAS propose donc une méthode fondée sur une approche pluraliste qui vise à rendre compte des débats éthiques sous forme de questionnements et sans les trancher, même si la HAS, elle, peut ensuite prendre position. Elle peut le faire sur des sujets inscrits dans

le cadre de son programme de travail annuel, après une saisine pouvant émaner de différents demandeurs, ou pour rendre des avis d'efficacité. Cette dernière procédure est cependant encore en phase expérimentale. En principe, elle consiste uniquement en une évaluation économique de médicaments ou de dispositifs médicaux, mais une réflexion a été entamée pour intégrer aussi d'autres dimensions, malgré les délais très courts (90 jours) qui sont prévus.

Quelques réflexions complémentaires (Jean-Claude Dupont, philosophe, membre de la CEESP)

En développant cette méthode, nous avons eu le souci d'éviter deux écueils : soit faire de l'éthique une chasse gardée des philosophes et des éthiciens en marginalisant d'autres approches (sociologiques, anthropologiques, psychologiques, juridiques...) des enjeux éthiques, soit en faire une boîte noire. Le guide a été une opportunité pour organiser un dialogue enrichissant entre diverses disciplines des sciences humaines et sociales.

Le guide répond aussi à une double contrainte. Comme la HAS est une institution qui fonde ses recommandations sur des évaluations qui ont une validité scientifique, il y avait d'abord une contrainte de scientificité. Il est intéressant de voir comment cette contrainte a été respectée, notamment au niveau des critères de repérage. Le guide ne se limite pas à des critères classiques et relativement objectifs, touchant aux caractéristiques de l'intervention ou au respect des droits fondamentaux, mais n'hésite pas à proposer une troisième catégorie de critères, plus contextuels. En effet, certains dossiers font l'objet d'une couverture médiatique importante ou d'un débat public, même s'ils ne soulèvent pas tellement de questions d'un point de vue strictement médical ou juridique. C'est aussi un élément factuel à prendre en compte par le décideur public et le guide énonce une série de critères qui permettent de repérer objectivement ces controverses dans le discours des acteurs.

L'autre contrainte, déjà évoquée, est la volonté affichée de ne pas conclure sur des sujets de bioéthique mais simplement d'éclairer les décideurs publics et de leur laisser une réelle latitude. Il s'agit bien d'impartialité et non d'une prétendue 'objectivité', c'est-à-dire d'un effort conscient pour respecter un équilibre entre les forces et les arguments en présence et pour éliminer des facteurs externes, comme le prestige de l'orateur, qui viennent perturber la symétrie du débat. Le mode de transmission des arguments en trois temps (identification/présentation/confrontation) répond par exemple à ce souci. Le guide s'inscrit dans une vision de la démocratie qui est définie comme un gouvernement par la discussion.

Il revient ensuite à certains acteurs, comme la Commission d'Évaluation économique et de santé publique ou le Conseil consultatif national d'éthique, d'arbitrer entre les différents aspects de l'évaluation. Non pas en disqualifiant d'office certains arguments ou en distribuant arbitrairement des bons et des mauvais points, mais en reconnaissant que, dans un contexte donné, il y a des arguments qui ont une force particulière et que les tenants de la position inverse ont donc une charge de preuve plus importante pour justifier leur position. C'est le cas par exemple en oncologie pédiatrique, où la question se pose souvent de savoir comment équilibrer le droit à l'autorité parentale et le bien-être de l'enfant. Une revue systématique de la littérature fait émerger un consensus pour estimer que, dans un tel contexte, le principe de bienfaisance doit l'emporter sur le principe d'autonomie de décision des parents vis-à-vis de leur enfant – alors qu'il n'en va pas de même avec des adultes : une personne majeure a le droit de prendre des décisions qui vont à l'encontre de son bien-être. On peut donc conclure au moins sur une certaine hiérarchie entre les arguments.

Echanges avec la salle

(Lieven Annemans – professeur en économie de la santé) On a besoin d'une approche rigoureuse et systématique comme celle-là pour éviter que certaines personnes s'imaginent que leurs principes éthiques sont 'la' vérité. Mais vous avez dit qu'il n'était "ni possible, ni pertinent" d'intégrer les aspects éthiques dans toutes les décisions et pour toutes les interventions. Or, quand on voit la liste des critères proposés, on a un peu l'impression que rien n'échappe à l'éthique. Il n'est peut-être pas possible, pour des raisons pratiques, de faire une évaluation éthique dans tous les cas, mais est-ce qu'il ne serait pas pertinent de le faire ?

Cléa Sambuc : Toutes les interventions soulèvent effectivement des enjeux éthiques. Mais certains de ces enjeux, comme la question du consentement, sont transversaux. Ce que nous avons voulu dire, c'est qu'il ne serait pas pertinent de les traiter chaque fois sur tel ou tel cas particulier.

Jean-Claude Dupont : Un autre exemple concerne les avis d'efficacité. Imaginons l'arrivée d'une nouvelle statine qui devrait faire la preuve d'un meilleur rapport efficacité/coûts par rapport aux autres statines. La question de traiter des personnes avec des statines peut soulever un enjeu éthique : traite-t-on une pathologie ou bien un seuil biologique ? Mais cette question se pose pour l'ensemble des statines. Dans ce cas-là, on va se servir des dossiers d'efficacité pour identifier des enjeux pertinents à utiliser à l'occasion d'une réévaluation de classe, pour toutes les statines.

Pascal Bowie (KU Leuven) : N'y a-t-il pas des limites à la neutralité ? Par exemple, lorsque des éléments vont à l'encontre des droits humains ?

Jean-Claude Dupont : Je suis entièrement d'accord avec vous, il est parfois difficile de ne pas faire intervenir un jugement subjectif. Je songe par exemple à une technologie de santé destinée à une population ciblée, dont on justifiait l'introduction en disant que son coût était acceptable d'un point de vue compassionnel. Mais dans le même temps, on évoquait la possibilité de supprimer la couverture médicale universelle. Or, les enjeux financiers étaient comparables !

Lise Rochaix : En tout cas, nous avons tenté de baliser le travail pour laisser le moins de place possible à la subjectivité du chargé de projet : il est obligé de documenter l'ensemble des arguments éthiques pour parvenir à un état des lieux aussi complet et impartial que possible et on le prive de la possibilité de faire une pondération. Mais vous avez raison, aucune méthode n'évite totalement la subjectivité.

Christian Léonard (KCE) : A propos de l'autonomie, je vois que le guide pose la question du recueil du consentement, mais ne serait-il pas judicieux de s'interroger aussi sur la possibilité même d'exprimer un consentement : dans quelles conditions un individu peut-il avoir l'autonomie nécessaire à la formulation de ce consentement ? D'autre part, vous opposez la conception de l'autonomie selon l'approche kantienne et l'approche libertarienne, mais ce ne sont pas les seules : il en existe d'autres qui peuvent être plus adaptées, en particulier pour traiter de l'autonomie des déclassés de la société.

Cléa Sambuc : Dans les encadrés, nous présentons de simples exemples, qui n'ont pas l'ambition de rendre compte de manière exhaustive de toutes les situations d'autonomie et de justice. La possibilité de l'élaboration du consentement est une approche qui aurait effectivement pu être aussi mentionnée dans le guide.

Jean-Claude Dupont : La possibilité d'un consentement est effectivement un problème majeur, notamment en oncologie infantile où on demande à des parents totalement désespérés de donner un consentement informé. Dans ce cas-là, l'enjeu éthique majeur se situe ailleurs : dans la responsabilité de la société, qui impose des contraintes réglementaires tellement lourdes qu'elles empêchent les parents de jouir pleinement de leurs droits et libertés. Cette réflexion sur l'impact de nos cadres réglementaires sur le respect des droits implique une vision plus large de l'éthique.

Christian Léonard (KCE) : Je lis aussi dans le guide que "les choix méthodologiques de la HAS en matière d'évaluation économique présupposent une certaine conception de la justice", c'est-à-dire qu'il n'est pas question de remettre en cause les critères retenus pour l'évaluation économique. N'est-ce pas une limite du guide que de refuser

cette remise en cause alors qu'il pourrait y avoir d'autres approches très pertinentes qui seraient de nature à remettre en question ces critères ?

Lise Rochaix : Le principe de justice sociale retenu dans le guide est celui qui figure dans le calcul économique bien connu. Il est fondé sur une logique utilitariste qui permet de documenter les différentes dimensions de l'efficacité à l'aide des 'qalys'. Ces qalys sont de simples étalons : ce qui compte, c'est la façon dont on se sert de ces outils de mesure. C'est pour cela que l'éthique implique différents spécialistes dans une réflexion sur la façon de faire évoluer les qalys et l'usage qui en est fait. Si nous avons choisi de ne pas remettre en cause ces critères d'évaluation économique, c'est parce que nous sommes obligés d'avancer pas à pas. Le guide économique a déjà constitué une petite révolution pour l'industrie, qui doit tout à coup rendre des dossiers pour des médicaments et des dispositifs médicaux, et qui est contente de pouvoir disposer d'un guide avec des principes de calcul connus et standardisés. Cela n'empêche pas les autres dimensions d'avancer en parallèle et, à terme, d'interroger le guide économique pour aller éventuellement vers une révision. Mais tous les guides ne peuvent pas bouger en même temps.

Cléa Sambuc : De plus, une revue de la littérature peut faire apparaître de nouveaux éléments qui reposent sur une autre conception de la justice et qui remettent en question ces critères. Dans ce cas, ces éléments figureront dans le rapport, ce qui est une manière indirecte de remettre en question l'évaluation économique classique.

Panel de discussion animé par Alain Denis

Alain Denis rappelle que la Fondation Roi Baudouin organise cet atelier dans le cadre d'une réflexion plus large sur l'intégration des questions éthiques et des valeurs de la société dans les décisions de remboursement de soins de santé. Il pose dès lors cette question à Jean Macq et à René Westhovens : quels enseignements pouvons-nous tirer de ce guide par rapport à ce projet ?

Jean Macq (professeur, Institut de Recherche Santé et Société, UCL) : Ce qui me frappe, en tant que médecin de santé publique, c'est que les études de type HTA, qui mettent en rapport l'efficacité et les coûts, débouchent souvent sur des recommandations très univoques : si je fais ceci, j'obtiens tel résultat. C'est évidemment un mythe : dans toute une série de domaines, il y a énormément d'incertitudes, avec des zones de tension ou des critères multiples pour évaluer l'efficacité. Mais les décideurs politiques et les fonctionnaires aiment avoir des réponses claires. C'est pourquoi ils ont tendance à instrumentaliser les conclusions de ces études. Ainsi, le rapport du KCE sur la vaccination HPV avait mis en évidence des zones d'ombre, notamment sur l'efficacité du vaccin à long terme, mais elles ont été tout à fait occultées dans le débat politique ! Le grand avantage de ce guide est que, bien qu'il soit très centré sur l'approche HTA, il apporte de la nuance.

D'autre part, je pense qu'un outil comme celui-là pourrait aussi être utilisé en amont, pour décider de l'opportunité ou non de réaliser une étude coûts/efficacité, notamment sur des questions plus larges qu'une intervention ou un médicament bien précis. Je m'occupe par exemple d'évaluer des projets permettant à la personne âgée de rester plus longtemps chez elle ou de développer le rôle du gestionnaire de cas. Il serait aussi intéressant de pouvoir se baser sur un tel guide pour conclure que, dans ce contexte-là, il est préférable de recourir à d'autres approches méthodologiques que les études HTA.

Enfin, et même si c'est peut-être un peu utopique, je vois une troisième plus-value potentielle du guide. En Belgique, beaucoup de débats font aussi intervenir des enjeux institutionnels et impliquent des jeux de pouvoir entre les différents 'piliers' ou entre communautés linguistiques. La discussion prend ainsi un caractère très dogmatique. L'utilisation de cet outil impartial pourrait contribuer à objectiver le débat dans divers espaces de concertation.

René Westhovens (Président du Collège des médecins pour des médicaments orphelins, INAMI) :

Le grand avantage d'une telle approche systématique est qu'elle constitue une sorte de 'garantie' contre les risques inévitables de parti pris (chacun ayant tendance à penser qu'il est le meilleur spécialiste dans son domaine). Il est sans doute temps en Belgique de s'engager dans cette voie, à tous les niveaux. Si on pouvait disposer d'un guide comme celui-là pour évaluer les données au niveau du Collège des médecins pour des médicaments orphelins ou du KCE, ce serait certainement une plus-value.

C'est aussi une méthodologie transparente, qui est une garantie de crédibilité. Il est essentiel d'insister sur cet aspect dans la communication vis-à-vis du public et des médias : voici la méthode qui a été utilisée pour l'évaluation. Elle peut être débattue et critiquée, mais au moins il y a une base de discussion commune. Bref, je ne vois vraiment pas ce qui nous empêcherait de développer un travail similaire en Belgique : il suffit tout simplement de le faire !

Echanges avec la salle

Lieven Annemans (professeur en économie de la santé) Je suis d'accord avec vous : les décideurs doivent s'appuyer sur des arguments raisonnables et ils doivent pouvoir justifier leurs choix de manière transparente, en explicitant leurs critères. Mais je remarque que les aspects éthiques sont déjà mentionnés dans la définition du CoreModel de l'EUneHTA. Un bon HTA doit donc en tenir compte d'office, même si dans la pratique c'est loin d'être toujours le cas.

René Westhovens : Si on ne le fait pas alors que c'est explicitement mentionné dans la définition, cela plaide aussi pour l'instauration d'une approche systématique. On obtient toujours de meilleurs résultats en suivant une certaine systématique. C'est valable à tous les niveaux, depuis le cas individuel jusqu'à des décisions de politique générale. On commet souvent des erreurs parce qu'on se fie au 'bon sens' au lieu d'avoir une réflexion systémique. Par exemple, quand un médicament est efficace, on pense que plus on l'administre tôt, plus il va permettre d'éviter des complications ultérieures. Mais quand on y regarde de plus près, on va peut-être s'apercevoir que si on l'utilise trop tôt sur de jeunes enfants, le médicament perd son effet quand ils atteignent l'âge adulte et ils n'ont plus de thérapie à leur disposition.

Lise Rochaix : Merci pour toutes vos remarques constructives qui m'incitent à penser que, si on travaille ensemble, on peut sortir du cadre restreint de la prise en compte des aspects éthiques par la HAS pour avancer vers un format systématique qui aura un plus grand degré de généralité. En ce qui concerne le HTA, je regrette aussi que ce concept se soit développé de manière très étroite, sans prendre en compte d'autres aspects que la dimension économique. On en arrive même à ne plus parler du rapport coût/efficacité, mais simplement du coût : 'ça coûte cher !' Cette vision rétrécie de l'économie empêche tout dialogue entre les économistes et les médecins. Tout le travail que nous menons à la HAS vise à démontrer qu'il est possible, même dans le cadre d'évaluations rapides, de faire du full HTA, c'est-à-dire d'intégrer d'autres arguments que le coût. On a dit que les décideurs refusent de voir la dimension d'incertitude et c'est très vrai. Il y a quelques années, j'avais rédigé une note sur la mise en place d'un système de franchises pour les médicaments. Le texte comportait une note de bas de page expliquant que les économies attendues n'étaient pas certaines parce qu'il fallait tenir compte d'un intervalle de confiance. Quelle ne fut pas ma surprise de voir le conseiller technique du ministre découper la feuille pour enlever la note de bas de page ! Depuis lors, c'est devenu pour moi un combat personnel : il est de notre devoir de veiller à ce que l'incertitude soit documentée de manière systématique pour qu'elle ne puisse pas être occultée.

Micky Fierens (Fédération d'associations de patients - LUSS) : En quoi cette approche peut-elle favoriser la participation des patients dans les décisions relatives à la santé ? Comment avez-vous, en France, impliqué les citoyens et les associations de patients ?

Jean-Claude Dupont : Au sein de la CEESP, il y a deux représentants des patients (et/ou d'utilisateurs : le débat sur la terminologie existe chez nous aussi) : l'un représente une association d'utilisateurs et l'autre une association de patients. Les patients ont aussi leur place dans la sous-commission qui prépare le travail de la CEESP et qui définit les enjeux éthiques ou sociaux. L'implication des associations de patients est donc un élément essentiel, dès le début du processus.

Cléa Sambuc : J'ajoute que les associations de patients sont aussi représentées dans des groupes de travail chargés d'alimenter le rapport d'évaluation, avant qu'il ne passe dans les instances de validation.

René Westhovens : Au sein de l'association européenne de rhumatologie, j'ai rendu obligatoire l'implication des patients dans toute recommandation depuis 2006. Cela donne d'excellents résultats : grâce à leur expertise personnelle, ces patients apportent de précieuses contributions et ils peuvent parfaitement participer aux débats. Mais il est important de préciser qu'il s'agit de patients qui ont suivi une formation spécifique au niveau méthodologique.

Alain Denis : Il n'empêche que l'EUNET-HTA propose aussi des techniques alternatives, dont l'une consiste à impliquer les citoyens et les patients. Pourquoi n'avez-vous pas choisi cette méthode-là ?

Cléa Sambuc : Nous avons opté pour la méthode qui modifierait le moins possible la façon dont on travaille à l'heure actuelle quand on conduit un projet, c'est-à-dire en s'appuyant sur un groupe de travail, un groupe de lecture ou éventuellement une consultation publique, selon le sujet. La question s'est posée pour les enjeux éthiques : ne faudrait-il pas mettre sur pied un focus group plus participatif ? Mais on s'est dit qu'il y avait un risque d'utiliser des méthodes pour lesquelles nous n'étions pas suffisamment outillés ou formés : le risque qu'en fin de compte on ne documente jamais les aspects éthiques parce que cela aurait demandé beaucoup trop de moyens et de temps.

Lise Rochaix : Il y a aussi des questions de représentativité des focus groups, qui nécessitent des moyens que l'on n'a peut-être pas en interne.

Brieuc Van Damme (adviser van vicepremier Alexander De Croo - volksgezondheid en sociale zaken) : La question est peut-être un peu provocatrice, mais est-il éthique d'impliquer certains groupes de patients dans ces processus ? Dans quelle mesure peuvent-ils apporter une plus-value éthique étant donné qu'ils sont les premiers concernés et qu'ils n'ont donc pas toujours l'impartialité requise ? De plus, ils risquent aussi d'exercer une autorité morale par rapport à tous les autres intervenants.

Jean-Claude Dupont : Comme on l'a dit, les patients impliqués sont des personnes qui ont été formées pour cela. Ils n'interviennent donc pas comme des représentants d'un groupe de pression qui émettent des revendications, mais bien comme des personnes qui possèdent une expertise. Dans le domaine de la pédiatrie, j'ai personnellement été témoin d'expériences tout à fait passionnantes. Au Royaume-Uni, par exemple, on a créé un réseau de jeunes patients de 12 à 18 ans et j'ai eu l'occasion de travailler avec eux pendant toute une journée sur un sujet aussi pointu que la confidentialité dans les bio-banques ! Cependant, je pense aussi que l'expérience d'un groupe de patients peut certes compléter une revue de la littérature faite de manière systématique, mais qu'elle ne saurait pas la remplacer. Ainsi, il existe des enquêtes sociologiques qui documentent de manière scientifique les préférences ou les attentes des patients. Ce sont des éléments solides dont il ne faudrait pas se priver pour respecter une obligation de participation de patients à titre individuel.

Tinne Vandesaende (Fondation Roi Baudouin) : Cela fait six ans que la Fondation Roi Baudouin s'efforce d'optimiser la participation des patients dans les questions de santé. Il est important de bien distinguer les rôles, car un patient peut aussi être un citoyen qui n'a pas d'intérêt personnel

direct à défendre dans un débat. Il existe à l'étranger des expériences intéressantes de panels de citoyens. Les patients peuvent également suivre un parcours de formation pour devenir 'experts du vécu' et jouer ainsi un rôle qui dépasse largement leur propre maladie. Ce n'est donc pas l'un ou l'autre, il faut opter pour la meilleure démarche selon le contexte : dans certains cas, il peut être préférable de réaliser une analyse systématique, mais dans d'autres cas il peut être utile de prendre l'avis de panels de patients ou de citoyens. Pour prouver cela, nous avons d'ailleurs prévu d'organiser un deuxième atelier en septembre, où nous présenterons des expériences de participation de patients et de citoyens dans un contexte similaire d'aide à la décision.

François Ost (économiste de la santé) : Je suis toujours surpris de voir l'absence de liens structurels entre des travaux de grande qualité, comme ceux de la HAS, de la FRB, du KCE, ... alors que ce sont pourtant des structures qui se situent dans des pays proches. Ne serait-il pas utile de jeter des ponts un peu plus permanents que cet atelier ? D'autant plus que l'éclairage neutre d'un autre pays peut apporter une valeur ajoutée.

Alain Denis : Pour quel type de décision est-ce que vous recommanderiez concrètement cette approche en Belgique ?

Jean Macq : Il y a le KCE, qui a un rôle important très important à jouer, mais aussi quantité d'autres recherches qui sont commanditées par diverses structures, comme l'INAMI ou le SPF Santé. Les institutions potentiellement concernées sont donc nombreuses.

Lieven Annemans : Vous avez dit que le but du guide n'était pas de donner un avis, mais certains d'entre nous attendent précisément un avis. Est-ce que vous vous limiterez toujours à ce rôle ?

Lise Rochaix : La Commission se prononce sur des questions de santé publique très différentes. Dans certains cas, son avis est consultatif, mais dans d'autres cas elle conclut, comme nous l'avons encore fait dernièrement en prenant position contre les hormones de croissance pour les enfants non déficitaires, par exemple. Elle le fait sur la base des informations dont elle dispose, selon une démarche de full HTA qui documente toutes les dimensions et dans une logique de transparence et de reproduction scientifique : le raisonnement que nous avons suivi doit pouvoir être reconstruit par d'autres. C'est l'objectif que je me suis fixé depuis que je suis arrivée à la HAS.