



Comment intégrer les valeurs et préférences de la société dans les décisions
relatives au remboursement des interventions de santé

Troisième atelier

Enquête publique sur des critères de décision pertinents et sur leur importance relative pour le remboursement des interventions de santé

Une étape vers un outil d'aide à la décision publique

22 novembre 2013, Bruxelles

1. Contexte

Les participants à ce troisième atelier sont accueillis par le président Josse Van Steenberge, Professeur émérite en droit social, Faculté de droit, Université d'Anvers.

Brigitte Duvieusart, conseillère à la Fondation Roi Baudouin, esquisse le cadre dans lequel se situe cet atelier. Celui-ci fait partie du projet 'Intégration des valeurs et des préférences éthiques et sociales dans le processus décisionnel de remboursement des interventions de santé' et s'inscrit dans le domaine d'action Santé de la Fondation Roi Baudouin, qui poursuit trois objectifs centraux: l'accessibilité, la qualité et la durabilité de notre système de soins de santé.

Compte tenu du coût croissant des soins médicaux et non médicaux et de la pression qu'ils exercent sur les moyens disponibles, il devient de plus en plus difficile pour les décideurs politiques de trouver un équilibre entre ces objectifs. Ils sont contraints d'effectuer des choix délicats. Avec ce projet, la Fondation veut intégrer aussi bien des éléments éthiques que des valeurs et des préférences sociétales dans ce processus décisionnel.

Au centre de ce processus, il y a le cadre théorique éthique de 'accountability for reasonableness' (que l'on pourrait paraphraser comme étant la capacité à justifier le caractère raisonnable d'une décision). Ce concept a été forgé à la fin des années 1990 par les éthiciens américains Norman Daniels et James Sabin.¹ Il ne signifie pas seulement que des décisions équitables sont prises dans un contexte où les moyens sont limités, mais il implique aussi l'engagement que toutes les parties concernées soient informées de manière transparente du contenu de la délibération. Par ailleurs, 'accountability for reasonableness' relie le processus décisionnel dans le domaine des soins de santé à d'autres processus délibératifs démocratiques plus larges et plus fondamentaux. Selon Daniels et Sabin, l'apprentissage social que facilite cette approche constitue la meilleure méthode pour parvenir à une adhésion de la société sur une répartition équitable des moyens affectés aux soins de santé.

¹ Daniels N. et Sabin J. Limits to health care: Fair procedures, democratic deliberation, and the legitimacy problem for insurers. *Philosophy and Public Affairs* 26 (4):303-350 (1997).

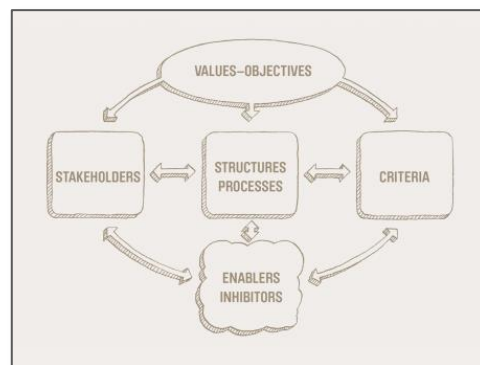
La série d'ateliers que la Fondation organise sur ce thème s'inscrit dans la phase d'exploration et de recherche du projet. À côté de cela, la Fondation a déjà organisé en décembre 2012, avec le Comité consultatif de Bioéthique, un atelier européen auquel ont participé une vingtaine d'experts belges et européens. Ils ont identifié les principales questions sociales et éthiques qui concernent le remboursement des interventions de santé.

2. Valeurs, objectifs et critères

Alain Denis, Managing Director de Yellow Window Consultants et membre de l'équipe de projet de la Fondation Roi Baudouin, fait ensuite la transition entre cet atelier européen et la réunion du jour. Il explique comment l'atelier européen a débouché sur un cadre conceptuel pour le remboursement des interventions de santé. Ce cadre part des 'valeurs et objectifs' qui sont à la base du système décisionnel.

On trouve à un niveau inférieur les structures, les processus et les critères, qui constituent les éléments centraux du modèle et qui décrivent la procédure suivie pour parvenir à des décisions.

À ce niveau se situent aussi les stakeholders, autrement dit les acteurs qui pilotent le processus et prennent les décisions. Il y a enfin des facteurs externes qui peuvent influencer le processus, ce qu'on appelle les facilitateurs ('enablers') et les inhibiteurs. Les médias entrent par exemple dans cette catégorie: ils peuvent certes influencer le processus, mais sans faire partie des acteurs directement concernés.



Les valeurs se situent donc au niveau le plus élevé de ce cadre. Elles sont à la base de tout le système de santé et, par conséquent, du système de

remboursement des interventions de santé. Aux yeux des participants à l'atelier européen, les valeurs de justice, de solidarité et de responsabilité constituent le fondement éthique de notre système de soins de santé.

Ces valeurs sont converties en objectifs par les décideurs. En fait, les objectifs sont donc la traduction politique des valeurs de la société. Grâce à ces objectifs – équité, qualité et durabilité – les décideurs indiquent la finalité qu'ils poursuivent dans le système de soins de santé.

Si les valeurs et les objectifs apportent plutôt une réponse aux questions 'pourquoi' et 'où allons-nous', les critères répondent à la question 'comment y allons-nous?'. Autrement dit, ils traduisent les objectifs en normes, en étalons ou en standards dans le processus décisionnel. Ils sont d'ailleurs appliqués dans les commissions et les conseils où les décisions se préparent ou se prennent.



Cependant, l'atelier européen a aussi mis en lumière qu'un tel cadre à trois niveaux – valeurs, objectifs et critères – n'existait en fait que dans un monde idéal. Dans la pratique, il n'y a quasiment jamais de lien sans faille entre ces trois niveaux, mais il y a au contraire des vides et des ruptures: les objectifs ne sont pas toujours directement déterminés par les valeurs de la société. Et une fois que ces objectifs ont été définis au niveau politique, ils sont rarement traduits de manière systématique en critères concrets.

Alain Denis explique ensuite que l'atelier de ce jour sera surtout consacré aux critères qui permettent d'évaluer les remboursements dans les soins de santé. Nous nous concentrerons sur un aspect bien précis: dans quelle mesure les citoyens et le public peuvent-ils apporter une contribution à la définition de ces critères? Des critères dont se serviront ensuite les experts et les fonctionnaires qui siègent dans les commissions (consultatives) pour préparer ou prendre certaines décisions.

3. Enquête publique sur des critères de décision pertinents et sur leur importance relative pour le remboursement des interventions de santé. Une étape vers un outil d'aide à la décision publique.

Irina Cleemput, économiste de la santé et directeur de projet au Centre fédéral d'Expertise des soins de santé (KCE) et Brigitte Duvieusart, conseillère FRB.

Brigitte Duvieusart retrace brièvement le projet de collaboration entre le KCE et la FRB, qui vise à produire un ensemble de critères génériques pour les décisions de remboursement des interventions de santé et à montrer leur importance relative aux yeux du public. L'objectif est de faire de cette série de critères ainsi que de leurs facteurs de pondération un outil d'aide à la décision pour les commissions consultatives. Le projet comporte deux volets de recherche qui sont complémentaires: une enquête en ligne destinée à sonder les préférences de la société auprès d'un large échantillon de la population (ce dont parlera Irina Cleemput); cette enquête sera suivie à l'automne 2014 d'un volet qualitatif et délibératif avec un groupe plus restreint de citoyens, qui seront chargés d'approfondir et d'évaluer la liste de critères. Ce volet sera organisé par la Fondation Roi Baudouin.

Dans le prolongement de précédentes études du KCE

Irina Cleemput explique que ce nouveau projet se greffe sur deux études précédentes du KCE. L'étude 'Les systèmes de remboursement des médicaments: comparaison internationale et recommandations aux décideurs' ([KCE-rapport 147](#)²) décrit cinq systèmes européens de remboursement des médicaments (Autriche, Belgique, France, Pays-Bas et Suède), en s'intéressant surtout aux éléments qui contribuent à 'l'accountability for reasonableness'.

Dans la deuxième étude, 'Modèles pour l'implication des citoyens et des patients dans les politiques de soins de santé – Partie 1: exploration de la faisabilité et de l'acceptabilité' ([KCE-](#)

² le Polain M., Franken M., et al. Les systèmes de remboursement des médicaments: comparaison internationale et recommandations aux décideurs. Health Services Research (HSR). Bruxelles: Centre fédéral d'Expertise des soins de santé (KCE). 2010. KCE Reports 147A. D/2010/10.273/88.

[rapport 195](#)³), on a demandé à des parties prenantes belges comment impliquer des citoyens dans le processus décisionnel concernant la répartition des moyens dans le secteur des soins de santé et plus particulièrement le remboursement des interventions de santé.

La plupart des répondants estiment qu'il est possible d'impliquer des citoyens dans la définition des priorités globales en matière de soins de santé durant la phase d'information et de consultation. Mais aucune majorité ne s'est dégagée sur la possibilité de participer ou non au débat proprement dit. Il semble également préférable de ne pas impliquer les citoyens dans les phases de codécision ou de décision finale. En ce qui concerne les décisions de remboursement de certains produits ou services spécifiques, une majorité de répondants pense qu'il faut surtout impliquer les patients dans la phase d'information et de consultation. En revanche, on estime qu'il n'est pas du tout opportun de faire participer les citoyens ou les patients à n'importe quelle phase d'un processus décisionnel sur le remboursement d'un traitement à un patient particulier.

Les deux études formulent des recommandations à propos du processus décisionnel pour les remboursements des interventions de santé. Avec ce nouveau projet, le KCE veut concrétiser ces recommandations et les transposer en un outil opérationnel d'aide à la décision publique.

Évaluation, appréciation, décision

Il ressort de l'étude 147 du KCE qu'il est possible de distinguer trois phases dans pratiquement tous les systèmes décisionnels de remboursement d'interventions de santé qui ont été étudiés: une phase d'évaluation ('assessment'), une phase d'appréciation ('appraisal') et une phase de décision. La première comporte une description objective des éléments de preuve qui sont fournis, des incertitudes et des lacunes éventuelles dans les données disponibles. Durant la phase d'appréciation, tous les éléments de la première phase sont mis en balance avec une liste de critères et de jugements de valeur afin de parvenir au bout du compte à une décision (la troisième phase). La deuxième phase – qui se déroule généralement au sein de commissions consultatives et de commissions d'experts telles que la CRM/CTG – se limite le plus souvent à des critères liés aux soins de santé alors que des critères additionnels, comme l'impact sur l'emploi, peuvent encore intervenir dans la phase de décision, qui est réservée au ministre.

Au niveau de la commission consultative qui se charge de la phase d'appréciation, on constate des différences notables entre les pays étudiés. La Belgique possède un système dit délibératif, qui permet à des représentants de stakeholders de siéger à côté d'experts. Aux Pays-Bas, il s'agit d'un système évaluatif beaucoup plus dans lequel seuls des experts siègent au sein de la commission et formulent l'avis final. Ils peuvent néanmoins faire appel à diverses parties intéressées afin de connaître leur opinion. Dans tous les systèmes examinés, on cherche à tenir compte des préférences de la société, mais la question est de savoir comment arriver à les connaître.

Accountability for reasonableness

Dans le cadre théorique éthique défini par Daniels et Sabin, le concept 'd'accountability for reasonableness' est lié à quatre conditions: le processus décisionnel doit être transparent, les

³ Christiaens W., Kohn L. et al. Modèles pour l'implication des citoyens et des patients dans les politiques de soins de santé – Partie 1: exploration de la faisabilité et de l'acceptabilité. Health Services Research (HSR). Bruxelles: Centre fédéral d'Expertise des soins de santé (KCE). 2012. KCE Reports 195A. D/2012/10.273/103.

critères sur lesquels repose la décision doivent être pertinents du point de vue de la société, les décisions doivent pouvoir être revues si de nouveaux éléments de preuve apparaissent et enfin il doit exister une certaine forme de réglementation qui garantit le respect des trois principes précédents.

Pour ce qui est de la transparence, le rapport du KCE recommande de distinguer de manière plus stricte la phase d'évaluation et d'appréciation. Le rapport d'évaluation se limite aux preuves disponibles, au degré d'incertitude et aux lacunes dans les données fournies, sans énoncer de jugement de valeur à ce sujet.

La phase d'appréciation part du rapport d'évaluation et utilise un cadre décisionnel explicite.

Celui-ci se compose idéalement de questions qui demandent des réponses claires, avec plusieurs étapes intermédiaires. En pratique, il est préférable de scinder le processus en plusieurs questions partielles, comme dans le cadre décisionnel présenté ci-contre, composé de cinq questions qui se succèdent selon un ordre logique (voir dia et rapport KCE 147).

Vraag
Is er een <u>therapeutische of maatschappelijke nood</u> aan een behandeling?
Zijn we, als <u>maatschappij, principieel bereid te betalen</u> voor een interventie voor deze aandoening?
Zijn we, als <u>maatschappij, bereid te betalen voor deze specifieke interventie</u> ?
Zijn we bereid <u>meer</u> te betalen voor deze interventie dan voor het beste alternatief?
<u>Hoeveel meer</u> zijn we bereid te betalen uit publieke middelen voor deze behandeling?

D'autre part, les critères servant à prendre la décision doivent être définis clairement et leur poids relatif l'un par rapport à l'autre doit également être explicité. Il va de soi que ce cadre de critères pondérés doit être disponible a priori, avant qu'une décision soit prise. Il est possible de déroger à ce cadre, mais en le justifiant a posteriori.

(Traduction schéma: Le traitement répond-t-il à une nécessité thérapeutique ou sociétale? Notre société accepte-t-elle de financer en principe une intervention quelconque qui remédie à cette affection? Notre société accepte-t-elle de financer publiquement cette intervention en particulier? Acceptons-nous de payer davantage pour cette intervention que pour le meilleur traitement alternatif? Quel montant supplémentaire sommes-nous prêts à payer au moyen de deniers publics pour ce traitement particulier?)

Des critères absolus?

Des critères de décision sont pertinents s'ils sont liés aux valeurs fondamentales de la société, telles qu'elles ont été expliquées auparavant par Alain Denis. Il ressort toutefois de la littérature qu'aucun principe (p. ex. fair innings, maximalisation de la santé, loterie,...) ne peut être considéré comme ayant une valeur générale et pouvant être appliqué de manière absolue en ce qui concerne une répartition équitable des moyens. Un autre élément important est qu'il n'existe pas une gamme de critères scientifiquement justes ou erronés et qu'on a peu d'informations sur l'importance des critères aux yeux du grand public.

La comparaison entre les cinq pays montre toutefois que des critères tels que l'efficacité et l'effectivité, la sécurité et les effets secondaires ainsi que la valeur thérapeutique sont utilisés dans tous les pays. On tient compte du rapport coût efficacité dans quatre des cinq pays, la France

faisant exception. La facilité d'utilisation, l'impact budgétaire et la faisabilité sont beaucoup moins utilisés.

Vers un outil de soutien à la décision politique

Dans l'étude actuelle, nous allons nous concentrer sur des décisions qui sont prises dans des commissions d'experts comme la CRM. Des commissions de ce type n'examinent que des critères liés à la santé. Nous supposons par ailleurs qu'au cours du processus d'évaluation, ces commissions cherchent à atteindre 'l'accountability for reasonableness'.

Les questions au cœur du projet de recherche peuvent donc être résumées comme suit:

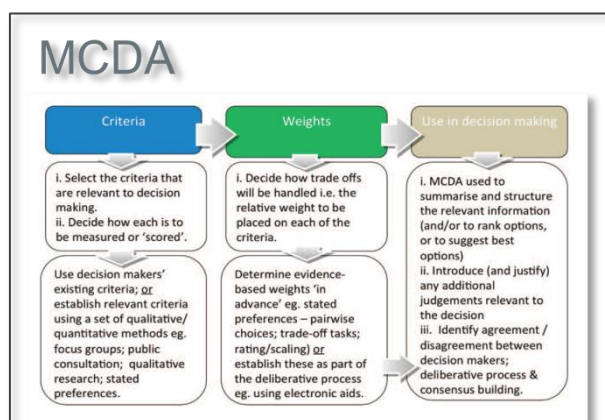
- Quels sont les critères éventuels pour prendre des décisions de remboursement et comment peuvent-ils être opérationnalisés?
- Quels sont les critères pertinents pour prendre des décisions de remboursement en Belgique d'après le grand public?
- Quelle est l'importance relative des critères de décision d'après le grand public?

Par ce projet, nous cherchons à développer un outil d'aide au processus décisionnel des commissions d'experts. Cet outil montre quels sont les principaux éléments à prendre en considération aux yeux du grand public. Il peut créer une plus grande transparence et permettre de mieux évaluer la cohérence des décisions.

Multi-criteria decision analysis

L'outil auquel nous voulons parvenir en fin de compte est basé sur ce qu'on appelle une analyse MCDA ('multi-criteria decision analysis'). Celle-ci comporte une série de méthodes et d'approches destinées à fournir une aide au processus décisionnel (voir dia), pour autant que ces décisions prennent en compte plus d'un critère. Par ailleurs, l'analyse vise à faire clairement apparaître l'impact de tous les critères qui sont appliqués ainsi que leur importance relative sur la décision finale.⁴

En fait, une analyse MCDA 'pure' est un modèle fortement déterministe. Il s'agit en effet d'un processus mécanique, dans lequel on introduit des préférences quantitatives 'génériques' du grand public. En principe, le modèle MCDA est donc diamétralement opposé à un modèle délibératif qui implique directement des parties prenantes et qui utilise des valeurs implicites. Pourtant, nous n'avons pas l'objectif, en menant cette recherche, de remettre en question le modèle belge et de prôner un changement fondamental. Nous voyons plutôt l'outil MCDA comme un soutien, qui n'est certainement pas destiné à remplacer le processus actuel. Un



⁴ Devlin, N. en Sussex, J. Incorporating Multiple Criteria in HTA: Methods and Processes. <http://www.ohe.org/publications/article/incorporating-multiple-criteria-in-hta-methods-and-processes-8.cfm>.

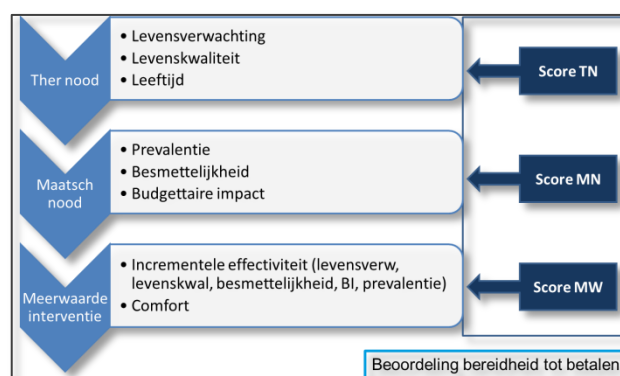
processus décisionnel optimal nous semble combiner l'implication de parties prenantes et l'utilisation d'une source externe de valeurs préférentielles, à partir des préférences du grand public.

Comment un tel outil pourra-t-il être utilisé en pratique? Imaginons une entreprise qui souhaite commercialiser une technologie nouvelle et qui introduit une demande de remboursement. Des techniciens, désignés par les pouvoirs publics, procèdent tout d'abord à une évaluation de cette technologie et rassemblent les preuves existantes. Ensuite, une commission d'experts (du type de la CRM) entre en action et, à partir du rapport d'évaluation, attribue des scores en fonction d'une liste de critères définis au préalable et selon une échelle elle aussi prédéfinie. Ces scores sont ensuite multipliés par les facteurs de pondération pour chaque critère et les résultats sont additionnés pour donner un score global de priorité.

On peut raisonnablement penser que plus une intervention de santé obtient un score élevé, plus elle est jugée importante par la société. Cette importance aux yeux de la société peut aussi impliquer que nous sommes prêts à payer plus, selon Irina Cleemput, bien que cet aspect ne soit pas en soi un critère repris dans le modèle que recherche le KCE.

Vérifier la pertinence des critères auprès du public – une enquête

Comme nous l'avons déjà dit, le premier volet du projet se compose d'une enquête publique qui évalue la pertinence de plusieurs critères possibles. Les critères proposés sont divisés en trois ensembles: besoin thérapeutique, besoin sociétal et plus-value de l'intervention (voir dia). Le besoin thérapeutique a trait aux caractéristiques d'une affection et au besoin d'un traitement du point de vue du patient alors que le besoin sociétal envisage cette nécessité du point de vue de la société. Nous tentons de distinguer ces deux éléments parce que le premier part de la perspective individuelle et le second de la perspective collective.



Ces deux premiers ensembles de critères sont dissociés de l'intervention. Celle-ci n'apparaît que dans le troisième groupe, où l'accent est surtout mis sur l'efficacité incrémentale de l'intervention ou sur l'impact sur l'espérance de vie, la qualité de vie, le risque de contagion etc.

Traduction schéma :

[Colonne G] Besoin thérapeutique / Besoin soc / Plus-value intervention

[Colonne centre] Espérance de vie / Qualité de vie / Age

Prévalence / Degré de contagion / Impact budgétaire

Effectivité incrémentale (espérance de vie, qualité de vie, contagion, IB, prévalence) / Confort

[Colonne D] Score BT / Score BS / Score PV

Evaluation : jusqu'où est-on prêt à payer ?

L'analyse MCDA basée sur ce modèle donnera trois scores distincts: un pour le besoin thérapeutique, un autre pour le besoin sociétal et le troisième pour la plus-value de l'intervention. Ce dernier score détermine en fait dans quelle mesure la société est prête à payer pour cette intervention: plus il est élevé, plus elle sera sans doute disposée à le faire. Pourtant, ce score doit aussi être interprété dans le contexte du besoin thérapeutique et sociétal. On peut par exemple avoir une intervention qui réalise un bon score en ce qui concerne le critère de la plus-value, mais dont le remboursement a été demandé pour une indication qui répond à un besoin thérapeutique et/ou sociétal jugé faible. Au bout du compte, cette intervention aura sans doute moins de chance d'obtenir une évaluation positive qu'une autre intervention qui, à plus-value égale, répond à un plus grand besoin thérapeutique ou sociétal.

L'objectif final de cet outil est de parvenir à terme à une plus grande cohérence et à une plus grande transparence des décisions prises. L'enquête se fera principalement en ligne, même si les répondants peuvent aussi demander une version papier. Un échantillon représentatif de la population sera consulté. La sélection se fera à partir du Registre national. L'enquête connaîtra d'abord une phase de pré-test, puis une phase pilote avant d'être lancée auprès du grand public.

Les résultats de cette enquête seront ensuite approfondis et nuancés lors d'un processus délibératif avec un groupe restreint de citoyens. La FRB prendra en charge l'organisation de ce volet du projet.

4. Première séance de Q&A

Mark Bogaert: Vous avez fait la distinction entre besoin thérapeutique et besoin sociétal. Aujourd'hui, il y a un débat pour savoir si les patients diabétiques doivent payer un ticket modérateur pour leurs médicaments. Où situez-vous ce débat par rapport à cette distinction entre les deux besoins?

Irina Cleemput: Selon moi, la discussion sur l'importance du ticket modérateur est quelque chose qui intervient plus tard. La décision sur le ticket modérateur peut tenir compte du degré de besoin thérapeutique, mais dans un premier temps, ce n'est pas elle qui détermine si un médicament est remboursé ou non.

Mark Bogaert: D'accord, mais prenons alors la décision de remboursement elle-même: estime-t-on nécessaire de rembourser un nouveau traitement contre le diabète?

Irina Cleemput: Si l'évaluation montre que les traitements actuels contre le diabète sont de qualité suffisante (et qu'on continue à les rembourser), on peut en conclure que le besoin thérapeutique est faible et qu'on n'a pas vraiment besoin d'un nouveau traitement. Le point de départ consiste donc toujours à examiner la situation actuelle et à voir si ce qui est déjà remboursé est efficace. Si quelque chose de nouveau arrive sur le marché, il faut se demander si on en a besoin. C'est une considération rationnelle.

Mark Bogaert: Ou bien on peut aussi se dire: on en a besoin, mais a-t-on l'argent pour cela?

Cleemput: Oui. Mais la situation inverse est aussi possible. Il se peut qu'il n'y ait pas de besoin thérapeutique, mais si un nouveau traitement tout aussi efficace permet de faire des économies, il est assez évident qu'il faut décider de remplacer l'ancien.

Marc Hunyadi: Ma question rejoint un peu la précédente. Elle concerne votre cadre normatif général. Il me semble qu'il y a une tension entre deux niveaux normatifs très différents: le niveau général (ou supérieur, comme l'a appelé Alain Denis), c'est-à-dire celui de la société avec ses valeurs de justice, de solidarité et de responsabilité telles

qu'elles sont consignées dans des textes officiels, et le niveau des préférences actuelles de la société. Ces deux niveaux peuvent très bien entrer en contradiction: dans une situation de crise, par exemple, la solidarité tend à diminuer. Comment résoudre cette tension, sachant que la participation du public ne concerne que le deuxième niveau?

Irina Cleemput: Je suis bien d'accord avec vous. Toute la difficulté consiste à savoir comment définir ces valeurs éthiques 'supérieures' et qui va le faire. Une enquête comme la nôtre va surtout sonder les préférences actuelles et que les gens vont se situer par rapport à leur propre cadre de référence – même si on leur demande expressément de répondre en général, dans une perspective sociétale – et va donner une idée de la façon dont ces critères quantitatifs doivent être pondérés dans le processus décisionnel.

Président: Vous ne proposez donc pas non plus de classement de ces valeurs?

Irina Cleemput: Ce que nous faisons, c'est demander aux gens, avant de pondérer les critères, d'indiquer quels sont à leurs yeux les trois principes majeurs selon lesquels les moyens disponibles doivent être répartis. Ces principes éthiques incluent les valeurs générales, mais il s'agit seulement d'indiquer une préférence et je ne sais pas quel poids nous allons accorder à cette partie de l'enquête.

François Daue: Je crois aussi que cela va vous poser des problèmes dans l'exploitation des résultats. Une enquête récente des Mutualités socialistes a révélé qu'il existait un réflexe protectionniste très fort, avec l'utilisation de critères très explicites comme l'âge. Si vous obtenez des résultats de ce type, comment allez-vous les exploiter: de manière purement statistique ou bien comme un simple point de vue, dont on peut tenir compte ou non?

Irina Cleemput: Il faut savoir que nous ne posons pas de questions directes, comme 'Trouvez-vous que les fumeurs doivent supporter une partie des frais médicaux dus au tabagisme' parce que ce serait déjà induire une partie de la réponse. Nous proposons différents scénarios: telle pathologie, avec une espérance de vie d'autant, des patients qui ont en moyenne tel âge et une qualité de vie estimée à autant. Les répondants doivent indiquer où se situent selon eux les plus grands besoins thérapeutiques, en sachant qu'il y a des choix à faire: s'ils choisissent l'option A, cela exclut l'option B.

Françoise Stryckman: J'ai une question concernant la qualité de vie, qui est un concept très large. Un simple exemple: le fait de ne devoir prendre un médicament qu'une seule fois par jour au lieu de trois fois peut représenter une amélioration de la qualité de vie pour un certain nombre de patients. Pourtant, ce n'est jamais considéré comme une plus-value thérapeutique au sein de la CRM. Comment allez-vous définir la qualité de vie pour le patient dans votre enquête? En termes d'espérance de vie, de médicaments concomitants, de réduction de l'absentéisme...?

Irina Cleemput: Il y a en fait deux aspects dans votre question, d'une part la qualité de vie compte tenu de la maladie dont on souffre, et d'autre part le confort de l'intervention. Le fait qu'un médicament ne doive plus être pris qu'une seule fois par jour relève plutôt de l'aspect confort. Nous avons d'ailleurs ajouté un élément de confort au critère relatif à la plus-value thérapeutique. Pour donner une idée de la qualité de vie, nous allons utiliser une échelle de zéro à dix, à laquelle tout le monde est familiarisé depuis l'école. Nous disons par exemple: 'imaginez une pathologie pour laquelle le patient estime sa qualité de vie à 2 sur 10', mais sans entrer dans tous les détails de ce qu'est cette qualité de vie puisqu'il s'agit d'une donnée très multidimensionnelle.

Lieven Annemans: Je voudrais revenir sur l'étude des Mutualités socialistes que l'on vient d'évoquer parce que je pense que la formulation des questions n'était pas tout à fait correcte. En effet, on a laissé aux gens le choix entre l'obligation de rationaliser le système de soins de santé (c'est-à-dire que le patient va par exemple perdre un peu de sa liberté de choix et ne plus pouvoir aller chez n'importe quel médecin) ou de le rationner (chacun conserve sa

liberté de choix, mais on ne va plus pouvoir rembourser certains traitements, par exemple pour des personnes très âgées ou des fumeurs). Quand l'alternative est aussi tranchée, il y a beaucoup de gens qui choisissent la deuxième option. Mais j'espère bien que si on formule les questions de manière un peu plus nuancée, il y aura tout de même encore pas mal de gens qui opteront pour la solidarité...

Karina Pittens / Universiteit Amsterdam: Je voulais aussi revenir sur la question concernant la qualité de vie puisque vous allez demander un jugement à des personnes qui ne souffrent pas de cette maladie. Je peux très bien m'imaginer que, si un médicament ne doit plus être pris qu'une seule fois au lieu de trois fois par jour, ces personnes extérieures vont se dire que, au fond, ce n'est pas une très grande plus-value en termes de qualité de vie alors que, pour le malade, cela représente une différence importante. Comment allez-vous gérer cette distance différente?

Irina Cleemput: L'évaluation va clairement indiquer quelle est la perspective du patient, car c'est à lui de juger la qualité de vie, et pas à la société. D'autre part, si on consulte des patients dans le cadre d'un processus décisionnel, il se peut qu'on obtienne une autre vision ou des informations supplémentaires. Je me réfère au rapport de 2012 sur les patients et sur l'implication des citoyens, qui a montré que les comités d'experts étaient intéressés par cette perspective du patient comme expert du vécu, qui peut fournir des informations complémentaires par rapport aux données objectives d'un rapport d'évaluation. Ces informations complémentaires peuvent être prises en considération par les comités d'experts car, en fin de compte, ce sont ces experts qui vont évaluer l'importance des aspects de confort et de qualité de vie par rapport à une intervention. Pour donner ce score, ils vont se baser à la fois sur les rapports d'évaluation et sur les informations fournies par les patients eux-mêmes.

Frie Niesten: Nous évaluons ici des médicaments et des traitements qui sont proposés à la société. Mais est-ce que ce n'est pas aussi à la société elle-même d'indiquer quels sont ses besoins?

Irina Cleemput: Tout à fait ! Nous devons certainement faire un effort, peut-être dans le cadre d'un futur projet, pour identifier et définir les besoins médicaux afin de donner des signaux aux concepteurs et aux fournisseurs d'interventions.

5. Remboursement des interventions de santé: utilité d'un ensemble de critères génériques pour les décideurs

par Rob Baltussen, Ph.D., Radboud UMC, Nijmegen, Pays-Bas et directeur d'EVIDEM.

Rob Baltussen a vingt années d'expérience dans le domaine des analyses coût-efficacité dans les soins de santé aux Pays-Bas, mais aussi en Afrique et en Asie. Il insiste sur le fait que les décisions prises sur la base d'une analyse coût-efficacité doivent être complétée par une méthodologie permettant d'intégrer également des considérations de justice sociale dans le processus décisionnel. La question concrète concerne l'utilité d'un ensemble de critères génériques pour les décideurs. En effet, on se rend de plus en plus compte que des évaluations et des décisions de remboursement d'interventions de santé uniquement basées sur des analyses coût-efficacité constituent un processus décisionnel très réducteur. Il convient donc de tenir compte aussi d'autres éléments au moyen d'une analyse multicritères (MCDA).

Rob Baltussen admet qu'il n'est pas le premier à le suggérer. Dès 1975, Robert Young⁵ a identifié 'quelques critères' à prendre en compte dans les décisions de répartition des maigres ressources allouées aux soins de santé. Aujourd'hui, 40 ans plus tard, nous n'avons guère fait de progrès pour passer des 'quelques critères' de Young à une série de critères génériques acceptés par tous.

Big five

Dans la pratique, à peu près tous les décideurs dans le monde occidental appliquent la même liste de critères 'clés'. Une étude d'Evidem⁶ menée dans 40 pays montre que les principaux d'entre eux sont au nombre de cinq – les 'big five' en quelque sorte: l'effectivité, la sécurité, la qualité des preuves, la gravité de l'affection et l'impact budgétaire.

Pourtant, bien d'autres critères pourraient aussi être importants pour les décideurs. Mais sans un bon cadre, cela débouchera surtout sur des décisions *ad hoc*. C'est pourquoi Rob Baltussen a proposé dès 2006 d'utiliser l'analyse MCDA afin de pouvoir intégrer des critères multiples d'une manière plus systématique et structurée.

En quoi consiste précisément une analyse MCDA? Une définition courante consiste à dire qu'il s'agit d'un moyen pour faciliter la prise de décision en rendant plus explicite l'impact de différents critères ainsi que l'importance relative de ces critères. Le but d'une analyse MCDA est donc d'améliorer la qualité, la transparence et la cohérence des décisions en prenant en compte davantage de critères.

Une approche qualitative ou quantitative

Il y a beaucoup de méthodes différentes pour réaliser une analyse MCDA: les unes sont surtout qualitatives, les autres plus quantitatives, mais il est aussi possible de les combiner. Les premières étapes sont cependant presque toujours les mêmes: déterminer qui décide et quels sont les stakeholders qui interviennent dans le processus, définir les critères et évaluer les interventions par rapport à ces critères. Mais dès que cette évaluation débouche sur une 'performance matrix' (voir exemple), il y a différentes possibilités d'interprétation.

- Verschillen in interpretatie van 'performance matrix'

Interventions	Health gain	Severity of disease	Vulnerable population	Composite score
Treatment of childhood pneumonia	●●●	●●●	●●●	⊗⊗⊗
Inpatient care for schizophrenia	●	●●	●	⊗⊗
Plastering for simple fracture	●●	●	●	⊗⊗
Weights	30%	40%	30%	

Si on opte pour une interprétation purement qualitative de la matrice, les critères ne sont pas pondérés. La délibération du panel se base donc uniquement sur les résultats que l'intervention obtient par rapport aux différents critères. Une approche plus quantitative – et c'est vers cela que l'on semble de plus en plus se diriger dans les décisions de remboursement des soins de santé – va refléter explicitement l'importance relative des critères et leur attribuer une pondération. Dans notre exemple, le bénéfice en termes de santé a une valeur relative de 30%, la gravité de l'affection de 40% et la

⁵ Young, R. Some criteria for making decisions concerning the distribution of scarce medical resources. *Theory and Decisions*, 6, 1975, 439-455

⁶ Tanios N, et al. International Task Force on Decision Criteria. Which criteria are considered in healthcare decisions? Insights from an international survey of policy and clinical decision makers. *Int J Technol Assess Health Care*. 2013 Oct;29(4):456-65. doi: 10.1017/S0266462313000573.

vulnérabilité du groupe cible de 30%. Le résultat global de chaque intervention est ensuite calculé en tenant compte du poids relatif accordé à chaque critère.

Sur le terrain, on observe une évolution allant d'une approche exclusivement qualitative/délibérative vers une approche plus quantitative de la MCDA, mais avec une nuance: on veut éviter de tomber dans une logique purement quantitative et réductionniste et on se demande plutôt quels sont les aspects qui peuvent être quantifiés dans le processus décisionnel. Il y a un consensus pour estimer que tout ne peut certainement pas être quantifié. Le résultat final ne peut donc pas être une matrice entièrement quantitative. Rob Baltussen a par exemple collaboré en Indonésie à un projet d'affectation de moyens pour des programmes de lutte contre le sida.

Enfin, un grand nombre de méthodes et d'instruments ont été mis au point pour l'analyse MCDA.

Du rapport coût-efficacité à l'analyse multicritères

Mais la question qui est posée aujourd'hui est de savoir si l'analyse MCDA peut aussi être utilisée pour des décisions de remboursement, donc pour des décisions 'marginales': des décisions qui concernent une intervention spécifique (par exemple pour les diabétiques) et non pas tout un programme. Il n'y a que quelques expériences de ce genre, notamment en Thaïlande ⁷. Mais nous allons surtout nous concentrer sur les systèmes de santé occidentaux.

Les critères utilisés (tels que 'gravité de la maladie', 'accessibilité', 'coût abordable pour l'individu') restent généralement vagues. Ainsi, un critère tel que l'accessibilité est défini comme 'tout le monde doit avoir le même accès', mais sans plus de précisions. En revanche, le rapport coût-efficacité est bien élaboré parce qu'il repose sur une tradition historique (voir tableau).

Criteria	Australia	Canada	Danmark	France	Netherlands	UK
Cost-effectiveness	V		V		V	V
Budgetary impact		Vaag				
Severity			Vaag	Vaag	V	V
Availability of alternative		Vaag		Vaag		
Accessibility	Vaag	Vaag	Vaag			
Affordability to individual					Vaag	
Other...

La question est donc: 'une série de critères génériques peut-elle être utilisée pour faciliter les décisions de remboursement?' En effet, le processus actuel s'appuie fortement sur l'analyse coût-bénéfice, qui est le seul critère quantifié, alors que d'autres critères sont intégrés 'ultérieurement' dans la décision au stade de la délibération. La critique envers le système actuel est donc qu'il faut concrétiser ces autres critères.

Le grand défi pour l'approche MCDA est qu'il n'y a pas un large consensus quant à la pertinence de ces critères, par exemple pour des critères comme la maximalisation de la santé, la sécurité ou l'effectivité. La responsabilité est un autre critère gênant. Prenons le cas de quelqu'un qui a un accident en faisant du ski hors piste: on peut se demander si c'est la collectivité qui doit payer les frais du traitement.

⁷ Youngkong S, et al. Multicriteria decision analysis for including health interventions in the universal health coverage benefit package in Thailand. Value Health. 2012 Sep-Oct;15(6):961-70. doi: 10.1016/j.jval.2012.06.006.

Un deuxième problème est que tous les critères ne sont pas quantifiables. Beaucoup de pays sont d'accord pour estimer que la gravité de la maladie (severity of disease) constitue un critère majeur. Mais aux Pays-Bas, cela fait dix ans que l'on débat pour savoir comment définir cette gravité: est-ce la gravité au moment même ou bien s'agit-il aussi de la perte future de qualité de vie?

Deux bonnes pratiques

À cause de ces deux défis, il est difficile de créer une matrice de performance claire pour les décisions de remboursement. Mais que peut-on néanmoins faire? Il y a quelques exemples autour de nous.

Au Royaume-Uni, le NICE et le NHS appliquent pour le remboursement d'un médicament un seuil de £20,000 par QALY gagné. Six cas particuliers, pour lesquels ce seuil peut être plus élevé, ont toutefois été définis. Parmi eux, il y a entre autres la gravité de la maladie, mais aussi la vulnérabilité du groupe cible, par exemple les enfants. Dans de tels cas, le seuil passe à £20.000-£30.000 par QALY gagné. Il peut même encore être plus élevé lorsque deux ou plusieurs de ces cas spéciaux se conjuguent. Ceci permet de faire un lien entre le rapport coût-efficacité et d'autres critères. C'est surtout une approche pratique.

Les Pays-Bas utilisent un seuil de €40,000 par QALY gagné, mais il peut varier entre €10.000 et €80.000 selon la gravité de la maladie: s'il s'agit d'une pathologie très grave, on est prêt à payer jusqu'à €80.000 par QALY, mais en cas d'affection modérée, le seuil de €40.000 peut même être trop haut et on descend parfois jusqu'à €10.000. La question qui est actuellement posée est de savoir s'il y a aussi un seuil pour des interventions qui n'améliorent pratiquement pas la qualité de vie: y a-t-il un point 'gravité de la maladie' sous lequel il n'y a plus de remboursement avec des moyens publics? C'est un sujet très sensible. Enfin, d'autres critères sont également évoqués aux Pays-Bas, mais ils ne sont pratiquement pas opérationnalisés.

Ce sont, aux yeux de Rob Baltussen, deux exemples de bonnes pratiques qui intègrent un grand nombre d'éléments pour rendre les décisions plus cohérentes et plus transparentes, mais les critères peuvent encore être nettement mieux définis.

Check-list

L'approche MCDA peut-elle déjà être utilisée aujourd'hui pour faciliter des décisions de remboursement? Pour Rob Baltussen, on peut en tout cas se servir d'une sorte de check-list. Dans un premier temps, il faut définir les critères pour cette check-list. C'est déjà en soi une tâche ardue, dans laquelle s'engagent la FRB et le KCE en menant ce projet: ils veulent consulter le public pour savoir sur quels critères il y a un consensus.

La deuxième question porte sur la définition de ces critères. Une fois que cette définition sera connue, la check-list pourra être utilisée pour vérifier si un critère est pertinent par rapport à une intervention bien précise, auquel cas ce critère interviendra dans la phase d'évaluation: de manière quantitative lorsque c'est possible et de manière délibérative quand il n'est pas possible de quantifier. La question pour le décideur politique est donc 'comment parvenir à une décision?'. Une des options consiste à avoir des seuils spéciaux pour le rapport coût-efficacité pour chacun des différents critères. Mais dans ce cas, il faut faire du rapport coût-efficacité le point de départ

des décisions, ce qui est déjà un débat en soi. Les Pays-Bas et le Royaume-Uni ont explicitement opté pour ce point de départ, mais d'autres pays en discutent encore.

En résumé, on peut dire que pour pouvoir utiliser l'approche MCDA, il faut un consensus sur tous les critères utilisés. Comme ils ne sont pas tous quantifiables, une délibération sera toujours nécessaire. Pour Rob Baltussen, les approches MCDA sont utiles pour prendre des décisions de remboursement plus cohérentes, plus transparentes et de meilleure qualité. Mais 'MCDA should not be a mathematical solution for a political problem': il n'y a pas de solution mathématique à un problème politique et une phase délibérative sera toujours nécessaire.

6. Deuxième séance de Q&A

Bert Winnen: Vous avez cité plusieurs pays qui ont défini un QALI avec un seuil financier. Or, quand on regarde les traitements innovants, on constate que beaucoup d'entre eux ont un QALI qui est un multiple du chiffre qui est pris en considération. Comment réagit-on à cette situation dans ces pays?

Rob Baltussen: Aux Pays-Bas, quand une intervention est sensiblement plus chère que les 40.000 euros en moyenne par QALI, elle ne sera pas financée, à moins qu'il y ait une plus-value claire pour d'autres raisons.

Bert Winnen: Cela signifie donc qu'un grand nombre des futurs traitements innovants ne seront même pas pris en considération? Je ne peux pas m'imaginer que cela se passera ainsi.

Rob Baltussen: On prend conscience de la nécessité de faire des choix, compte tenu des budgets limités: si on finance une chose, on ne peut pas financer une autre (le vaccin anti-grippe, par exemple). Dans l'hôpital où je travaille, je vois des tas de médecins qui sont fous de nouvelles technologies et ma tâche – très ingrate – est de leur dire: c'est très bien, mais quelle est la plus-value réelle et est-ce qu'elle justifie les coûts? C'est une discussion très difficile.

Représente germanophone (Karen Casteleyn???): Qui prend les décisions de remboursement et comment? En Communauté germanophone, nous sommes forts influencés par le système de remboursement allemand, qui est différent du belge, et nous nous posons des questions sur les critères qui servent à prendre les décisions. En Suisse, par exemple, il y a eu une plainte de la part des consommateurs parce qu'une enquête a démontré que 80% de la population souhaite que les médicaments alternatifs soient aussi remboursés. Mais les décideurs ne tiennent pas compte de ce souhait parce qu'ils estiment que l'efficacité de ces médicaments n'est pas prouvée.

Rob Baltussen: Très bonne question ! L'approche MCDA n'est pas un processus technocratique, même si c'est le cas dans certains pays. Toutes les parties concernées siègent dans le panel de consultation, y compris les patients. Ils ont une voix dans le choix des critères et des interventions à évaluer. En Angleterre, par exemple, il y a des Citizen's Councils qui ont leur mot à dire sur la définition des critères.

Président: A ce sujet, je vous renvoie aussi au précédent atelier.

René Westhovens: C'est en effet une question cruciale. Qui décide ce qui va être examiné? L'industrie teste la molécule proprement dite, mais pas la façon optimale dont elle peut être utilisée. Le patient est peut-être intéressé par d'autres effets sur d'autres aspects de son existence.

Rob Baltussen: Ce serait un bel effet secondaire de ces ateliers que de s'intéresser aux priorités dans les recherches sur la santé. Car il y a un grand déséquilibre entre ce qui est étudié et ce qui devrait l'être.

René Westhovens: Un exemple de déséquilibre est qu'on fait des recherches sur de nouveaux produits, mais pas sur des produits plus anciens, qui sont moins chers et très efficaces.

Daniel Devos: Je retiens deux éléments de votre exposé. D'abord qu'il n'est pas évident de convertir la qualité en quantité, ce qui est déjà un défaut inhérent à un système destiné à quantifier ; ensuite, on se situe de toute façon dans une discussion à contre-courant: en réalité, on fixe d'abord un budget, qui détermine les choix. On ne peut pas dire que le QALI équivaut à 10.000 euros si le budget ne permet pas un tel montant. Il est donc illusoire de vouloir relier les seuils à des critères de qualité. Pour le dire de manière un peu provocante: cette forme de transparence est-elle réellement utile si on se heurte chaque fois à des choix budgétaires et politiques et qu'il est impossible d'avoir un débat de fond?

Rob Baltussen: Une petite organisation a une idée claire de son budget et de ce qu'elle dépense. Elle n'a donc pas besoin de seuils: on regarde simplement de combien d'argent on dispose pour savoir ce qu'on peut se permettre. Cette notion de budget est plus floue au niveau national, c'est pourquoi on travaille avec des seuils qui sont censés refléter le budget. Je suis d'accord avec vous: on peut se demander s'ils le reflètent réellement (comme en Grande-Bretagne: on peut penser que le seuil est bien trop bas et qu'on pourrait se permettre bien plus que cela) et la relation entre les seuils et le budget est assez trouble. D'autre part, vous demandez si, en rendant cela explicite, on ne suscite pas des discussions inutiles. Mais c'est aussi une question de démocratie: les gens ont le droit d'avoir des informations complètes et d'avoir leur mot à dire dans les discussions. Cela touche aux valeurs de base d'un système de santé.

Daniel Devos: Oui, mais la démocratie n'est peut-être pas le meilleur moyen pour gérer un système de santé. La meilleure preuve en est fournie par la question qui vient d'être posée avant moi: si on suit les 80% des gens qui demandent que l'on rembourse les traitements homéopathiques et alternatifs, on respecte la démocratie, mais on ne pourra peut-être plus rembourser les dialyses. Il y a donc un problème à vouloir gérer le système de santé de façon purement démocratique plutôt qu'en se basant sur des arguments scientifiques ou des critères d'efficacité !

Brienc Van Damme: Je trouve que le débat est mené de manière très binaire. Si le remboursement éventuel d'un médicament dépasse le budget disponible, comme le dit monsieur Devos, il faut aussi voir si on ne peut pas intervenir ailleurs. En effet, un supplément budgétaire pour un nouveau médicament peut aller de pair avec un coût moins élevé pour un ancien médicament. Nous avons eu un cas très concret avec un médicament très cher, dont l'impact budgétaire était estimé à 9 millions d'euros ; mais la même semaine arrive un dossier sur le remboursement d'une nouvelle pilule contraceptive, là aussi avec un impact budgétaire de 9 millions d'euros. Par hasard, ces deux décisions arrivent en même temps à l'ordre du jour du conseil des ministres. Il y a eu un consensus pour estimer que le premier médicament constituait un produit formidable, avec une énorme plus-value, tandis qu'on a pu démontrer que la pilule contraceptive n'atteindrait pas son objectif, qui était de s'adresser à des jeunes filles de publics

vulnérables: en fait, cela permettait seulement à des femmes qui prenaient déjà la pilule de bénéficier d'une contraception gratuite. Dans un cas comme celui-là, les décideurs ont une véritable alternative: on peut réduire ou supprimer un programme au bénéfice de l'autre. Le débat est donc plus large que ce qu'on a dit.

7. Discussion plénière, introduite par le Dr. Myriam De Spiegelaere, Ecole de santé publique (ULB), et le Prof. Lieven Annemans, professeur d'économie de la santé UGent & VUB

Myriam De Spiegelaere

Je voulais partager quelques préoccupations par rapport à ce que nous avons entendu ici. Tout d'abord, même si elle constitue sans doute une avancée, l'analyse MCDA reste à mes yeux un modèle assez réducteur parce qu'il donne une formule de pondération relativement abstraite. On essaie de pondérer des critères, mais sans prendre en compte la manière dont ils se modifient entre eux. Or, ces critères ne peuvent pas être examinés isolément. Par exemple, la question de la transmissibilité d'une maladie se pose autrement pour le VIH, la grippe ou la gale. De même, quand on parle de l'espérance de vie, on n'a pas la même représentation selon que l'on parle d'une personne âgée ou jeune, ou d'une personne dans des conditions de vie difficiles ou très faciles.

Une autre inquiétude, d'ordre méthodologique, concerne la représentativité de l'échantillon. Certes, l'échantillon est sélectionné de manière aléatoire, mais quand on voit le nombre de barrières à surmonter avant de pouvoir remplir ce questionnaire en ligne et d'arriver à une participation effective, on se rend compte qu'il y aura des biais de sélection très importants. Il y a donc un grand risque d'obtenir en fin de compte une pondération des valeurs de la partie de la population qui est déjà la plus entendue parce qu'elle a plus facilement accès aux nouvelles technologies, aux médias... Or, les critères ne sont pas les mêmes selon le public, le statut social ou le niveau de qualification: alors que les uns vont plaider pour accroître le remboursement des médecines alternatives, d'autres vont demander que des soins beaucoup plus basiques soient mieux pris en charge.

À cela est aussi lié le fait que des concepts apparemment simples peuvent recouvrir des réalités très différentes. Que met-on derrière le terme de solidarité, par exemple: la solidarité des jeunes envers les vieux, des riches envers les pauvres, des bien-portants envers les malades?... L'enquête risque de masquer ces différences de perception et de donner l'impression que l'on parle tous de la même chose alors que ce n'est pas toujours le cas.

Une des limites de ces modèles est également qu'ils envisagent chaque intervention séparément, sans s'interroger sur le fonctionnement global du système. Un tas de mesures et de mécanismes souvent très complexes ont déjà été mis en place pour tenter de rendre le système plus solidaire et plus équitable. Il serait intéressant de connaître la perception du public à cet égard, mais le questionnaire en reste au niveau des critères de remboursement pour telle ou telle intervention.

Enfin, ma dernière préoccupation touche aux inégalités sociales face à la santé. Le critère des besoins de la société a disparu parce que son opérationnalisation était trop complexe. Mais cela

reste pour moi une question extrêmement importante: la réduction des inégalités face à la santé est-elle un besoin de la société? Si oui, selon quels critères? Il est évident que les stratégies de remboursement peuvent être modifiées si on tient compte du contexte de vie des personnes. L'efficacité, la sécurité, le rapport coût-efficacité... ne sont pas les mêmes pour tout le monde. L'application stricte de guidelines basés sur des évaluations cliniques décontextualisées peut créer des inégalités dans certains contextes spécifiques.

Prof. Lieven Annemans

Tout d'abord, il est très important que la Fondation Roi Baudouin et le KCE se consacrent à un tel projet parce que la voix du patient est beaucoup trop peu entendue aujourd'hui. Cela dit, je dois admettre d'emblée que je suis très sceptique vis-à-vis des processus décisionnels basés sur des critères multiples. Cela me fait un peu penser aux fameux cycles de Kondratiev: ces modèles étaient très populaires dans les années 70, ensuite on y a renoncé parce qu'on a dit que cela ne ressemblait à rien, et puis le cycle recommence et voilà aujourd'hui qu'ils reviennent en force.

Une première interrogation est: de quoi parle-t-on, en fait? De MCDA (Multi-Criteria Decision Analysis), un outil de type quantitatif avec des scores et des pondérations, ou de MCDD (Multi-Criteria Decision Deliberation), une recherche plus qualitative de critères pertinents, mais en respectant les principes de 'l'accountability for reasonableness'? Dans ce cas, on se base sur des critères de décision que l'on peut justifier dans une transparence parfaite vis-à-vis du public, en lui disant par exemple: 'nous avons estimé que le produit présentait un bon rapport coût-efficacité, mais pour l'eczéma, qui ne constitue pas à nos yeux une pathologie prioritaire et qui engendrerait un impact budgétaire trop élevé à cause du nombre de personnes qui en souffrent. C'est pourquoi nous rendons un avis négatif'.

Quels sont les critères? J'ai identifié cinq critères clés, à partir d'une compilation entre la pratique en Belgique et aux Pays-Bas:

- Efficacité (plus-value thérapeutique)
- Efficience (rapport coût-efficacité)
- Nécessité (besoin thérapeutique et social)
- Responsabilité individuelle
- Impact budgétaire

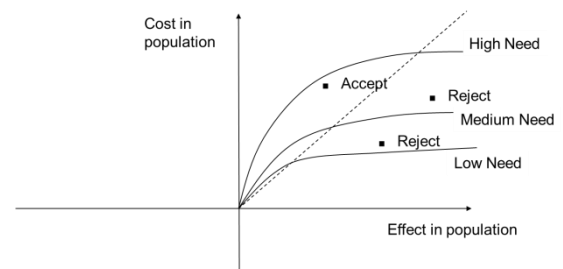
À cela s'ajoute le critère de l'incertitude (ou de la qualité des preuves), mais je trouve qu'il se situe à un autre niveau: la question du degré de certitude peut s'appliquer à tous les critères.

D'autre part, je pense qu'il ne doit pas y avoir de hiérarchie entre ces différents critères et qu'ils doivent tous être mis sur le même pied, éventuellement avec une autre pondération. Donc, ce n'est pas parce que la réponse au premier critère serait négative qu'on ne devrait pas examiner les suivants.

Il faut aussi beaucoup mieux opérationnaliser ces grands critères. Par exemple, il faudrait distinguer de manière plus précise en quoi consiste le besoin social et thérapeutique. Ce serait un exercice très utile.

En revanche, j'estime que le rapport coût-efficacité ne doit pas figurer dans cette liste de critères! Pourquoi? Parce que c'est un élément tellement important qu'il doit servir de principe de base, et non pas être un critère parmi d'autres. Seuls doivent être acceptés les traitements ou les thérapies qui se situent sous un seuil à convenir par les décideurs. Aujourd'hui, on le fait mais de manière trop rigide, en fixant un seuil unique assez arbitraire (correspondant souvent à 40.000 euros par QALI). Il faut affiner ce seuil en tenant compte de son effet sur la population en général (combien de personnes verront leur bien-être ou leur espérance de vie augmenter?) et de l'impact budgétaire global. On obtient alors plusieurs seuils différents en fonction de l'importance du besoin social ou thérapeutique: lorsque ce besoin est plus faible, le seuil est plus bas, ce qui conduit par exemple à rejeter le médicament contre l'eczéma alors qu'un autre médicament sera accepté malgré un coût plus élevé parce qu'il répond à un besoin plus important et que la société est prête à payer davantage (voir diagramme). L'exercice consiste donc à présent à tracer ces courbes avec précision afin d'aboutir à un processus décisionnel plus transparent. On remarquera aussi que ces courbes sont aplanies afin de tenir compte des limites budgétaires: même en cas de besoin très élevé, il arrive un moment où, de toute façon, la société ne peut plus payer l'intervention en question.

Role of budget and need



Attention aussi au fait que certains de ces éléments sont corrélés. Par exemple, quand beaucoup de personnes souffrent d'une maladie, cela entraîne deux conséquences contradictoires: l'impact budgétaire est élevé, mais le besoin social est lui aussi très grand.

Une autre question délicate est de savoir ce qu'il convient de faire quand on pense que les gens qui participent au processus décisionnel 'se trompent', par exemple s'ils estiment que le tabagisme n'est pas une addiction mais une question de responsabilité individuelle et que, dès lors, 'on ne va plus payer pour les fumeurs'. Ce sont les limites de la démocratie directe et pour moi ce n'est pas un hasard si, depuis la Grèce antique, on a plutôt évolué vers un système de démocratie représentative...

Discussion plénière

Philippe Renotte (Mutualités Libérales): Je suis tout à fait d'accord avec le docteur De Spiegelaere sur le problème du manque de représentativité de l'échantillon. Il y a un risque que ceux qui sont les principaux 'consommateurs' de soins de santé, notamment les personnes âgées, soient aussi ceux qui seront les moins représentés dans l'enquête parce qu'ils ont moins accès à l'informatique. Il faudrait faire une partie de l'enquête en ligne et une autre sur format papier traditionnel. Une autre réflexion est que nous avons aujourd'hui en Belgique un système qui est excellent, mais qui comporte des éléments trop peu connus du public, comme le MAF social et le MAF fiscal. Il y a un travail énorme à faire pour encore mieux informer les gens.

Mark Bogaert: Je suis content que Lieven Annemans ait évoqué la notion d'incertitude, qui est trop souvent négligée. On veut quantifier le maximum de choses, mais on ne dispose pas

toujours de données fiables. Il est vraiment indispensable d'avoir des preuves solides, sinon on peut se demander si cela vaut la peine de vouloir faire des calculs aussi précis.

Rob Baltussen: Je suis tout à fait d'accord avec Lieven Annemans sur la distinction entre MCDA et MCDD. Ce n'est pas que l'un soit mauvais et l'autre bon: il y a un large spectre qui va de l'un à l'autre. J'ai fait pendant plusieurs années de la MCDA quantitative et cela m'a appris à être beaucoup plus nuancé: le grand défi est de savoir comment opérationnaliser les critères.

Irina Cleemput: En ce qui concerne la question de la représentativité, nous sommes tout à fait conscients des limites d'une telle enquête et nous allons tout mettre en œuvre pour éliminer les obstacles qui empêcheraient la participation de certaines catégories de personnes. L'invitation à participer sera adressée par courrier classique et les gens pourront obtenir une version papier de l'enquête sur simple demande téléphonique. D'autre part, nous sommes aussi parvenus à la conclusion que l'incertitude était un élément qui s'appliquait à tous les critères et nous allons en tenir compte: pour chaque question, nous allons demander aux gens si leur réponse serait différente au cas où il y aurait un certain degré d'incertitude quant à l'efficacité de l'intervention ou à l'espérance de vie qu'elle permet.

Myriam De Spiegelaere: Je voulais ajouter une barrière que je n'ai pas évoquée dans mon intervention. Les questions sont généralement posées de façon relativement abstraite: on parle par exemple 'd'une pathologie' en général qui augmente l'espérance de vie d'autant mais qui entraîne telle ou telle conséquence. Or, nous-mêmes, lorsque nous raisonnons, nous 'traduisons' souvent la question générale en un exemple concret qui nous aide à nous positionner. Je crains dès lors qu'une partie des gens ne décrochent et que seuls répondront ceux qui ont la capacité à entrer dans le registre de l'abstrait. Il y a donc un travail à faire, dans la formulation des questions, pour se rapprocher au maximum de la manière dont raisonnent la plupart des gens. Je me demande aussi comment on va interpréter les résultats en fonction de certaines données personnelles comme l'âge, le sexe, l'état de santé, le niveau de qualification etc.

René Westhovens: Je pense aussi que le citoyen ou le patient va répondre différemment en fonction du contexte dans lequel il se trouve. La manière dont les questions seront formulées est aussi importante et il serait bon d'impliquer les patients dans cet exercice de formulation.

Raf Mertens (KCE): L'incertitude est effectivement un élément très intéressant, mais difficile à gérer. Un exemple récent: la semaine dernière, je participais à une réunion avec des néphrologues à propos d'un appareil permettant d'irriguer des reins de donneurs décédés pendant leur transport. C'est une technologie qui semble très prometteuse, mais au sujet de laquelle il règne encore une grande incertitude. Les néphrologues estimaient qu'il serait dommage de priver les patients de cette opportunité. Leur raisonnement consistait donc à donner au patient le bénéfice du doute alors qu'au niveau systémique, un choix plus éthique consisterait à donner la préférence à des techniques plus classiques mais plus sûres. La question est donc de savoir si le doute est une valeur positive ou négative.

Ri De Ridder: Je voulais revenir sur l'un des aspects de l'exposé de Lieven, qui a dit que l'objectif était en fin de compte de donner à la population la plus grande plus-value possible. Mais une

autre fonction de notre système de santé est aussi de protéger les plus faibles. Et ceux-ci peuvent parfois être isolés, comme dans le cas des maladies orphelines. Quand on est face à des cas très rares, les courbes proposées dans le modèle de Lieven deviennent très relatives et ce sont d'autres valeurs qui entrent alors en jeu. J'ai donc des réticences vis-à-vis de seuils absolus au-delà desquels la décision deviendrait positive ou négative: je préfère des méthodes dans lesquelles, au-delà d'un certain seuil, les critères doivent peser d'un plus grand poids pour pouvoir parvenir à une décision raisonnable.

Lieven Annemans: C'est un argument tout à fait judicieux, qui est lié à la définition du besoin social ou thérapeutique. J'ai par exemple fait remarquer qu'on demandait s'il s'agissait d'une maladie rare ou d'une maladie à forte prévalence, et que ces deux aspects étaient l'un et l'autre considérés comme des éléments positifs: si beaucoup de gens en souffrent, on considère qu'il s'agit d'un besoin social élevé, mais si la maladie est très rare, on estime aussi qu'il s'agit d'une priorité! Il ne sera donc pas facile d'explorer toutes ces corrélations. Mais si on y parvient, je trouve qu'il est important d'avoir des seuils qui donnent un signal clair à l'industrie pharmaceutique et qui lui indiquent jusqu'où nous sommes prêts à aller, en tant que société.

René Westhovens: À propos de ces dossiers de remboursement très chers, pour lesquels on est soumis à de fortes pressions, je voudrais préciser que la contractualisation permet aussi de réduire certains facteurs d'incertitude en réexaminant des décisions précédentes grâce à des données obtenues entre-temps. Mais pour le reste, je suis d'accord pour dire qu'il doit y avoir une certaine forme de signal qui est donné.

Laurence Kohn (KCE): En ce qui concerne la formulation des questions et le point soulevé par Myriam De Spiegelaere, nous sommes conscients des limites de ce type d'outil, même si on va s'efforcer de simplifier autant que possible les concepts utilisés. Mais on voudrait aussi éviter de laisser trop de place à l'émotionnel et à l'expérience individuelle en citant explicitement des exemples concrets. On va essayer de faire réfléchir les personnes à des critères plutôt que de les faire réagir à des témoignages personnels, même si cela rend l'exercice plus difficile. Ce sont des techniques qui ont déjà fait leurs preuves dans d'autres enquêtes. Pour ce qui est des caractéristiques socio-démographiques, on pose effectivement une série de questions pour vérifier la représentativité de l'échantillon, mais il n'est pas question pour l'instant d'utiliser ces données pour établir des liens précis entre le type de réponse et le profil de la personne.

Daniel Devos: La discussion se focalise toujours sur le remboursement des médicaments, en particulier dans des dossiers très médiatisés de médicaments rares qui ne concernent que quelques patients. Mais on ne s'intéresse pas à tous les autres coûts pour des pathologies beaucoup plus courantes. Prenons l'exemple de la néphrologie: une enquête (à laquelle peu de médecins et d'hôpitaux ont d'ailleurs accepté de participer) a révélé que les revenus des néphrologues étaient assez exorbitants. C'est un élément qui échappe à tous les processus décisionnels dont il est question ici. On a donc tendance à faire de la casuistique sur des questions de rapport coût-efficacité pour quelques maladies rares et à négliger tout à fait des postes de dépenses beaucoup plus importants, qui pèsent beaucoup plus lourd sur le financement du système de santé que les quelques millions que coûte un enfant atteint d'une maladie orpheline!

Rob Baltussen: D'accord, mais en fait les coûts du néphrologue sont intégrés dans l'analyse du rapport coût-efficacité du traitement. Si les coûts d'un intervenant sont trop élevés, cela va se répercuter sur le résultat de cette analyse. Il y a donc tout de même une certaine logique dans tout cela puisque des coûts trop élevés sont indirectement pénalisés.

Lieven Annemans: Une hémodialyse revient à 50.000 euros par QALI, compte tenu de ce que gagnent les néphrologues. On est donc au-dessus du seuil, mais heureusement la société accepte de financer l'hémodialyse parce qu'elle estime que ce n'est pas aux patients de le faire. On accepte donc implicitement de relever le seuil dans ce cas-là. Evidemment, si on réduisait de 20% les revenus des néphrologues, on reviendrait dans des normes socialement acceptables, mais c'est une discussion beaucoup plus difficile à mener.

Philippe Renotte: On parle beaucoup du remboursement de nouveaux médicaments, souvent chers, mais il faut aussi inclure dans la discussion des médicaments dits 'de confort' – mais qui peuvent être indispensables à certains patients dans leur vie de tous les jours – auxquels une partie de la population n'a pas accès pour des raisons financières. Il suffirait d'un remboursement minimal, de l'ordre de 5%, pour que ces médicaments tombent dans le système de l'INAMI et donc aussi du MAF, ce qui les rendrait accessibles aux plus précarisés.

Ri De Ridder: Cette technique a déjà été appliquée, par exemple avec le paracétamol pour des patients chroniques. La ministre a demandé à l'Observatoire de voir si cela pouvait aussi être fait pour les médicaments de confort pour certaines maladies chroniques, mais le problème est qu'on manque actuellement de données pour décider.

[Intervenant non identifié]: On parle de rapport coût-efficacité, mais je me demande comment on va déterminer cette efficacité quand je vois aujourd'hui le nombre de dossiers (de médicaments du chapitre 4, de matériel et d'implants de la catégorie 5...) pour lesquels on est en train de tester l'efficacité, avec des résultats différents selon les interlocuteurs. Peut-on avoir des paramètres de référence?

Lieven Annemans: Vous avez tout à fait raison, les calculs du rapport coût-efficacité sont souvent imparfaits. On tient compte de cinq dimensions pour calculer les QALIS: la mobilité, les soins, les activités journalières, la douleur et la dépression. Or, il y a beaucoup d'autres aspects qui jouent dans la vie d'un patient, comme l'apparence extérieure (notamment en dermatologie) ou le sentiment de gêne (pour l'incontinence par exemple). Les fonctions cognitives ne sont pas bien intégrées non plus. Il est urgent de trouver de meilleurs moyens pour capter la valeur réelle pour le patient.

Myriam De Spiegelare: Ce que vous soulevez est important et montre que le patient a quelque chose à dire sur les dimensions de l'efficacité qui doivent être prises en compte. Il y aurait donc intérêt à développer la participation dans ce domaine pour mieux capter les représentations des patients.

René Westhovens: Je rejoins ce point de vue. Je travaille pour l'instant à une étude sur les préférences des patients durant le traitement de la maladie. On voit apparaître des dimensions

telles que l'apparence, l'estime de soi, la fatigue... Les patients peuvent nous indiquer quels sont les aspects auxquels nous devons nous intéresser.

Raf Mertens: Je pense qu'on s'est un peu écarté du sujet du débat. Notre exercice ne porte pas sur telle ou telle thérapie bien précise, pour laquelle il faudrait bien sûr intégrer le point de vue du patient, mais consiste à capter des valeurs sociétales à un niveau plus général. Une fois qu'on aura fait ça, on pourra décliner les résultats de cet exercice en fonction de pathologies concrètes.

Lieven Annemans: Vous avez raison, mais l'un des principaux critères mentionnés dans les enquêtes est l'efficacité du traitement. Il faut donc bien réfléchir à la manière d'opérationnaliser ce critère de l'efficacité du traitement, en tenant compte d'éléments qui sont importants pour les patients et que nous ne parvenons pas à suffisamment bien capter à l'heure actuelle. De ce point de vue, je ne pense pas que nous nous soyons vraiment écartés de notre sujet.