

ÉVALUATION ÉCONOMIQUE DES TECHNOLOGIES DE SANTÉ DU NICE : UN REGARD EXPERT

Sandy Tubeuf

Presses de Sciences Po | « Les Tribunes de la santé »

2010/2 n° 27 | pages 79 à 90

ISSN 1765-8888

Article disponible en ligne à l'adresse :

<https://www.cairn.info/revue-les-tribunes-de-la-sante-2010-2-page-79.htm>

Distribution électronique Cairn.info pour Presses de Sciences Po.

© Presses de Sciences Po. Tous droits réservés pour tous pays.

La reproduction ou représentation de cet article, notamment par photocopie, n'est autorisée que dans les limites des conditions générales d'utilisation du site ou, le cas échéant, des conditions générales de la licence souscrite par votre établissement. Toute autre reproduction ou représentation, en tout ou partie, sous quelque forme et de quelque manière que ce soit, est interdite sauf accord préalable et écrit de l'éditeur, en dehors des cas prévus par la législation en vigueur en France. Il est précisé que son stockage dans une base de données est également interdit.

L'EXPERTISE

Évaluation économique
des technologies de santé
du NICE : un regard expert

Sandy Tubeuf

Au moment de sa création en 1999, le NICE était le premier institut d'évaluation économique au niveau international. Sa méthode basée sur une évaluation de l'efficacité clinique et du rapport coût-efficacité des interventions pour élaborer des recommandations est un standard de pratique médicale pour de nombreux pays. Cet article décrit le processus d'évaluation des technologies de santé mis en place par le NICE et notamment les évolutions récentes, puis fait le point sur les aspects de ce processus qui font débat.

1. Pole J.D., « Mass radiography: a cost/benefit appraisal », Oxford, Problems and Progress in Medical Care, Essays on Current Research, Nuffield Provincial Hospitals Trust, 1971.

En matière d'évaluation économique des technologies de santé, le Royaume-Uni se distingue des autres pays par son expérience historique d'évaluation de programmes de santé pour informer les décisions publiques. La première étude remonte à 1971 et s'intéressait à l'évaluation économique du dépistage de la tuberculose par radiographie¹. Alors que le système de santé anglais (NHS) consacre une part de son budget à l'évaluation économique des technologies de santé depuis les années 1990, l'événement marquant dans l'histoire de l'évaluation économique au Royaume-Uni est cependant la création, en 1999, du NICE (National Institute for Clinical Excellence, Institut national pour l'excellence clinique), devenu en 2005 le National Institute for Health and Clinical Excellence (Institut national pour la santé et l'excellence clinique). Cet institut a pour mission d'établir les recommandations cliniques du système de santé en Angleterre et au Pays de Galles. Au moment de sa création, le NICE était le premier institut de la sorte au niveau international, ce qui a contribué à faire de ses conseils des standards de pratique médicale. Malgré cela, son travail rencontre des difficultés importantes liées à la fois à l'évolution de l'environnement dans lequel s'inscrivent ses

missions (choix des technologies à évaluer, nombre d'appels contre les décisions, augmentation des prix des nouveaux médicaments, budget restreint du NHS, etc.) et à la nécessité de définir un cadre méthodologique de référence qui assure la pérennité des recommandations et qui reste suffisamment souple pour pouvoir évoluer avec les débats d'actualité.

Cet article a pour objectif de décrire les différents aspects de la méthode d'évaluation économique utilisée par le NICE dans le cadre de l'évaluation des technologies de santé. Dans la première partie, nous fournissons une description générale du NICE et de ses objectifs puis, dans une seconde partie, nous décrivons le processus d'évaluation économique des technologies de santé dans ses grandes lignes. La troisième partie se penche sur les évolutions récentes de la méthode d'évaluation et enfin, la discussion des aspects de cette méthode faisant débat est effectuée dans la quatrième et dernière partie.

Le NICE

Le NICE a principalement été fondé pour changer la loterie des codes postaux qui entraînait des inégalités régionales de santé puisque les centres de soins locaux (*primary care trust area*) décidaient eux-mêmes de la disponibilité et du remboursement ou non d'un médicament ou d'un traitement. Le NICE est un organisme gouvernemental indépendant rattaché au département de la santé qui a pour objectif d'aider le NHS à faire des choix en matière d'allocation des ressources. Il est chargé de fournir des recommandations nationales sur le traitement et les soins en veillant à la fois à la promotion de l'excellence clinique et à l'utilisation efficace des ressources du système de santé. Ces recommandations doivent être faites à partir d'une revue complète des données les plus fiables disponibles. Les quinze membres du conseil d'administration ainsi que son président (qui ne sont pas des directeurs du NICE) sont nommés par le département de la santé alors que les membres exécutifs sont choisis sur la base de concours ouverts.

Dans le domaine des services cliniques, le NICE produit trois types de documents : des évaluations de technologies de santé (incluant les médicaments et les interventions médicales ou diagnostiques), des directives cliniques et des recommandations sur les procédures interventionnelles et les programmes de santé publique. Le NICE s'appuie sur une évaluation de l'efficacité clinique et du rapport coût-efficacité des interventions pour élaborer ses recommandations et incorpore dans son appréciation les critères suivants : i) les besoins cliniques des patients concernés, ii) l'équilibre des

avantages cliniques et des coûts engendrés, et iii) les avantages à long terme.

Cet article s'intéresse particulièrement aux évaluations de technologie de santé et nous n'aborderons donc pas le processus d'élaboration des directives cliniques, des interventions ou des décisions de santé publique. Les évaluations des technologies de santé du NICE bénéficient du soutien d'une directive du département de la santé de 2002, selon laquelle les gestionnaires du NHS se doivent de rendre disponibles les fonds nécessaires à l'application des recommandations du NICE au plus tard trois mois après leur publication. Les directives du NICE influencent donc directement les pratiques des gestionnaires du NHS.

Il existe deux types d'évaluation de technologies de santé : les évaluations simples et les évaluations multiples. Les évaluations simples s'intéressent à une unique technologie suggérée pour le traitement d'une maladie particulière et sont réalisées en moins d'un an. Quant aux évaluations multiples, elles comparent différents types de traitements, donc produits par différents industriels, pour une même maladie, et peuvent durer jusqu'à deux ans.

Avant 2005, le NICE chargeait une équipe technique d'effectuer une analyse complète de la technologie (revue systématique de la littérature, construction d'un modèle d'évaluation économique incorporant les technologies comparatives disponibles) et de produire le ratio coût-efficacité de la technologie considérée. L'évaluation du NICE était alors effectuée au regard des différences entre les résultats de l'analyse de l'industriel et ceux de l'analyse de l'équipe technique. Ce procédé était coûteux en temps (plus de deux ans) et les résultats produits pouvaient être inutilisables, particulièrement dans le cadre des évaluations de médicaments anticancéreux puisque, avant que le NICE puisse produire une recommandation, d'autres technologies apparaissaient dont les caractéristiques étaient ignorées.

Pour ces raisons, dans le cadre des évaluations simples, le NICE encourage maintenant l'industrie pharmaceutique à produire elle-même l'analyse coût-efficacité de ses produits et confie à une équipe universitaire indépendante une relecture critique de cette analyse. C'est ce processus spécifique, bien établi et prospectif que nous considérons dans cet article. Il se décompose en trois phases. La première phase est la phase de cadrage (*scoping*), où la technologie à évaluer est sélectionnée. La deuxième phase est la phase d'appréciation (*assessment*), durant laquelle un rapport qui guidera l'évaluation de la technologie est produit par un centre universitaire indépendant. La troisième phase est celle de l'évaluation (*appraisal*), qui conduit à la production de la recommandation.

LE PROCESSUS D'ÉVALUATION

La phase de cadrage

Les évaluations du NICE concernent principalement les médicaments, nouveaux ou existants, les appareils médicaux, les diagnostics techniques, les techniques chirurgicales, les traitements et les procédures menés au sein du NHS. Il est important de souligner que tous les nouveaux médicaments ne sont pas évalués par le NICE. Les technologies évaluées se limitent aux médicaments ou traitements souvent onéreux qui représentent généralement une faible proportion des prescriptions. Le choix et la sélection d'une technologie à évaluer sont faits en étroite collaboration entre le NICE et le département de la santé, ou proposés à ce dernier par le National Horizon Scanning Centre (centre de veille), par la communauté clinique ou encore par quiconque faisant une suggestion via le portail Internet du NICE. Les critères utilisés pour cette sélection sont les suivants :

- il s'agit d'une priorité du NHS du point de vue de la population concernée et/ou de la gravité de la maladie (morbidité, mortalité) ;
- il y a un gain financier potentiellement significatif pour le NHS et le secteur public ;
- il y a un gain en santé potentiellement significatif ;
- il s'agit d'une technologie correspondant à un vrai besoin clinique ;
- il s'agit d'une technologie correspondant aux priorités politiques gouvernementales ;
- il existe des variations de pratiques inappropriées dans le traitement ou le traitement est controversé.

L'évaluation de la technologie commence à partir du moment où le NICE est officiellement chargé de cette évaluation par le département de santé. Le NICE désigne alors une équipe interne pour l'évaluation de la technologie, composée d'un codirecteur, d'un chef de projet, d'un expert technique et d'un responsable administratif. Ils seront chargés de communiquer avec les différents interlocuteurs intervenant dans l'évaluation et de porter l'évaluation jusqu'à la recommandation.

En premier lieu, le NICE invite l'industriel à produire un dossier standardisé (*manufacturer submission*), où sont présentés les résultats cliniques et économiques et l'analyse coût-efficacité de la technologie. La version électronique du modèle économique utilisé pour l'analyse est elle aussi jointe au dossier. L'industriel a huit semaines pour remplir ce dossier. Il doit cependant produire dans les deux premières semaines un document sur la problématique considérée (*decision problem*), qui décrit la population à laquelle s'adresse la technologie, le type d'intervention et les technologies comparatives dispo-

nibles au sein du NHS. À partir de ce document, le NICE rédige un document d'étude établissant le champ d'action de l'évaluation.

Durant les huit semaines, le NICE identifie les différentes parties intéressées par la technologie, à savoir les organisations professionnelles, les associations de patients et d'aidants, l'industrie et les *primary care trust* (PCT), les informe de l'évaluation en cours et les invite à commenter la technologie en question. À la réception du dossier complet de l'industriel, le NICE demande à un centre universitaire indépendant (*evidence review group*), de juger le dossier et le modèle et de préparer un rapport de lecture critique (*assessment report*).

La phase d'appréciation

Sept centres universitaires sont actuellement désignés pour réaliser le travail de relecture critique du dossier et du modèle du fabricant. De nouveaux centres sont en préparation afin que le NICE dispose de la collaboration d'une dizaine de centres d'ici la fin de l'année 2010. Ces groupes sont composés d'experts multidisciplinaires qui ont des capacités de recherche clinique et économique. Le NICE n'établit pas directement le contrat, la collaboration est réalisée par le Health Technology Assessment Programme (programme d'évaluation des technologies de santé) du National Institute of Health Research (Institut national de la recherche en santé).

La production du rapport de lecture se fait selon un protocole bien défini chronologiquement que l'équipe académique doit compléter dans un délai de huit semaines. À la réception du dossier du fabricant et du modèle, le groupe d'experts a dans un premier temps deux semaines pour préparer un ensemble de questions de clarification transmises à l'industriel. Les experts peuvent par exemple lui demander de fournir des documents supplémentaires concernant les résultats des essais cliniques sur lesquels il s'appuie, ou simplement de clarifier des points du rapport ou des détails sur les données entrées dans le modèle. L'industriel a deux semaines pour répondre à ces requêtes et fournir les documents réclamés. L'équipe académique s'appuie alors sur le dossier original de l'industriel, le modèle électronique et les réponses aux points de clarification pour rédiger l'*assessment report*. Le groupe d'experts peut être amené à faire des analyses supplémentaires, notamment pour tester la robustesse des résultats de l'analyse coût-efficacité de l'industriel ; néanmoins, son rapport reste essentiellement une lecture critique de la soumission de l'industriel. Les éléments clefs de ce rapport d'expertise sont la revue systématique des résultats cliniques et économiques avancés par l'industriel et l'appréciation de l'analyse coût-efficacité ou coût-utilité. De plus, le groupe

d'experts s'appuie sur un rapport standardisé qui est préparé en accord avec les critères de qualité établis par le programme HTA. En effet, dans un souci d'homogénéisation de la procédure d'évaluation, le NICE fournit à l'industriel comme au groupe d'experts des dossiers standardisés que ceux-ci doivent remplir. Ces dossiers standardisés s'appuient sur le cas de référence, qui représente la méthode préférée du NICE sur les aspects suivants : la définition du problème analysé, les technologies comparatives à considérer, la mesure des coûts, la mesure de la santé et des améliorations de l'état de santé, le type d'évaluation économique à privilégier, la façon de synthétiser les données disponibles, l'actualisation des coûts et des bénéfices sur la santé, etc. Nous reviendrons sur le cadre de référence en discussion.

Le rapport que l'*evidence review group* transmet au NICE est alors adressé aux membres du comité d'évaluation. Deux semaines plus tard, une réunion rassemblant le NICE, le groupe d'experts, le président du comité d'évaluation et deux rapporteurs (clinique et économique) est organisée pour préparer la réunion du comité d'évaluation qui se tiendra une dizaine de jours plus tard. À la suite de cette réunion, généralement téléphonique, le NICE produit un document récapitulatif des points de discussion majeurs (*premeeting briefing*), adressé aux différents participants au comité d'évaluation.

Douze semaines se sont alors écoulées entre la réception du dossier complet de l'industriel et l'organisation de la réunion du comité d'évaluation.

La phase d'évaluation

Un comité indépendant (*appraisal committee*) se réunit avec les parties intéressées : équipe interne du NICE, groupe académique d'experts, deux experts médicaux qui connaissent bien la technologie (souvent des médecins qui ont fait partie d'essais cliniques), un patient et/ou un représentant des patients. Depuis la fin de l'année 2009, deux représentants de l'industriel sont aussi invités à prendre part à la réunion et peuvent être directement interrogés pour clarification par le président ainsi que par les membres du comité. Auparavant, ils pouvaient être présents dans la salle mais n'étaient pas interrogés ; ils étaient alors assis avec les membres du public et la presse qui peuvent aussi être présents.

La réunion se tient en deux temps. La première partie est ouverte alors que la seconde partie, celle où se prend la décision, est confidentielle et ne concerne que les membres du comité, l'équipe interne du NICE et le groupe académique d'experts.

La première partie de la réunion dure entre une heure et demie et deux heures. Après l'ouverture de la réunion par le président, les rapporteurs pren-

nent la parole l'un après l'autre pour respectivement présenter les résultats de l'efficacité clinique puis de l'évaluation économique. La présentation de l'efficacité clinique souligne particulièrement les conditions de santé dans lesquelles la technologie est indiquée, la place de la technologie dans le parcours de soins, les technologies comparatives et les résultats de l'efficacité clinique. La présentation de l'évaluation économique décrit les caractéristiques du modèle et les résultats de l'analyse coût-efficacité. Les rapporteurs soulignent de plus les problèmes majeurs soulevés dans le rapport des experts. Après ces deux présentations, le président et le comité s'adressent directement aux experts médicaux puis au patient et au représentant des patients pour mieux comprendre la technologie, la façon dont elle est administrée et ce qu'elle a permis d'améliorer dans la vie des patients. Les aspects méthodologiques, notamment les limites de la modélisation et la robustesse des résultats présentés, sont discutés avec les représentants de l'industriel et avec le groupe académique d'experts.

La seconde partie de la réunion dure environ une demi-heure. Les membres du comité prennent la parole à tour de rôle pour discuter les points qui posent problème et les faits décrits par les spécialistes cliniques et les patients. Les questions de clarification, s'il y en a, sont directement adressées au groupe académique d'experts. Ces derniers ainsi que l'équipe interne du NICE ne participent pas à la décision. Les membres du comité sont les seuls à formuler la recommandation. La décision se prend au regard de l'ensemble des éléments débattus et des résultats de l'analyse coût-efficacité, en particulier la valeur du ratio incrémental coût-efficacité (*incremental cost-effectiveness ratio*, ICER). Ce ratio s'exprime généralement en coût par QALY² (*quality-adjusted life years*) et représente la variation des coûts en fonction des changements de la qualité de vie des patients. Les points de discussion majeurs dans cette seconde partie de la réunion sont les suivants :

- la technologie présente-t-elle un ratio coût-efficacité satisfaisant ?
- le comité souhaite-t-il faire une recommandation pour un sous-groupe de patients ?
- la technologie correspond-elle à un traitement de patients en fin de vie ?

L'aspect coût-efficacité de la technologie est vérifié en comparaison au seuil de décision fixé par le NICE. Concrètement, il s'agit d'un intervalle compris entre £20 000 et £30 000 par QALY et qui permet au NICE de disposer d'une certaine marge de manœuvre en comparaison à un seuil à valeur unique. Si le ratio incrémental coût-efficacité est au-delà de cet intervalle, la technologie est *a priori* jugée non « coût-efficace ».

Néanmoins, si la technologie s'adresse à des patients en fin de vie, alors

2. Le QALY est une unité de mesure synthétique et unidimensionnelle de l'état de santé qui permet de comparer différents médicaments ou interventions médicales et qui combine des informations relatives aux bénéfices en matière de longévité et à l'amélioration de la qualité de vie. Un QALY d'une valeur de 1 représente une année en parfaite santé. Une fraction de QALY correspond à une fraction d'année en parfaite santé ou une année en mauvaise santé.

le NICE peut s'éloigner de l'intervalle de décision. Ce cas particulier correspond au protocole des soins en fin de vie mis en place en janvier 2009. Si la technologie concerne une faible population de cas incurables, i.e. moins de 7 000 patients par an, qui ont moins de 24 mois d'espérance de vie et qui ne disposent pas déjà d'un traitement comparatif de même efficacité, alors le seuil d'acceptabilité est revu à la hausse et est compris entre £30 000 et £70 000 par QALY.

Après avoir répondu à ces trois questions, le comité est en mesure de prendre l'une des trois décisions possibles : i) oui, ii) non ou iii) non pour le moment (*minded no*). Si la décision est oui ou non, le NICE, à l'issue de la réunion, en collaboration avec le comité, rédige la recommandation (*appraisal consultation committee*, ACD). Les parties intéressées et le public ont quatre semaines pour réagir à ce document. Le comité revoit le document en fonction des commentaires reçus et publie une version finale de la recommandation (*final appraisal determination*, FAD), soumise au NICE pour approbation. Si la décision est *minded no*, la décision est reportée à une seconde réunion du comité d'évaluation organisée au plus tard deux mois après la première réunion. À l'issue de la première réunion, le comité rédige un document de clarification à l'attention de l'industriel, qui doit produire des éléments complémentaires. Le groupe académique d'experts est alors à nouveau sollicité pour une relecture critique des réponses de l'industriel et du nouveau modèle, le cas échéant. À l'issue de la seconde réunion, le comité prend une décision (oui ou non) et rédige l'ACD suivie de la FAD.

À la publication des recommandations, l'industriel, les organisations professionnelles ou les associations de patients ou d'aidants ont quinze jours pour lancer les procédures d'appel. Il y a trois motifs acceptables pour cela : une erreur dans le processus, une contradiction délibérée, un abus de pouvoir du NICE. S'il n'y a pas de procédure d'appel ou si l'appel n'est pas recevable, la recommandation devient le document officiel.

Cette description précise et argumentée du processus d'évaluation des technologies de santé démontre l'approche prospective du NICE avant d'atteindre sa décision. Cependant, il est important de souligner que le NICE a fait évoluer au cours du temps ses méthodes de travail et questionne régulièrement leur bien-fondé. La section suivante présente donc les évolutions récentes ou envisagées du processus.

ÉVOLUTIONS RÉCENTES DU PROCESSUS

En janvier 2009, le NICE a confié au professeur sir Ian Kennedy une étude visant à évaluer la place donnée à l'innovation dans le processus d'évaluation

des technologies de santé. Cette étude a aussi été l'occasion de réfléchir au processus d'évaluation en tant que tel. Plusieurs éléments de ce rapport nous semblent particulièrement intéressants à mentionner parce qu'ils ont été pris en compte dans la procédure d'évaluation du NICE : i) la prise en compte de l'ensemble des bénéfices de santé d'un nouveau traitement, ii) la prise en compte de l'ensemble des bénéfices sociaux, iii) la place de l'industriel, et iv) le processus de soutien de l'innovation.

Prise en compte de l'ensemble des bénéfices de santé d'un nouveau traitement

3. Kennedy I., « Appraising the value of innovation and other benefits, a short study for NICE », Research and Development, NICE, 2009 (<http://www.nice.org.uk/media/98F/5C/nkenedyStudyFinalReport.pdf>).

Le rapport Kennedy³ s'interrogeait sur les dimensions de la santé prises en compte dans le QALY puisque le terme « qualité de vie » implique un jugement de valeur variable d'un individu à un autre. En particulier, des patients pourront préférer un traitement associé à moins de QALY pour éviter un effet secondaire douloureux. De même, la mesure des QALY sera biaisée s'il s'agit de patients souffrant de maladies chroniques dont les critères de qualité de vie ne seront pas comparables. Pour ces raisons, le rapport Kennedy suggère qu'une liste de tous les bénéfices liés à la santé soit prise en compte dans l'évaluation. Le NICE a répondu positivement à ce commentaire et, depuis octobre 2009, les bénéfices potentiels des technologies évaluées sont établis à deux moments : tout d'abord dans la phase de cadrage, où les différentes parties prenantes (industriel, organisation de patients, experts médicaux) sont invitées à identifier l'ensemble des bénéfices, puis dans le rapport standardisé que l'industriel doit remplir, où a été ajoutée une nouvelle section dans laquelle les bénéfices démontrés par la technologie doivent être clairement décrits.

Prise en compte de l'ensemble des bénéfices sociaux

4. Palmer S., Smith P.C., « Incorporating option values into the economic evaluation of health care technologies », *Journal of Health Economics*, 19 (5), 755-766, 2000.

5. Michaels J., « Improving NICE's social value judgments », *British Medical Journal*, 332, 48-50, 2006.

Le rapport Kennedy ainsi que plusieurs publications^{4,5} ont critiqué le fait que le NICE recommande une mesure des gains et des coûts dans la seule perspective du NHS. Ainsi, la recommandation d'une technologie aura des conséquences en dehors du portefeuille du NHS qui pourraient être prises en compte afin de réaliser une analyse d'évaluation économique complète. Il est question, par exemple, des gains financiers liés au fait que des aidants puissent retrouver une vie plus indépendante ou au fait qu'un patient puisse reprendre une activité professionnelle, ou encore des gains liés à la réduction de congés maladie ou invalidité. En réponse à cette suggestion, le NICE envisage de travailler avec des sources potentielles de financement de la recherche pour stimuler un appel à projets de recherche sur le sujet.

Place de l'industriel dans l'évaluation

Le rapport Kennedy a souligné qu'en dehors de l'élaboration du dossier et des clarifications à apporter, les connaissances de l'industriel n'étaient pas mobilisées par le NICE. De plus, l'opacité de la délibération sur la dimension coût-efficacité était elle aussi critiquée : n'étant pas convié à participer à la seconde partie de la réunion du comité, l'industriel ne pouvait pas comprendre complètement les motifs de la décision du NICE.

Une première suggestion était de voir le NICE collaborer avec l'industrie pharmaceutique durant tout le processus d'évaluation afin que les représentants de l'industriel aient à jouer un rôle plus important dans ce processus d'évaluation, à l'image des organisations de patients et des experts médicaux. Une autre suggestion du rapport Kennedy était de permettre à l'industriel de disposer d'un enregistrement ex-post de la seconde partie de la réunion.

La réponse du NICE a été d'inviter l'industriel à participer activement à la première partie de la réunion depuis novembre 2009. Le président comme les membres du comité s'adressent directement à lui pour les aspects cliniques et/ou méthodologiques à propos de la technologie. L'industriel a de plus la possibilité d'indiquer à la fin de la première partie de la réunion si certaines erreurs ont été commises dans la façon de considérer les données et le dossier. Cependant, en ce qui concerne la seconde partie de la réunion, le NICE estime que des éléments de la délibération doivent rester confidentiels même après la publication de la recommandation ; de ce fait, un enregistrement ne serait pas justifié.

Une autre évolution récente liée à l'implication de l'industriel a été mise en place par le NICE. Depuis janvier 2010, l'industriel reçoit le rapport du groupe académique d'experts avant la réunion du comité. Il a alors la possibilité d'apporter des clarifications aux problèmes soulignés dans le rapport et de soulever des points contradictoires avec le rapport. Cette nouvelle implication vise aussi à réduire les procédures d'appel qui sont coûteuses en temps et en argent non seulement pour NICE, donc pour le NHS, mais aussi pour toutes les parties prenantes.

Processus de « laisser passer » pour l'innovation

L'objectif principal du rapport Kennedy était de s'intéresser à la valeur donnée à l'innovation dans le processus d'évaluation du NICE. La conclusion a été que l'évaluation ne soutenait pas vraiment l'innovation médicale, voire pourrait décourager les industriels d'investir sur le marché britannique. Face à une technologie plus chère que le seuil coût-efficace fixé par le NICE, le rapport Kennedy a suggéré plusieurs solutions :

- le NICE pourrait refuser la technologie mais inviter l'industriel à financer et mener d'autres recherches dont il s'engagera à faire l'évaluation le moment venu ;
- le NICE pourrait provisoirement refuser la technologie mais financer une part de la recherche à condition que le public reçoive dans le futur le traitement « gratuitement », c'est-à-dire à concurrence de l'investissement initial ;
- le NICE pourrait accepter la technologie à condition de partager les risques et que le NHS ne supporte le coût du traitement que dans le cas où la technologie procurerait aux patients les gains en santé espérés ;
- le NICE pourrait accepter la technologie et donc revoir le seuil d'acceptabilité sous certaines conditions.

À la suite du rapport et de ses suggestions, le NICE, les industriels et le département de la santé ont engagé des discussions afin d'établir un processus de « laisser passer » pour l'innovation.

CONCLUSION

Le portrait que nous venons de dresser démontre que le NICE procède à une analyse claire et opérationnelle des technologies de santé et réalise un véritable effort de prise en compte de l'économie dans la décision. Une autre caractéristique intéressante à souligner est le fait que le NICE fasse appel au milieu académique pour réaliser une évaluation de manière indépendante et que des centres collaborateurs soient désignés pour cela en Angleterre. Les évolutions récentes ou en cours au sein du processus d'évaluation des technologies de santé prouve aussi que le NICE a su faire évoluer ses méthodes de travail. Cependant, plusieurs des caractéristiques de la méthode du NICE prêtent selon nous encore à discussion.

En premier lieu, le NICE opère une sélection assez stricte des technologies évaluées. Comparativement à l'ensemble des nouveaux traitements qui reçoivent une autorisation de mise sur le marché et aux technologies déjà utilisées, il semble important de ne pas limiter l'évaluation à des technologies nouvelles et onéreuses, mais d'éclairer les PCT sur les technologies existantes et de s'interroger sur l'exclusion de technologies à faible efficacité ou désuètes, voire de produire des avis sur les traitements qui devraient être proscrits. De plus, il est assez clair que la méthode actuelle d'évaluation des technologies de santé du NICE semble appropriée seulement si le nombre de technologies comparatives disponibles reste limité.

Par ailleurs, si le cadre de référence a l'avantage de permettre une décision cohérente puisqu'il reste le même pour chaque technologie, il reste cepen-

dant rigide. L'utilisation d'indicateurs de qualité de vie ou de mesure d'utilité n'est pas toujours adaptée aux technologies considérées. Dès lors, la question est de savoir si la décision peut se prendre même si l'on sait que certains éléments primordiaux ne peuvent être mesurés.

Enfin, si le protocole des soins en fin de vie correspond à une recherche de plus d'équité, il fait cependant débat. En particulier, l'on peut raisonnablement se demander pourquoi donner plus d'importance à certains patients qu'à d'autres. Le protocole tel qu'il est proposé actuellement considère que des patients en fin de vie sont prioritaires en termes de traitement devant des patients qui endurent des souffrances intenses mais dont le pronostic vital n'est pas affecté. Les seuils du NICE sur la taille de la population concernée, l'espérance de vie et le ratio coût-efficacité font aussi débat.

Enfin, le seuil d'acceptabilité coût-efficacité soulève plusieurs questions. Il est resté le même depuis plus de sept ans et, comme plusieurs publications récentes le suggèrent⁶, l'intervalle choisi par le NICE mériterait d'être changé à la fois pour tenir compte des changements au cours du temps en termes d'efficacité, de budget, d'inflation, et pour inclure des pondérations liées à l'équité. De plus, le NICE fait usage d'un intervalle afin d'avoir plus de souplesse dans la décision. Cependant, il semble qu'un seuil explicite rendrait la décision plus claire qu'un intervalle.

6. Appleby J., Devlin N., Parkin D., « NICE's cost effectiveness threshold », *British Medical Journal*, 335, 358-359, 2007.

contact

s.tubeuf@leeds.ac.uk

Titulaire d'un doctorat européen d'économie au Groupement de recherche en économie quantitative d'Aix-Marseille (GREGAM), Sandy Tubeuf occupe actuellement un poste de chercheur en économie de la santé à l'université de Leeds au Royaume-Uni. Depuis 2008, elle fait partie de l'Evidence Review Group du centre universitaire West Midlands Health Technology Assessment Collaboration qui réalise des rapports de lecture critique pour le NICE dans l'évaluation économique des technologies de santé.

Cet article a bénéficié des échanges lors de la présentation faite aux Rencontres de la HAS de 2009 et à la Commission d'évaluation économique et de santé publique (CEESP) en février 2010.