

## *Préface*

Ce rapport présente les résultats du projet de l'OCDE sur les technologies de la santé, qui s'intégrait dans le projet sur la santé de l'OCDE, sous la direction du groupe Ad Hoc sur la santé. Le projet et le rapport final ont largement bénéficié du soutien et des commentaires formulés par des experts au cours d'une série de réunions qui se sont tenues entre avril 2002 et mars 2004. Les réunions d'experts étaient présidées par le Dr. Jane Cook, le Dr. Bernie Towler et M. Damian Coburn du Ministère australien de la santé et des soins aux personnes âgées. La liste des participants à ces réunions fait l'objet de l'annexe 1.

Les résultats préliminaires et l'analyse du projet ont été présentés lors d'un atelier qui s'est tenu à La Haye, aux Pays-Bas, les 27 et 28 octobre 2003. L'OCDE tient à remercier tous les participants de l'atelier pour leurs contributions (dont on trouvera le programme dans l'annexe 2), ainsi que les gouvernements des Pays-Bas et d'Australie pour leur soutien par un parrainage conjoint. L'OCDE est particulièrement reconnaissant à M. Jeroen Hulleman et ses collègues du Ministère néerlandais de la santé, du bien être et des sports pour leur participation à l'organisation de l'atelier.

M. Kees van Gool et le Dr. Iain Gillespie du Secrétariat de l'OCDE ont contribué aux chapitres 1, 3 et 4 de cet ouvrage. Le chapitre 2 résume deux rapports préliminaires publiés par des consultants dans le cadre de ce projet. Les chapitres 5 à 8 ont été rédigés par des auteurs et des consultants ressortissants de pays emblématiques, et leurs noms apparaissent en tête de ces chapitres. Le chapitre 9 est tiré du rapport préparé par le Professeur John Gabbay à titre de rapporteur de l'atelier.

Enfin, les auteurs souhaitent exprimer leur reconnaissances à M. Dean Huisman pour sa contribution à la conception de l'enquête, au Dr. Philip Haywood pour son aide dans les travaux de recherches, au Dr. Gillian Sykes pour les commentaires préliminaires, à M. Joseph Loux pour la préparation de la publication et à Mme Stella Horsin, Mme Lorna Wilson, Mme Diana Morales et Mme Fabienne Michel pour leur implication dans les tâches de secrétariat.

Ce rapport est publié sous la responsabilité du Secrétaire général de l'OCDE. Les opinions qui y sont exprimées sont propres aux auteurs et ne reflètent pas nécessairement celles de l'OCDE ou de ses gouvernements membres.

## SYNTHÈSE

Ces dernières décennies, l'introduction de nouvelles technologies a considérablement amélioré la santé des citoyens des pays membres de l'OCDE. Pour autant, l'utilisation de ces nouvelles technologies, ainsi que d'autres plus anciennes, est extrêmement variable selon les pays de l'Organisation, ce qui suggère que les technologies les plus efficaces et les plus efficaces ne sont pas toujours celles qui sont le plus fréquemment utilisées. Favoriser l'adoption des technologies médicales efficaces et efficaces demeure un enjeu politique majeur pour de nombreux pays de l'OCDE.

Les travaux auxquels est consacré le présent rapport ont été menés en coopération avec un groupe d'experts issus de pays de l'OCDE. Ils portent sur les mesures qui pourraient être prises pour améliorer l'intégration des technologies efficaces et efficaces dans les systèmes de soins de santé. Les analyses étaient axées sur la production de données probantes, principalement par le biais de l'évaluation des technologies médicales (ETM)<sup>1</sup>, et sur l'utilisation de ces données dans la prise de décision. Les modalités de la prise de décision et de la mise en application de ces décisions ont également été étudiées, ainsi que la gamme des instruments d'action utilisés pour les faire entrer dans l'usage.

Les conclusions exposées dans le présent rapport sont le fruit d'une enquête sur les méthodes d'intégration des technologies médicales dans les systèmes de santé, étude qui porte essentiellement sur les questions suivantes :

- Le processus décisionnel aux niveaux national, régional et hospitalier.
- La production de données probantes (en particulier celles de l'ETM) et leur utilisation lors de la prise de décision.
- Les caractéristiques des systèmes de soins de santé qui facilitent ou entravent la mise en application des décisions.

Douze pays membres de l'OCDE<sup>2</sup> ont participé à cette enquête, à laquelle ont répondu des hauts fonctionnaires, des responsables de l'évaluation des technologies médicales, des administrateurs sanitaires et hospitaliers, des cliniciens et des chercheurs. Des informations comparables ont été recueillies sur des processus de décision réels dans le but de réaliser des études de cas de cinq technologies : la tomographie par émission de positons, le génotypage et le test de la charge virale de l'hépatite C, la télémédecine, le dépistage du cancer de la prostate, et les technologies liées aux accidents vasculaires cérébraux.

- 
1. L'ETM a été conçue pour évaluer les retombées plus vastes des technologies médicales, leurs avantages et leurs coûts. Elle comprend généralement trois étapes : *i*) identification des questions, *ii*) collecte systématique de données scientifiques et d'analyse, et *iii*) appréciation des données, incluant des jugements sur la signification des résultats obtenus. Les données et leur appréciation servent ensuite de base au processus décisionnel.
  2. L'Allemagne, l'Australie, l'Autriche, le Canada, l'Espagne, la France, l'Irlande, le Japon, le Mexique, la Norvège, les Pays-Bas et la Suisse.

Le rapport étudie de manière approfondie trois des principaux écueils auxquels sont confrontés les responsables des politiques qui prennent des décisions relatives à l'utilisation de nouvelles technologies. Il s'agit de la gestion de l'incertitude des données de base, des questions liées au transfert des résultats découlant des évaluations à un autre contexte et des décisions politiques dans le domaine des nouvelles biotechnologies liées à la santé. Enfin, les moyens dont se sont dotés trois pays pour adapter et incorporer l'ETM dans la prise de décision seront examinés.

## La production d'ETM et l'utilisation des données probantes

Il est largement reconnu que l'ETM est un moyen efficace pour fournir aux dirigeants de l'ensemble des échelons du système de soins de santé des données synthétiques, fiables et de qualité. De nombreux pays de l'OCDE s'emploient d'ailleurs à élaborer et à mettre en place des mesures visant à soutenir la production des approches et des méthodologies employées et à élargir leur gamme. Cependant, les investissements consentis dans ce domaine ne représentent toujours qu'une très faible proportion des dépenses de santé totales et les ETM restent confrontées à des difficultés importantes. En particulier, bien que l'on considère que les données produites par l'ETM sont de qualité globalement élevée, l'efficacité de l'évaluation, mesurée par son influence sur la prise de décision n'est aujourd'hui pas prouvée, de même que son incidence sur l'utilisation des technologies médicales ou sur les résultats en matière de santé.

Diverses initiatives sont en cours dans les pays sélectionnés par l'étude, qui visent à étendre la communication des résultats de l'évaluation officielle à un groupe plus large de dirigeants et d'intervenants, comme les responsables des politiques, les cliniciens, l'industrie et les malades. Dans la majorité des cas, ces efforts sont essentiellement axés sur la diffusion. Si aucune méthode de diffusion ne fait encore l'unanimité, et si l'incertitude demeure quant à la transférabilité des méthodes efficaces, certains éléments tendent à prouver qu'une approche par portefeuille donne de meilleurs résultats que toutes les méthodes isolées. Certains pays de l'OCDE se sont attachés à instaurer une « culture » d'élaboration des politiques et des pratiques fondée sur des données probantes en favorisant les activités qui ont davantage besoin de l'ETM, notamment des programmes pédagogiques portant sur le développement, chez les dirigeants, de compétences d'interprétation et d'analyse des données, à instaurer une infrastructure de l'information destinée à accélérer la diffusion des données, et à mettre en place des processus décisionnaires dans lesquels le rôle de l'ETM est mieux défini.

Les ETM ont davantage de chances d'être utilisées par les responsables politiques si les instruments d'action pour leur donner suite existent, si la volonté d'utiliser leurs résultats a préalablement été affirmée, et si la méthodologie employée est considérée comme « adaptée ». Les résultats de l'enquête de l'OCDE tendent à démontrer que l'évaluation des technologies doit, dans une large mesure, être spécifiquement adaptée aux caractéristiques de chaque système de santé, et tenir compte notamment de l'échelon auquel les décisions relatives à l'adoption et à la diffusion des technologies sont prises, ainsi que, dans certains cas, aux technologies particulières qui sont l'objet de l'évaluation. De manière générale, l'ETM doit être plus en rapport avec l'innovation et d'autres aspects de l'élaboration des politiques.

Le rythme de développement de certaines technologies met à l'épreuve les capacités des concepteurs d'ETM à maintenir le niveau d'actualisation de leurs évaluations. Dans la plupart des cas, celles-ci ne sont, en raison principalement du manque de ressources invoqué par leurs concepteurs, mises à jour qu'occasionnellement afin de suivre les

progrès de la recherche et de l'innovation. Lorsqu'elles ont lieu, ces mises à jour rendent les évaluations plus prospectives et leur permettent d'obtenir un impact réel, en mettant en lumière les domaines souffrant de lacunes, en proposant des recherches complémentaires sur certaines questions et en soulignant les secteurs qui pourraient bénéficier de nouvelles améliorations des technologies. Elles ont même, dans certains cas, contribué à la mise au point d'accords entre producteurs et acheteurs portant sur des technologies spécifiques. Des fournisseurs de services de santé se sont efforcés de recourir, lors de leur processus décisionnel, à des informations plus actualisées, en menant des activités « de prévoyance » (telles que les enquêtes prévisionnelles) afin de tenter de détecter les technologies de l'avenir. Toutefois, pour l'heure, il n'existe aucune preuve concluante des répercussions réelles de ces méthodes sur la prise de décision.

En dépit de ces difficultés, l'étude de l'OCDE a révélé que les dirigeants politiques soutiennent massivement le maintien de l'ETM. Cet engagement est confirmé par plusieurs examens récents de cette méthode d'évaluation menés notamment au Royaume-Uni et au Danemark.

## Le processus de décision

L'accès à des données probantes de qualité est une condition nécessaire mais non suffisante pour garantir l'adoption et la diffusion rationnelles des technologies de la santé. Il est de plus en plus admis qu'une utilisation efficace des données probantes dépend, en grande partie, du processus de décision et de la dynamique des systèmes de soins de santé sur les plans institutionnel, organisationnel, politique et culturel.

Pour chacune des technologies qui ont donné lieu à une étude de cas, les décisions relatives à l'adoption et à la diffusion des technologies de la santé sont prises à divers échelons du système des soins de santé. Dans les cas où une infrastructure décisionnelle officielle existe, l'influence des résultats de l'ETM sur la prise de décision semble s'améliorer, peut-être parce que les responsables de la réalisation de l'ETM sont davantage en mesure d'axer leurs évaluations sur des groupes cibles prédéfinis.

Le financement et le remboursement des nouvelles technologies par les prestataires de services de santé sont de plus en plus souvent soumis à des approbations conditionnelles. Ces autorisations permettent « d'entrouvrir la porte » à des technologies encore incertaines et de collecter de nouvelles informations afin de réduire l'incertitude et de minimiser les risques éventuels. Toutefois, pour que l'autorisation conditionnelle soit efficace, il faut que l'ensemble des parties prenantes s'accorde sur la nature des données qui seront collectées, sur les responsables de ces collectes, ainsi que sur la façon dont elles seront utilisées, et à quel stade, pour confirmer ou infirmer l'autorisation. Des craintes existent quant à une utilisation abusive de ces autorisations, et au ralentissement indésirable de l'accès aux nouvelles technologies qu'elle pourrait entraîner, ce qui risquerait de porter préjudice à leur utilisation telle qu'elle est actuellement prévue. Il convient par conséquent de contrôler leur recours.

De manière générale, les décisions relatives aux technologies de la santé seront d'autant mieux acceptées par un large éventail d'acteurs, tels que les professionnels de la santé, l'industrie et les associations de malades, que le processus décisionnel sera considéré comme transparent et fondé sur des données probantes, et qu'il prévoira un dispositif de recours. L'acceptation des décisions par les parties intéressées semble un facteur déterminant de leur mise en application réelle dans les systèmes de santé.

Il est nécessaire d'instaurer un dialogue de meilleure qualité dès les premiers stades du processus d'évaluation entre les producteurs et les utilisateurs des ETM, afin de mieux aligner le contenu de l'ETM, les besoins des dirigeants et les politiques.

## La mise en application des décisions

La pertinence de l'ETM doit être avant tout appréciée au regard de ses répercussions en aval sur les résultats en matière de santé et les performances des systèmes sanitaires. Il apparaît clairement que de nombreux pays de l'OCDE adaptent leurs systèmes de santé à une vision de la politique de la santé qui attache davantage d'importance aux questions de mesure, de responsabilité, d'optimisation des ressources et d'élaboration des politiques et des pratiques fondée sur des données probantes. L'enjeu pour de nombreux responsables politiques consiste à mettre au point des instruments d'action permettant d'atteindre simultanément plusieurs objectifs du système de santé, et particulièrement à concevoir des méthodologies dans lesquelles les retombées directes que peuvent avoir des décisions éclairées sur les résultats en matière de santé ressortent plus explicitement.

La tendance actuelle semble être de veiller davantage à présenter les décisions reposant sur des données probantes sous un éclairage susceptible de favoriser leur mise en pratique. Trois facteurs principaux semblent entrer en jeu. Premièrement, le processus de présentation et de diffusion des résultats. En dépit d'une forte hétérogénéité des moyens mis en œuvre, les approches les plus couramment utilisées (du moins dans les pays sélectionnés pour l'étude) sont l'élaboration de lignes directrices ou de recommandations cliniques, ainsi que la conception de programmes de santé spécifiques, comme tend à le démontrer l'enquête de l'OCDE.

Deuxièmement, il semblerait qu'il existe une prise de conscience croissante de l'influence fondamentale des aspects institutionnels et financiers du système de santé sur la réussite, ou l'échec, de la mise en application des décisions. L'octroi d'un financement supplémentaire ou une certaine flexibilité budgétaire sont des critères importants pour faciliter la mise en œuvre des décisions. Les caractéristiques des systèmes de santé, y compris les modalités de paiement des prestataires, peuvent avoir une influence considérable, positive ou négative, sur l'efficacité des prises de décision, et risquer d'entraîner une sous-utilisation des technologies rentables.

Enfin, troisièmement, le niveau de confiance dont font preuve les parties concernées à l'égard des données probantes et des systèmes qui les utilisent, apparaît de plus en plus comme un facteur clé. L'un des moyens de contribuer à susciter cette confiance semble être d'appliquer le principe du partage des risques. Un certain nombre de prestataires de services de santé des pays de l'OCDE innove dans leurs pratiques, notamment en signant des accords avec des fournisseurs de technologies et avec l'industrie, mettent en application des décisions qui visent à récolter les bénéfices des nouvelles technologies, à gérer l'incertitude et à reconnaître la valeur de la véritable innovation, tout cela en respectant les contraintes budgétaires du système de santé. Ces méthodes exigent certes une évaluation plus rigoureuse mais peuvent s'avérer plus efficaces pour remplir les divers objectifs du système de santé que poursuivent de nombreux pays de l'OCDE.

## La prise de décision dans un contexte d'incertitude

L'incertitude est inévitable dans les processus de décision en matière de nouvelles technologies de la santé. Or, les décisions doivent malgré tout être prises, car l'absence de décision ou une procrastination excessive équivalent dans les faits au choix de ne pas délivrer et/ou rembourser telle ou telle prestation. Deux stratégies principales de gestion de l'incertitude semblent cohabiter. La première consiste à tisser des liens plus étroits entre les experts techniques et les responsables politiques, la deuxième, à appliquer des stratégies d'amélioration des risques.

Concernant les décisions prises au niveau national ou à celui de l'état, l'application avisée et pragmatique des données techniques aux politiques est plus aisée s'il existe des liens systématiques entre les utilisateurs et les producteurs des ETM. La présence d'une infrastructure officielle de liaison ou de gestion des ETM au sein des ministères peut favoriser l'émergence des compétences et de l'expertise y afférentes dans les services administratifs des organes de l'État. Cette expertise peut aider les administrateurs à reconnaître l'incertitude, à ne plus s'en remettre à des solutions simplistes mais à élaborer des mesures susceptibles de la gérer plus efficacement.

Comme indiqué précédemment, un certain nombre d'accords de partage des risques entre l'industrie et les pouvoirs publics ou d'autres prestataires de services de santé ont déjà été mis en place pour résoudre le problème de l'incertitude. Il s'agit notamment d'accords prix-volume et/ou d'engagements à recueillir des données supplémentaires. Ces accords doivent avoir des paramètres clairement définis et assimilés par les deux parties, une durée limitée et prévoir des possibilités de révision appropriées.

## Le transfert des données économiques probantes

Il est souvent difficile pour les responsables de l'élaboration des politiques de déterminer dans quelle mesure les résultats des évaluations économiques, qui peuvent être menées hors de leur territoire, s'appliquent à leur propre contexte local. Cette difficulté s'explique en partie par le manque d'informations quant à la nature de ces évaluations. Toutefois, même lorsque les données dont on dispose sur un acte clinique particulier permettent d'avoir une opinion tranchée à son égard, et même lorsque l'on ne tient compte que d'éléments objectifs, et plus d'évaluations, il reste difficile de savoir comment exploiter au mieux ces éléments en les adaptant au contexte local.

On se heurte ici à quatre problèmes principaux. Premièrement, un décalage important peut exister entre l'état de la technologie et les évaluations. Celui-ci peut, dans une certaine mesure, être compensé par des accords de partage des risques qui s'avèrent parfois insuffisants s'ils ne sont pas accompagnés d'autres mesures. Il importe par conséquent de renforcer l'analyse nécessaire à l'évaluation, éventuellement par le biais de nouveaux partenariats publics et privés qui permettent un partage des coûts des évaluations.

Deuxièmement, les questions d'équité et de justice distributive doivent être prises en compte. Cet impératif peut varier en fonction de la technologie ou de l'indication concernée, ainsi que du contexte local en matière d'éthique ou de politique sociale. Autoriser la participation d'un ensemble plus vaste d'intervenants (malades, prestataires de soins de santé et représentants des pouvoirs publics) peut favoriser l'apport de points de vue nouveaux sur le processus d'évaluation et de décision.

Troisièmement, des incertitudes demeurent quant à la possibilité de transposer les données probantes dans un contexte étranger. Il semble globalement admis que les décisions fondées sur les évaluations sont de manière générale spécifiques à un contexte, mais en raison du manque d'informations quant à la nature de ces évaluations, il est difficile de savoir si ces dernières ne s'appliquent qu'au contexte local, ou si leurs résultats peuvent être extrapolés. L'élaboration de cadres de notification communs pourrait améliorer la situation.

Enfin, il n'est pas encore prouvé que les évaluations économiques soient efficaces pour déterminer quelles sous-catégories de patients sont susceptibles de bénéficier le plus d'un acte donné. La mise à disposition en ligne des données pharmacogénétiques ne fera que renforcer la pertinence de cette question.

## Les biotechnologies et la prise de décision

On attribue aux biotechnologies, et à la formidable évolution à laquelle elles donneront naissance, la capacité d'améliorer considérablement la santé humaine. Toutefois, en raison de certaines caractéristiques de ces mêmes technologies, la production de données économiques les concernant et l'utilisation de ces données dans la prise de décision posent des difficultés particulières. Elles ont, pour l'essentiel, trait à la vitesse du développement technologique, aux risques liés aux investissements et à leur rendement, aux coûts et aux niveaux d'efficacité élevés nécessaires pour les réaliser, ainsi qu'à des considérations d'ordre éthique et d'opinion publique.

Concernant les innovations médicales, et particulièrement depuis l'avènement des nouvelles biotechnologies liées à la santé, les responsables politiques souhaitent disposer de données de plus en plus abondantes sur les effets cliniques et économiques de ces innovations, mais également sur des aspects éthiques, sociaux et macroéconomiques. Il importe ici de savoir si l'ETM peut ou doit adapter ses méthodologies afin de tenir compte de ces aspects, ou si ces derniers doivent être documentés par d'autres sources.

D'autres travaux d'observation sont nécessaires pour décortiquer le processus décisionnel et avoir un meilleur aperçu de la manière dont les responsables des politiques utilisent les divers instruments et données dont ils disposent. La méthodologie des ETM doit être perfectionnée, notamment dans le domaine de l'utilisation des données pharmacogénétiques. Il serait en revanche plus approprié que certaines questions, comme celles qui ont trait à l'éthique, soient traitées par d'autres moyens.

Il serait par conséquent judicieux d'étudier dans quels cadres d'action peut s'inscrire l'examen de ces questions plus globales. L'absence de tels cadres, susceptibles de fournir des informations précieuses aux dirigeants, peut être un facteur d'incertitude considérable pour les concepteurs de nouvelles technologies. La valorisation des retombées technologiques sur la santé et l'économie semble passer par le ciblage de ces cadres sur la réduction des risques pour les innovateurs et sur l'intégration de considérations concrètes plus vastes dans la prise de décisions relatives aux biotechnologies. Les enseignements que l'on ne manquerait pas de tirer d'une telle activité pourraient être appliqués à d'autres technologies d'un même niveau de complexité.

Les progrès récents de la science biomédicale font cruellement ressentir la nécessité d'améliorer le dialogue sur les questions clés en matière de technologies, et sur les moyens adaptés – techniques et politiques – pour y répondre. Ce dialogue exige quant à lui que soit rapidement améliorée la formation des responsables des évaluations et des

dirigeants politiques, et que des liens plus étroits se nouent avec les concepteurs des nouvelles technologies.

## L'exemple de trois pays

Pour que les résultats de l'ETM soient utilisés lors de la prise de décision, un accès doit être possible à des données probantes fiables qui répondent aux besoins des dirigeants politiques. Les expériences accumulées dans ce domaine par trois pays de l'OCDE renseignent sur les moyens mis en œuvre, dans le contexte des cadres organisationnels et institutionnels propres à leurs systèmes de soins de santé respectifs, pour relever ce défi.

**En Australie**, la production et l'utilisation d'ETM au niveau fédéral ont été introduites pour répondre aux besoins de deux programmes de remboursement s'appliquant aux produits pharmaceutiques et aux services médicaux privés. Les activités des ETM se sont par conséquent orientées sur les besoins des responsables de l'élaboration des politiques. Les répercussions de l'ETM sont toutefois plus limitées pour la pratique clinique et les domaines qui n'entrent pas dans le champ d'application des deux programmes fédéraux. Des efforts récents visent à donner une portée plus large à l'ETM.

**Au Canada**, les activités d'ETM sont du ressort des provinces et sont coordonnées par l'Office canadien de coordination de l'évaluation des technologies de la santé (OCCETS). Depuis peu, les efforts portent essentiellement sur le développement d'une stratégie globale pour l'ETM, lui permettant d'étudier les retombées des technologies et de valoriser leur efficacité, tout en améliorant sa fonction et son utilité. Au niveau national, des activités en cours s'efforcent de reconnaître et de promouvoir l'évaluation des technologies médicales en tant qu'instrument nécessaire du processus décisionnel dans le domaine de la santé, et d'investir dans la coordination et la collaboration nationales, deux éléments considérés comme essentiels pour garantir une production plus efficace d'ETM et son utilisation dans la prise de décision.

Au sein du système de santé complexe du **Mexique**, la coordination des activités d'ETM et les mesures visant à faciliter l'utilisation de leurs résultats dans le processus décisionnel continuent de mobiliser les pouvoirs publics, alors même que les efforts déployés récemment commencent à porter leurs fruits. Afin d'encourager l'utilisation de l'ETM, le Centre pour l'excellence technologique a été créé récemment. Il est principalement dédié à l'élaboration des politiques nationales d'ETM. Parallèlement, l'Institut mexicain de la sécurité sociale (le principal prestataire public de soins de santé pour près de 50 millions de Mexicains) est en train de mettre au point des dispositifs visant à faciliter l'utilisation de l'ETM à tous les échelons du processus décisionnel. Les activités d'intégration et de coordination dans la prise de décision à proprement parler n'en sont qu'à leurs débuts mais semblent déjà prometteuses. Pour le Mexique, il s'agit désormais de faire bénéficier un groupe plus vaste de dirigeants politiques des résultats de l'ETM.

Les expériences de l'Australie, du Canada et du Mexique montrent que l'utilité de l'ETM pour les dirigeants politiques dépend de son adéquation aux caractéristiques spécifiques de chaque système de soins de santé, et à sa prise en considération de l'échelon responsable des décisions relatives à l'adoption et à la diffusion des technologies. Une meilleure collaboration entre les producteurs des ETM, leurs utilisateurs et les fournisseurs de technologies est considérée comme un facteur essentiel de réussite de l'intégration de l'ETM dans le système de soins de santé, et de sa contribution à l'amélioration des performances des systèmes sanitaires et des résultats en matière de santé.

## Chapitre 1

### INTRODUCTION

*Les technologies médicales ont contribué au prolongement de la vie humaine et à la réduction de la douleur, du risque pathologique et de l'invalidité. Elles sont cependant assimilées et diffusées selon des modalités très variables dans les différents pays de l'OCDE, ce qui laisse espérer qu'il est possible de les intégrer plus efficacement dans les systèmes de santé. Dans ce chapitre d'introduction, sont énoncés les objectifs et la méthodologie du projet de l'OCDE sur les technologies médicales. Il expose également aux lecteurs les concepts et les définitions utilisés dans l'ouvrage.*

Les soins de santé représentent un défi économique, scientifique et social considérable pour les pays de l'OCDE. Ils ont contribué au prolongement de la vie humaine et à la réduction de la douleur, du risque pathologique et de l'invalidité. L'application des nouvelles connaissances et des progrès technologiques est universellement reconnue comme un moteur essentiel de ces avancées. Par exemple, la recherche montre que le rythme du progrès technologique dans les pays de l'OCDE est positivement corrélé aux résultats sur le plan de la santé et à la qualité de vie des patients qui ont subi des attaques cardiaques (Atella, 2003).

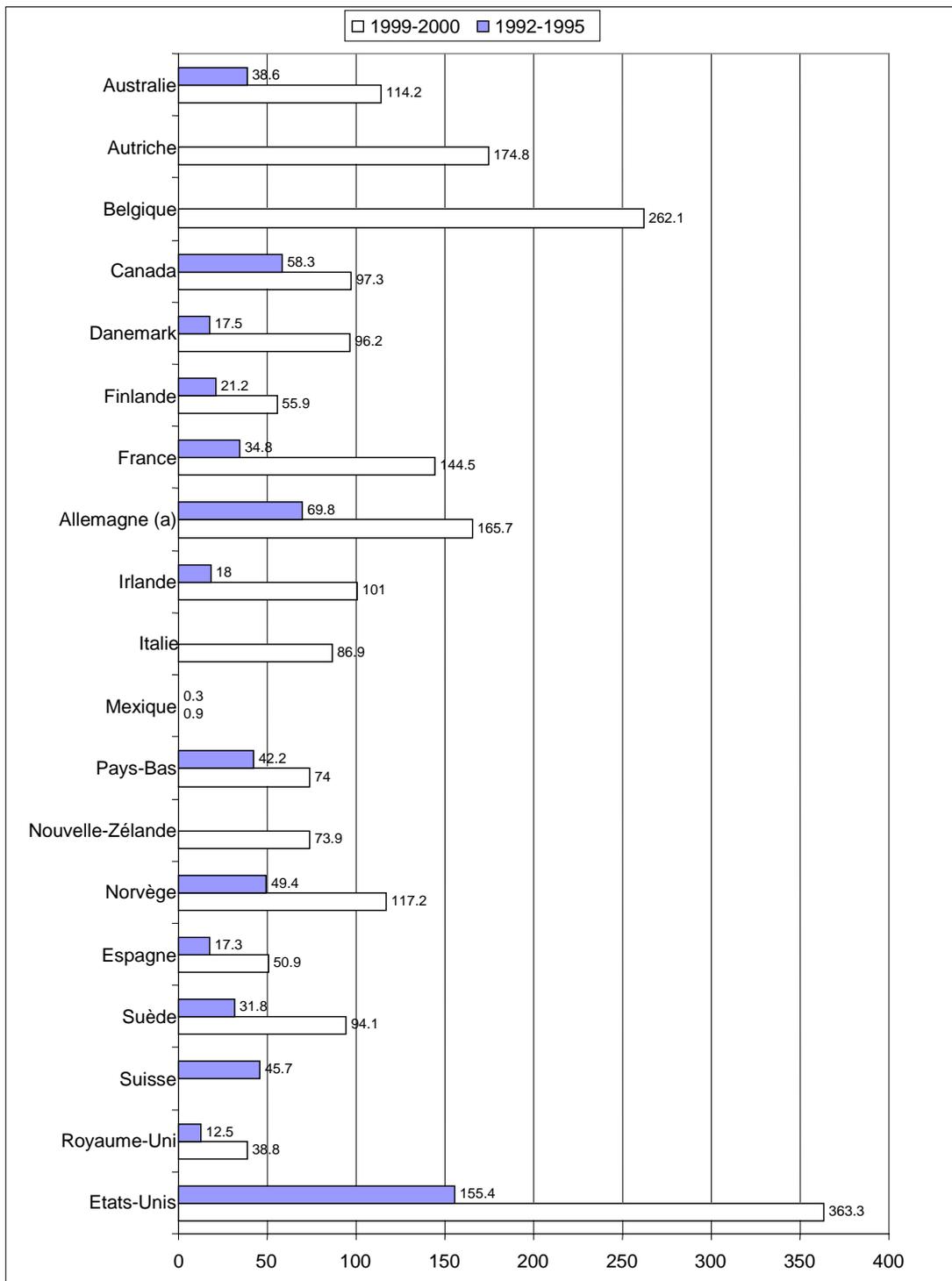
Toutefois, au cours des dernières décennies, les activités liées à la santé ont absorbé des proportions croissantes du PIB. En 1990, le taux moyen des dépenses de santé dans les pays de l'OCDE atteignait 7,3 % du PIB. En 2001, cette moyenne s'élevait à 8,4 %, c'est-à-dire une augmentation de 15 % de plus que celle du PIB (OCDE, 2003). Dans un contexte de faible croissance économique, de vieillissement de la population et d'augmentation des dépenses de santé, de nombreux gouvernements de l'OCDE cherchent à garantir la durabilité du financement public de la santé.

Le rôle de la technologie est considéré comme déterminant dans les coûts de la santé. Il ressort d'études menées par Aaron (1991), Jones (2002) et Newhouse (1992) que jusqu'à 50 % de l'accroissement des dépenses de santé totales peuvent être attribuée au progrès technologique. De surcroît, selon une étude de Fuchs (1996), c'est cette thèse qui prédomine maintenant dans la communauté des économistes de la santé. Cependant, d'autres allèguent que « l'on ne dispose pas de preuves directes du rôle du progrès technologique dans l'augmentation des coûts » (Cutler et McClellan, 1996)<sup>1</sup>.

---

1. Les mêmes auteurs ont montré dans une étude postérieure que les avantages globaux des progrès technologiques l'emportaient sur les coûts afférents pour au moins quatre des cinq conditions étudiées sur la période (les résultats concernant le cancer du sein étaient équivoques) (Cutler et McClellan, 2001).

Figure 1.1. Nombre d'interventions coronariennes percutanées (angioplastie transluminale percutanée et stenting) pour 100 000 habitants, 1992-95 et 1999-2000



(a) Les chiffres datent de 1992 et 1997.

Source : Eco-Santé OCDE 2003, 3e édition.

L'observation empirique suggère également que l'utilisation et la diffusion des technologies varient sensiblement entre les différents pays de l'OCDE et à l'intérieur même de ces pays. La figure 1.1, pour ne donner qu'un exemple, représente le nombre d'interventions coronariennes percutanées (PTCA et stenting) pour 100 000 habitants dans 19 pays de l'OCDE entre 1992 et 1995 et 1999 et 2000. Le nombre moyen d'actes pour 100 000 habitants dans ces 19 pays était de 41 entre 1992 et 1995, et a atteint 118 en 1999-2000. L'ampleur de la variation est présentée à la figure 1.1, qui montre qu'en 1999-2000, le nombre d'actes atteignait au Mexique 0,9, tandis que ce chiffre était de 363 aux Etats-Unis.

La variabilité observée dans l'assimilation et la diffusion pourrait témoigner d'une utilisation sub-optimale de la technologie, certains pays en abusant, et d'autres la sous-exploitant. Par exemple, une technologie est abusivement utilisée lorsque les coûts excèdent les avantages obtenus par une plus large diffusion ou utilisation de la technologie. En revanche, une sous-exploitation correspond au cas où le manque à gagner excède les dépenses engagées par l'élargissement de la diffusion ou de l'utilisation. Aucun de ces scénarios n'est optimal et tous deux peuvent impliquer des coûts économiques et/ou de moins bons résultats sur le plan de la santé. Il convient cependant de noter que les variations relatives à la technologie ne traduisent pas nécessairement une sur-utilisation ou une sous-utilisation.

En effet, la variabilité de la diffusion de la technologie peut s'expliquer par de multiples raisons, en particulier :

- *Des besoins en soins variables.* Par exemple, les taux de prévalence des maladies peuvent différer entre les pays, et la variabilité de l'utilisation des technologies peut par conséquent répondre à des besoins différents en matière de santé.
- *Conditions économiques.* Par exemple, de très nombreuses données corroborent la théorie selon laquelle les pays les plus riches sont en général disposés à consacrer une proportion plus importante de leur PIB aux soins de santé (et aux technologies).
- *Caractéristiques culturelles et organisationnelles des systèmes de santé.* Par exemple, les systèmes de remboursement et les incitations proposées aux prestataires de soins et aux établissements peuvent les encourager à acquérir et utiliser de nouvelles technologies médicales.
- *Les réglementations nationales,* qui malgré des efforts permanents d'harmonisation peuvent encore considérablement diverger.

## **Le processus décisionnel dans le système de santé : évaluation, estimation et application**

Prendre de meilleures décisions concernant l'adoption et la diffusion des technologies médicales est un problème toujours plus pressant pour les responsables politiques. Les consommateurs mieux informés, les prestataires de services de santé, l'industrie médicale de dimension internationale, les reportages et les publicités dans les médias peuvent inciter à penser que certaines technologies médicales seraient disponibles en temps opportun (voire instantanément). Bien souvent, un financement par les pouvoirs publics fait aussi partie des attentes. Toutes ces espérances font donc peser des pressions sur les responsables politiques et les décideurs des systèmes de santé, que l'on caractérise parfois « d'impératif technologique ».

Pour de nombreux responsables, l'enjeu est de mettre en place des politiques permettant d'exploiter les avantages offerts par la technologie et l'innovation, mais de remplir en même temps de nombreux objectifs du système de santé tout en respectant les contraintes de la politique budgétaire.

Depuis les années 70, les pays de l'OCDE sont de plus en plus nombreux à reconnaître la valeur des décisions prises dans le cadre d'un paradigme fondé sur des données probantes. Ces données permettent d'effectuer des choix informés concernant la diffusion et l'utilisation des technologies médicales nouvelles et émergentes pour prévenir, traiter, et prendre en charge la maladie. En l'absence de preuves convaincantes, l'intégration et la diffusion des technologies risquent d'être influencées par tout une série de facteurs sociaux, financiers, professionnels et institutionnels et de produire des résultats sur le plan de la santé qui ne sont pas optimaux ou avec une moindre efficacité. C'est pourquoi de nombreux pays de l'OCDE ont investi dans la production de données probantes, souvent à l'aide d'une évaluation des technologies médicales (ETM), pour prendre en compte les effets plus larges des technologies médicales et apprécier leurs avantages et leurs coûts. L'ETM a été décrite comme « le lien entre données probantes et décision » (Battista & Hodge, 1999). Elle apporte des informations aux responsables en matière de soins de santé qui sont chargés des décisions de financement, de planification, d'acquisition et d'investissement.

Le procédé d'ETM comprend trois étapes :

- Identification des questions, en particulier le classement des sujets par priorités (par exemple, quel est l'avantage additionnel apporté par la technologie « X » par rapport à la technologie « Y » dans le diagnostic de la maladie « Z » ?, ou bien « quelle est la stratégie optimale pour le traitement de la maladie Z ? ») et l'élaboration d'une stratégie permettant de répondre à ces questions.
- Collecte systématique de données scientifiques et d'analyse, examen critique et résumé des données, incluant des commentaires sur la validité et la solidité des preuves<sup>2</sup>.
- Appréciation des données, incluant des jugements sur la signification des résultats obtenus par l'examen systématique et la formulation d'avis quant à la valeur d'une technologie dans le système de santé. Les données et leur appréciation servent ensuite de base au processus décisionnel.<sup>3</sup>

Les modalités de réalisation d'une ETM varient considérablement selon les pays. Certains disposent d'organismes d'évaluation nationaux qui dirigent ou coordonnent toutes les activités d'ETM, tandis que d'autres ont délégué leurs responsabilités dans ce domaine. L'ETM étudie, au minimum, l'efficacité des technologies et en particulier : 1) les avantages sanitaires apportés aux patients, 2) les effets secondaires potentiels et 3) des comparaisons (en termes de bénéfices sanitaires) avec d'autres technologies. Une ETM de portée plus large intègre fréquemment une évaluation économique, le plus souvent sous la forme d'une analyse coût-efficacité. Les organismes d'ETM s'accordent

2. Bien qu'il ne s'agisse pas d'un « examen » au sens strict, cette composante de l'ETM peut également comprendre une modélisation, en particulier pour étayer une analyse économique.

3. Cette division spécifique n'est pas universellement appliquée ; la décision fait parfois partie du processus d'ETM, et dans certains cas, l'évaluation et la prise de décision relèvent des mêmes personnes. Le point important est que l'examen, l'évaluation et la décision sont des éléments conceptuellement distincts d'un processus s'appuyant sur une ETM.

largement sur la définition de l'ETM. Une enquête auprès des principaux organismes et l'analyse de leurs directives révèle que la définition comprend toujours des références à l'efficacité et à la rentabilité, et mentionne également la prise en compte des conséquences plus larges des technologies médicales, telles que les implications légales, éthiques, psychologiques et sociales. Toutefois, on observe des variations considérables dans les modalités de mise en œuvre de l'ETM et de son intégration dans les systèmes de santé des pays membres de l'OCDE.

Bien que relevant d'un concept relativement nouveau, l'ETM se développe rapidement. Le bureau d'évaluation des technologies médicales du Congrès américain a été un pionnier en la matière, et on lui doit des contributions notables au concept de l'ETM au milieu des années 70, ainsi que la publication de rapports majeurs, par exemple sur la tomographie par ordinateur, en 1978. En 1987, le conseil suédois sur l'évaluation des technologies médicales (SBU) a été mis en place, et en 1988, les Néerlandais ont créé un fonds pour l'évaluation des techniques et procédures médicales (Banta, 2003). Au Royaume-Uni, a été célébré en 2003, le dixième anniversaire de l'ETM par le service national de santé (NHS).

L'analyse systématique de l'impact de l'ETM sur les décideurs ou l'application des décisions reste limitée à ce jour. Deux rapports récents signalent qu'il est difficile de trouver des exemples concrets de l'impact de l'évaluation des technologies médicales, et que les données montrant comment transposer des données probantes en pratiques cliniques sont rares (ECHTA, 2002 ; Maynard, 2000). Les nombreux facteurs susceptibles d'améliorer l'utilisation de l'ETM dans le processus décisionnel et l'intégration des technologies médicales dans le système de santé sont mal connus, alors même qu'un ensemble de stratégies de dissémination pourrait contribuer à convaincre davantage de décideurs concernés par les problèmes de santé (Lehoux *et al.*, 2003).

Toutefois, il paraît essentiel de disposer de données de haute qualité, même si cette condition ne suffit pas à coordonner efficacement l'assimilation et l'utilisation des technologies médicales. Le processus décisionnel lui-même est de plus en plus considéré comme une composante déterminante de l'utilisation des données et de la mise en œuvre des recommandations formulées à l'issue de l'analyse factuelle.

Il est nécessaire de considérer le processus décisionnel comme un tout dans le système de santé, afin de mieux appréhender son fonctionnement et l'utilisation des données probantes. Une meilleure connaissance du processus décisionnel permettra de mieux comprendre les très grandes variations observées dans la diffusion et l'utilisation des technologies.

## **Le projet de l'OCDE sur les technologies liées à la santé**

Le projet de l'OCDE sur les technologies liées à la santé faisait partie du projet de l'OCDE sur la santé, échelonné sur trois ans. Il a été supervisé par le groupe ad hoc chargé du projet OCDE sur la santé et mené par des délégués (désignés ci-après groupes d'experts), issus des sphères gouvernementales, universitaires, de l'évaluation des technologies médicales et de l'industrie. Ils se sont réunis à cinq reprises, entre avril 2002 et mars 2004. La liste des participants figure à l'annexe 1.

Ce projet de l'OCDE avait pour objectif de montrer comment les pays peuvent améliorer l'intégration des technologies dans leurs systèmes de santé. Axé sur le processus décisionnel et les instruments d'action utilisés pour appliquer les décisions, ainsi

que sur la transition entre ETM et décision, il a analysé la production d'ETM et l'utilisation des données probantes dans la prise de décision.

La figure 1.2 illustre le processus décisionnel conceptuel, intégré aux systèmes de santé, qui a été utilisé dans ce projet. Il place la prise de décision au centre du système ; l'ETM et les données sur l'impact des nouvelles technologies constituent des contributions importantes au processus, de même que l'évaluation de ces données et d'autres facteurs tels que les conditions économiques, les caractéristiques organisationnelles et les réglementations nationales et internationales.

Lorsqu'ils disposent des données requises, les décideurs peuvent alors choisir d'adopter et d'appliquer la nouvelle technologie et en déterminer les modalités de mise en œuvre. Par exemple, ils peuvent décider d'ajouter une nouvelle technologie aux dispositifs de remboursements nationaux en fonctions des données entrant dans la décision qui suggèrent que l'investissement est rentable. Le processus décisionnel et les modalités d'application des décisions peuvent influencer sur les schémas d'assimilation et de diffusion des technologies médicales, et de ce fait, sur les résultats sanitaires.

La figure 1.2 donne un aperçu général du processus décisionnel en matière de soins de santé, mais ce modèle est bien évidemment soumis à de larges variations. Le développement historique et l'évolution des systèmes de santé jouent des rôles importants dans la détermination des caractéristiques institutionnelles des processus décisionnels. Par exemple, l'importance attachée à l'incorporation de l'ETM dans le processus diffère selon les pays Membres, certains en faisant une obligation et d'autres une démarche volontaire. Le niveau de prise de décision varie également. Dans certains pays, les décisions sont arrêtées au niveau national, tandis que dans d'autres, elles peuvent l'être au niveau régional. Par exemple, la décision de rembourser une nouvelle technologie peut être prise par des gouvernements nationaux ou provinciaux, mais aussi par des régimes d'assurance-maladie privés.

Il ressort de la figure 1.2 que certaines activités telles que la recherche, le développement et l'évaluation des services de santé ignorent parfois les frontières nationales. De surcroît, les évaluations de technologies médicales peuvent tirer (et tirent en effet) profit des résultats de la recherche internationale et les évaluations sont parfois menées conjointement par plusieurs agences d'ETM. Enfin, la figure 1.2 établit un lien entre l'intégration et la diffusion des technologies et les activités de recherche et de développement. Ce lien est créé par les divers signaux (en particulier prix et volumes) envoyés par le système de santé à la communauté de recherche et de développement.