



LES ENTREPRISES DE LA
RECHERCHE CLINIQUE

Utiliser les données de vie réelle pour améliorer la pertinence de l'évaluation des produits de santé : les messages clés du guide HAS 2021

2. Analyser les consommations de soins et les coûts associés en vie réelle

Audrey Lajoinie
et Bertrand de
Neuille du
groupe
AFCROs-RWD



En juin 2021, la HAS a publié la mise à jour de son guide méthodologique pour l'évaluation des produits de santé en vie réelle. Elle y explique l'importance des données de vie réelle pour une évaluation plus pertinente des médicaments et des dispositifs médicaux au service du patient. Le groupe des Données de Santé en Vie Réelle (RWD) de l'AFCROs nous propose un focus sur les utilisations des données de santé vie réelle proposées par la HAS.

Les évaluations des produits de santé par la HAS sont destinées à la prise de décision pour le remboursement initial par l'Assurance Maladie ou son maintien, ainsi qu'à déterminer les conditions de bon usage, la place dans la stratégie thérapeutique, et l'efficacité de ces produits. Si le précédent guide proposé par la HAS en 2011 était structuré autour des requis méthodologiques pour répondre à ces besoins, la version 2021 est davantage orientée vers les nouveaux enjeux de l'évaluation des produits de santé, et notamment l'intégration de la perspective des patients. Les moyens de répondre à ces enjeux sont discutés dans le contexte actuel de l'accroissement de l'accessibilité aux données de santé, en particulier *via* le Health Data Hub (HDH ; e.g. registres, SNDS, entrepôts de données hospitaliers), en considérant les atouts des données enrichies¹ et les avancées réalisées dans les méthodes d'analyses des bases de données.

Les spécialistes des données de santé en vie réelle du groupe de travail RWD de l'AFCROs nous proposent une synthèse, au travers de quatre communications, des principaux intérêts des données de santé en vie réelle pour l'évaluation des produits de santé, exposés dans ce guide 2021 de la HAS

- 1. Evaluer la transposabilité des résultats des essais cliniques à la vie réelle
- **2. Analyser les consommations de soins et les coûts associés en vie réelle**
- 3. Mesurer les critères d'intérêt pour les patients
- 4. Evaluer l'impact organisationnel

¹ Enrichies par le couplage de bases au niveau individuel, chacune des bases apportant des informations différentes et complémentaires

Les enjeux de l'analyse de la consommation des soins et des coûts associés

Lors d'une demande d'inscription (ou son renouvellement) d'un produit, une évaluation économique par la HAS (et la CEESP en son sein) est obligatoire pour les produits de santé revendiquant une ASA/ASMR de I à III et un impact « significatif » sur les dépenses de l'Assurance Maladie. L'évaluation économique d'un produit de santé permet d'éclairer la décision publique sur l'allocation de ressources collectives en comparant les différentiels de coûts et de résultats de santé d'une intervention par rapport à une ou plusieurs interventions concurrentes, et finalement de négocier le prix du produit concerné. Pour mettre en place cette évaluation, il est nécessaire d'évaluer le coût total de l'ensemble des consommations de soins attribuables à la prise en charge du patient (donc le produit concerné) et de pouvoir les comparer aux traitements existants.

Quels sont les éléments qui peuvent conduire à une incertitude sur les données de consommation et de coûts issues des études cliniques ?

Les données collectées sur les consommations de soins et les coûts dans le cadre d'une étude clinique peuvent être insuffisants ou ne pas refléter les conditions en vie réelle de consommations de soins. Comme pour l'analyse de la transposabilité des résultats des essais cliniques à la vie réelle, les données collectées dans le cadre d'un essai clinique sur la consommation de soins peuvent présenter les limites suivantes :

- La population cible de l'essai clinique est souvent différente de la population traitée en vie réelle, induisant un écart sur les consommations de soins
- L'essai clinique est réalisé dans plusieurs pays avec des spécificités de prise en charge, de parcours et de coûts différentes de la France
- Les données collectées sur les postes de consommation peuvent présenter une limite en termes de périmètre (comme le recueil uniquement des consommations de soins à l'hôpital), de parcours (le suivi des patients dans l'essai clinique est différent des conditions de vie réelle), de durée de suivi (pas de prise en compte des coûts associés à l'évolution de l'état de santé au-delà de la durée de l'essai clinique) et de perspective (souvent une prise en compte des coûts pour l'hôpital et pas nécessairement pour l'Assurance Maladie).

Comment utiliser les données de vie réelle pour les analyses de consommation et des coûts associés ?

Les données en vie réelle offrent la possibilité de réaliser une analyse des consommations de soins et des coûts associés qui reflète la réalité des patients traités. Pour apporter des informations pertinentes, les données en vie réelle doivent bien entendu être représentatives de la population rejointe, être exhaustives sur tous les postes de soins et collectées avec un suivi suffisant. Le suivi des ressources consommées provenant d'études en vie réelle n'est donc pas toujours un gage de qualité si le recueil n'est pas complet (absence de recueil de certains postes de coûts, données manquantes) ou porte sur une population d'analyse différente de celle traitée en vie réelle.

Quelles perspectives pour optimiser l'analyse en vie réelle des consommations de soins et des coûts associés ?

En France, la base de données du SNDS présente comme atout de couvrir l'ensemble de consommations de soins prises en charge par l'Assurance Maladie (dont les indemnités journalières en cas d'arrêt de travail), et sur la quasi-totalité (>99%) de la population française. Un autre atout est l'absence de biais d'attrition (problématique importante pour les études observationnelles d'autant plus si la durée de suivi est longue) et un taux de données manquantes faible. L'appariement du SNDS avec une base de données médicales

enrichit considérablement l'analyse de consommation et de coûts. En particulier, pour une demande de primo-inscription, l'appariement entre le SNDS et les données françaises d'une étude clinique apporte une vision exhaustive des soins pris en charge par l'Assurance Maladie sur la population d'essai pour laquelle les données d'efficacité ont été mesurées et permet également un suivi des consommations au-delà de la période de suivi de l'étude clinique. Le biais sur l'écart avec la population rejointe reste néanmoins existant. Cette analyse peut être enrichie dans un deuxième temps avec l'appariement des données du SNDS avec celles des accès précoces.

Enfin, il y a un besoin de collecter et utiliser les données de coûts à la charge du patient pour constituer l'évaluation économique selon une perspective collective. Ces données ne sont, à ce jour pas collectées dans le SNDS (absence de données sur les dépassements, sur la prise en charge par les complémentaires santé ou sur certains postes non pris en charge par l'Assurance Maladie).