

EVALUATIONS QUANTITATIVES DES EXPÉRIMENTATIONS ART.51 : CATALYSEURS DE LA CULTURE D'ÉVALUATION BASÉE SUR LES DONNÉES DE SANTÉ EN FRANCE



Article rédigé par

Antoine Bessou, IQVIA
Françoise Bugnard,
STEVE CONSULTANTS
Bertrand De Neuville, OPUSLINE
Anne Duburcq, CEMKA
Benjamin Grenier, HEVA
Membres du groupe de travail
RWD de l'AFCROs

07/2023

1 | L'ARTICLE 51 DE LA LFSS POUR TRANSFORMER LE SYSTÈME DE SANTÉ

Un dispositif expérimental pour de nouveaux modes de financements et d'organisations des soins

L'article 51 de la **loi de financement de la sécurité sociale (LFSS) de 2018** est un élément clé de la réforme du système de santé en France. L'adoption de cette nouvelle disposition a permis la mise en place d'un **dispositif expérimental** visant à **transformer le système de santé en France**. Ses objectifs ? **Tester avant de généraliser de nouveaux modes de financement et d'organisations** innovantes en santé. Lancé il y a 4 ans, le dispositif regroupe aujourd'hui plus de **120 projets** autorisés (régionaux et nationaux) de type Article 51, ayant permis d'inclure plus de 600 000 bénéficiaires[1].

Ce dispositif est rendu possible grâce à des financements conséquents :

- Pour l'appui aux porteurs de projet des expérimentations, l'ingénierie des projets et le reporting : 21 M€ engagés pluri annuellement par les ARS sur le FIR (Fonds d'intervention régional des ARS).
- Pour financer les rémunérations dérogatoires des expérimentations et leur évaluation : plus de 500 M€ d'engagement pluriannuel sur le FISS (fonds pour l'innovation du système de santé) dont **14,2 M€ engagés pour les évaluations des expérimentations**, assurées par des évaluateurs externes dans le cadre de l'appel d'offre national.

En tant que démarche de transformation du système de santé, l'article 51 repose sur plusieurs principes. Il vise en premier lieu à transformer le système de santé en **priorisant les dispositifs innovants et pertinents** qui démontrent leur pérennité. La mise en place des articles 51 poursuit également un objectif de **décloisonnement** des secteurs de la santé en incitant aux prises en charge coordonnées entre les différents professionnels, en particulier en testant le financement des **parcours/épisodes de soins au forfait**. Les projets doivent répondre à au moins une des finalités suivantes : **améliorer le parcours des patients**, concourir à l'**efficacité** du système de soins, **améliorer l'accès** aux soins, parfaire la pertinence des **prescriptions des produits de santé**.

[1] Rapport au Parlement 2022 sur les expérimentations innovantes en santé : https://sante.gouv.fr/IMG/pdf/rapport_parlement_article_51_2022.pdf, p 20-21.

Enfin, il s'agit de favoriser la collaboration entre les différents acteurs du système de santé et de créer une dynamique de **co-construction** autour des projets. Cette dimension collaborative repose à la fois sur la diversité des acteurs impliqués (acteurs de terrain,

équipes institutionnelles régionales et nationales, ministères, comités et conseils décisionnaires) et sur les dynamiques partenariales créées dans le cadre de chaque projet.

L'évaluation comme pilier de l'article 51

L'évaluation systématique des projets fait partie intégrante des dispositions de l'article 51, puisqu'elle est **obligatoire et systématique**. Cette démarche permet d'apprécier la faisabilité, l'efficacité et la reproductibilité d'un projet donné. En effet l'évaluation a pour objectif d'**aider les pouvoirs publics** à décider si un projet a constitué un **modèle de prise en charge généralisable** à une partie importante de la population concernée, et dans quelles conditions il pourra se développer. Une première **évaluation descriptive** est réalisée à mi-parcours essentiellement sur la faisabilité avec une approche qualitative. Cette évaluation intermédiaire est partagée avec le porteur de l'expérimentation et peut conduire à des ajustements du cadre expérimental.

L'évaluation finale vise à aider à la **décision législative** en fin d'expérimentation, à savoir une prolongation, une extension ou un arrêt d'expérimentation si nécessaire. L'évaluation finale repose sur des méthodes qualitatives **mais également quantitatives**.

Le dispositif d'évaluation est d'une ampleur considérable :

- 70 expérimentations vont arriver à échéance dans les deux années à venir (34 en 2023 et 36 en 2024).

- En un an (de septembre 2021 à septembre 2022), les équipes évaluatrices ont déjà produit et transmis à la Cellule d'évaluation (assurance maladie et ministère) : **4 rapports finaux**, 27 rapports intermédiaires et 8 rapports préliminaires.

A noter, avec un nombre de projets croissant, de plus en plus de projets couvrent des thématiques similaires. Des **analyses transverses** sont réalisées pour avoir un **regard croisé** entre les expérimentations et préparer les cadres possibles d'une **généralisation** s'inspirant des différentes expérimentations.

Reposant sur une combinaison de méthodes qualitatives et quantitatives qui garantissent leur objectivité, les démarches d'évaluation permettent de capitaliser sur les connaissances et expériences acquises durant la mise en œuvre des projets. **L'indépendance de la démarche** est assurée par l'attribution des évaluations à tour de rôle à des **équipes expérimentées**, pluriprofessionnelles et pluridisciplinaires au sein de bureaux d'études. Les profils variés qui constituent les équipes évaluatrices (ingénieur en statistiques, économiste, évaluation de politiques publiques, référent médical...) garantissent la qualité du travail d'évaluation.

L'importance des évaluations quantitatives pour les expérimentations de grande ampleur

Un focus est porté ici sur l'évaluation quantitative, qui sera mise en œuvre pour les projets de grande ampleur. L'évaluation des projets s'appuie naturellement sur une utilisation accrue des données quantitatives en particulier pour analyser **l'efficacité/efficience de l'expérimentation**. Ces données sont issues de plusieurs sources : système d'information de l'expérimentation (parcours des patients et résultats des mesures ou questionnaires passés dans le cadre du parcours), données d'activité et de facturation (forfait versé dans le cadre de l'expérimentation), et données des bases médico-administratives (SNDS).

Les données de santé sont au centre de ces évaluations quantitatives. Leur utilisation répond à des **règles strictes encadrées par la CNIL**. Une **déclaration** unique a été accordée pour l'ensemble des évaluations de projets Article 51, avec un process obligatoire (information des patients sur l'évaluation, passage de toutes les évaluations en cellule de conformité).

2

UNE VALORISATION DU PATRIMOINE NATIONAL DES DONNÉES DE SANTÉ AU SERVICE DE L'ÉVALUATION D'EXPÉRIMENTATIONS INNOVANTES

Mettre en évidence l'efficacité et l'efficience
des projets grâce à des pratiques rigoureuses

En mettant en œuvre **des concepts clés** indispensables à la réalisation d'évaluations de qualité, ces évaluations mettent en évidence l'importance de l'analyse des données de santé pour évaluer des programmes dans le domaine de la santé. Ces **évaluations d'impact, dites ex post**, visent à mesurer l'efficience des projets une fois qu'ils ont été mis en œuvre.

La **mobilisation d'évaluateurs externes** assure une distance par rapport à l'expérimentation, garantissant l'objectivité et la neutralité de l'évaluation. La **rigueur méthodologique** mise en œuvre dans ces évaluations implique de définir des critères d'évaluation clairs, de collecter des données de santé fiables et d'utiliser des méthodes statistiques adaptées. Des méthodes **comparatives adaptées** peuvent être utilisées, pour estimer les effets de l'expérimentation et limiter les biais en constituant des groupes témoins comparables. Les **évaluations sont anticipées** en amont de l'expérimentation, ce qui est un facteur primordial pour pouvoir définir une méthodologie rigoureuse. De plus cette systématisation des évaluations quantitatives pour les projets de grande ampleur a le potentiel de sensibiliser les acteurs de terrain et professionnels de la santé à l'importance de la mesure quantitative de l'impact des projets de santé. Elle doit permettre de **conforter les acteurs dans le fait que ces évaluations visent à évaluer l'effet des expérimentations plutôt qu'à sanctionner les pratiques**.

Les défis d'une mobilisation sans précédent de données issues du terrain

Les **porteurs de projet** des expérimentations sont impliqués dans la collecte des données liées à leur expérimentation. Ces **systèmes d'information** (SI) permettent aux établissements ou aux professionnels de santé participant aux expérimentations de collecter des données **socio-démographiques, cliniques** et de suivi sur les patients inclus ainsi que des données **financières** propres aux expérimentations.

Les SI des porteurs de projets seront la première source de données mobilisée pour l'évaluation quantitative. Ces SI **propres à chaque expérimentation**, présentent des degrés divers de maturité et ont des périmètres variables en fonction de l'ancienneté des systèmes, de l'expérience des équipes et des moyens et ressources mis à disposition. Le contenu du SI est évalué à l'**initiation de**

l'**évaluation quantitative** afin d'identifier les données qui seront mobilisables, d'évaluer leur qualité et de définir les critères qui pourront être mis en œuvre. Ce recueil peut présenter un niveau de **difficulté non négligeable** pour certains porteurs et représenter un vrai challenge en fonction des ressources internes disponibles. En effet les porteurs sont confrontés à des difficultés **d'ordre juridique ou technique** pour la mise en place de leur système d'information. De ce fait, le recueil de données par les établissements ou par les professionnels de santé participants est **soutenu et accompagné** par des équipes dédiées à cette activité. Une étape d'évaluation de la qualité des données est intégrée au processus d'analyse afin de s'assurer de produire des résultats fiables, notamment par la mesure du pourcentage de données manquantes.

L'utilisation des données du SNDS : un atout majeur pour les évaluations quantitatives

La deuxième source de données mobilisée dans les évaluations quantitatives sont les données médico-administratives du SNDS, quasi-exhaustives à l'échelle de la population française. Grâce au chaînage entre les données de la ville et des hospitalisations, le SNDS permet d'analyser de façon objective et exhaustive les données relatives aux parcours de soins, aux consommations de soins et aux coûts non collectés dans le cadre des expérimentations. D'autres données sont collectées dans le SNDS (affection de longue durée, diagnostics hospitaliers) pour générer certains indicateurs cliniques préalablement définis. Afin de mettre à disposition les données auprès des évaluateurs, la Caisse nationale d'assurance maladie (Cnam) a mis en place une organisation dédiée. Ces équipes se sont

investies et fortement mobilisées au démarrage des expérimentations pour définir et mettre en place des circuits sécurisés de mise à disposition des données du SNDS. Une des difficultés est de faire concorder les calendriers et d'organiser une mise à disposition des données dans les temps pour chaque expérimentation. Les règles d'utilisation du SNDS ainsi que la temporalité de mise à disposition des données consolidées (plus d'un an) sont autant de freins à cette mise à disposition. L'autorisation obtenue auprès de la CNIL couvrant la mobilisation des données du SNDS est un des axes retenus pour accélérer le processus et maîtriser les délais.

L'utilisation massive des données du SNDS dans le contexte de ces expérimentations va dans le sens de l'évolution de l'écosystème des

données de santé qui tend vers une utilisation de plus en plus importante du SNDS et participe à la reconnaissance de l'utilisation de ces données comme niveau de preuve. La mise

à disposition des données est un enjeu crucial dans le cadre de ces évaluations et nécessite une coordination entre l'ensemble des acteurs publics, porteurs de projets et évaluateurs.

Exploiter la complémentarité des sources de données grâce au chaînage

Le **chaînage** des données du système d'information (SI) des expérimentations avec le SNDS offre la possibilité de combiner une **identification certaine des patients** grâce aux SI, tout en permettant la création d'**indicateurs économiques ou sur le parcours de soins** des patients à partir du SNDS.

L'Assurance Maladie a mis en place un dispositif technique opérationnel pour les appariements, mobilisant des tiers de confiance (organisme d'assurance maladie ou data managers) qui procèdent à la

pseudonymisation des données et garantissent leur confidentialité. En particulier, les appariements sont réalisés à partir du **numéro d'inscription au répertoire (NIR)** attribué à chaque personne à sa naissance sur la base de son état civil. Ceci implique que les porteurs de projet **collectent ces informations en routine** auprès des patients. Ces évaluations sont une opportunité de systématiser dans l'écosystème **ces étapes** liées aux chaînages et à la **circulation des données**.

Utilisation de méthodes comparatives adaptées : constitution de groupes témoins comparables

Les **évaluations quantitatives** peuvent inclure une approche **comparative** pour mesurer les effets des expérimentations. Les analyses "**Avant/Après**" comparent les résultats avant et après la mise en place de l'expérimentation, tandis que les analyses "**Ici/ailleurs**" comparent les patients expérimentaux à ceux recevant une prise en charge standard. Deux éléments sont cruciaux et conditionnent la réduction du biais au sein de ces analyses : la construction des **populations témoins**, et la technique statistique rendant **comparables les deux cohortes étudiées**.

L'utilisation des données chaînées et du SNDS **permet la constitution de cohorte de témoins comparables à celle de l'expérimentation**. La population témoin se doit d'être construite **autour de la pratique de référence du champ d'analyse dans le droit commun**. Il s'agira également d'exclure de la population témoin des patients hospitalisés dans un centre **participant à une expérimentation à visée similaire**, si cette information peut être récupérée. Certains critères d'inclusion d'une expérimentation reposent sur des **critères diagnostiques subjectifs** et accessibles au

seul médecin menant à l'inclusion du patient (caractère non contrôlé/instable d'une pathologie, score de gravité d'une pathologie non reconstituable dans le SNDS). Une étroite **collaboration entre les évaluateurs** et le porteur de projet est nécessaire afin d'aboutir à la création et la validation d'un algorithme d'identification, réutilisable pour d'autres projets.

La **comparabilité** des populations est capitale afin de pallier l'absence de randomisation quant à l'attribution de l'intervention. Les différences de pronostic entre les cohortes analysées liées à cette non-randomisation peuvent être réduites via l'utilisation de modèle

statistique de type **score de propension**. Sa construction vise à **neutraliser les éventuels facteurs de confusion** et repose donc sur les covariables associées au pronostic des indicateurs analysés ainsi qu'à l'allocation de l'intervention. En dehors des covariables classiques comme l'âge et le sexe, la sélection des comorbidités doit également être réalisée après une **revue attentive de la littérature**. L'inclusion de covariables temporelles et géographiques est aussi précieuse afin de prendre en compte de potentielles **variations de pratiques dans le temps** ou une **territorialisation de la prise en charge**.

Sélectionner les indicateurs pertinents en fonction des données et des objectifs d'évaluation

Une fois les populations identifiées, les **indicateurs mobilisés** pour l'évaluation quantitative permettent de répondre aux **questions évaluatives** préalablement posées. Les analyses quantitatives viseront le plus souvent à **mesurer l'efficience des expérimentations**, afin d'apprécier les résultats au regard des coûts.

Les **indicateurs de moyens** mesurent les efforts mobilisés pour atteindre les objectifs de l'expérimentation (par exemple le coût de fonctionnement) tandis que les **indicateurs de résultats** mesurent les effets de l'intervention sur le public cible (par exemple les effets indésirables sur la santé). Les indicateurs couvrent **différentes thématiques** qui incluent **les caractéristiques des patients** (âge, le sexe comorbidités), des **données cliniques** (diagnostics hospitaliers, mortalité), le **recours aux soins de ville** (consultations, traitements, actes diagnostics) ou hospitaliers

(réhospitalisations, durée de séjour, passage par les urgences) et des **données économiques** provenant des données de remboursement du SNDS ou de la valorisation économique des données non remboursées. La construction des indicateurs et leur standardisation seront bénéfiques à l'écosystème, en garantissant leur **comparabilité entre les études** et en facilitant leur utilisation.

Dans le cas de l'évaluation d'un **nouveau mode de financement**, l'évaluation quantitative permet par exemple de confronter les hypothèses qui ont servi de base au calcul du modèle économique avec l'observation de **l'organisation réellement mise en place** via les données du SNDS. D'un point de vue économique, l'analyse du parcours de soins peut permettre d'évaluer le **surcoût engendré** par l'expérimentation par rapport aux **économies observées** ou à l'amélioration de la qualité de la prise en charge.

EN CONCLUSION

L'**évaluation quantitative** des expérimentations article 51 constitue un **pilier essentiel** pour la transformation du système de santé en France et la promotion d'**une culture d'évaluation** basée sur **les données de santé**. Malgré les défis liés à l'accessibilité et à la qualité des données, ainsi qu'à la durée des expérimentations, ce **déploiement massif d'évaluations en vie réelle** ouvre de nouvelles perspectives pour l'écosystème.

Une **collaboration efficace**, notion clé de l'article 51, entre les acteurs du système de santé est essentielle pour surmonter les obstacles juridiques, techniques et organisationnels, tout en garantissant **l'accès aux données**.

L'utilisation des **données médico-administratives du SNDS** joue un rôle clé dans ces évaluations, permettant une évaluation plus précise de l'efficacité des interventions et favorisant **la création et la validation d'algorithmes réutilisables**. Cette approche améliorera la qualité des recherches futures basées sur ces données.

La **capitalisation des expériences** et des résultats d'évaluations est primordiale pour renforcer les connaissances et orienter les décisions futures. De même, la **standardisation des indicateurs** et leur comparabilité entre les études faciliteront l'exploitation complète du potentiel des données.

Ces éléments concourent à une progression vers des pratiques de santé **plus efficaces et fondées sur des preuves solides**, bénéficiant ainsi à l'ensemble de l'écosystème de la santé.

Les auteurs de ce papier sont membres des cinq prestataires privés retenus pour le premier appel d'offres, organisé par la Caisse nationale d'assurance maladie en avril 2019, concernant la réalisation des analyses quantitatives mobilisant des données et des méthodes complexes des évaluations des projets retenus dans le cadre de l'innovation en santé (article 51 LFSS 2018).

BIBLIOGRAPHIE

RAPPORT AU PARLEMENT 2022 SUR LES EXPÉRIMENTATIONS INNOVANTES EN SANTÉ

https://sante.gouv.fr/IMG/pdf/rapport_parlement_article_51_2022.pdf

RAPPORT AU PARLEMENT 2021 SUR LES EXPÉRIMENTATIONS INNOVANTES EN SANTÉ

https://sante.gouv.fr/IMG/pdf/rapport_parlement_article_51_2021.pdf

RAPPORT AU PARLEMENT 2020 SUR LES EXPÉRIMENTATIONS INNOVANTES EN SANTÉ

https://sante.gouv.fr/IMG/pdf/article_51_rapport_au_parlement_2020.pdf

Expérimentations innovantes en santé : Mise en œuvre du dispositif en 2018. Rapport au conseil stratégique

[Expérimentations innovantes en santé \(sante.gouv.fr\)](#)

Note sur le cadre d'évaluation des expérimentations dans le cadre du dispositif d'innovation en santé (article 51 de la LFSS 2018)

[note_cadre_evaluation_experimentations_dispositif_innovation_sante_article_51_lfss_070318.pdf](#)

Conseil stratégique de l'innovation en santé. Livret d'accueil

[Présentation PowerPoint \(sante.gouv.fr\)](#)

Guide méthodologique de l'évaluation des projets art.51 LFSS 2018. Accompagnement pour la mise en œuvre de l'évaluation de projets dans le cadre de l'innovation en santé [Guide pour l'évaluation des expérimentations A51 \(sante.gouv.fr\)](#)

Guide synthétique pour les porteurs de projet et des expérimentateurs

https://sante.gouv.fr/IMG/pptx/guide_synthetique_porteurs_projet_et_experimentateurs.pptx

Délibération n°2022-072 du 23 juin 2022 portant décision unique

https://sante.gouv.fr/IMG/pdf/article_51_decision_unique.pdf

Guide pratique : les circuits NIR pour la recherche en santé :

[Guide pratique : les circuits NIR pour la recherche en santé](#)

Évaluation d'une action de santé publique : recommandations - Mis en ligne le 01 oct. 1995 - ANDEM/Service Formation/Octobre 1985

<https://has-sante.fr/upload/docs/application/pdf/santpubl.pdf>

Cases C., Grémy I., Perret B. (2009). L'évaluation en santé publique ? L'évaluation : pourquoi et comment ? Actualité et dossier en santé publique. (69), 17-64

<https://www.hcsp.fr/Explore.cgi/Telecharger%3FNomFichier%3Dad691763.pdf>

Khandker, S.R., Koolwal, G.B. Samad, H.A. (2010). Handbook on Impact Evaluation: Quantitative Methods and Practices. World Bank

[\(PDF\) Khandker, S., B. Koolwal, G., & Samad, H. \(2010\). Handbook on impact evaluation: quantitative methods and practices. \(Book Review\). \(researchgate.net\)](#)