

## SYNTHÈSE

# COMMENT PRENDRE EN COMPTE LES PRÉFÉRENCES DES CITOYENS DANS LA DÉCISION DE REMBOURSER UN NOUVEAU TRAITEMENT ?





## Le Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé

Le Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé est un parastatal, créé par la loi-programme (1) du 24 décembre 2002 (articles 259 à 281), sous tutelle du Ministre de la Santé publique et des Affaires sociales. Il est chargé de réaliser des études éclairant la décision politique dans le domaine des soins de santé et de l'assurance maladie.

### Conseil d'Administration

	<b>Membres effectifs</b>	<b>Membres suppléants</b>
Président	Pierre Gillet	
Fonctionnaire dirigeant de l'INAMI (vice président)	Jo De Cock	Benoît Collin
Président du SPF Santé publique (vice président)	Dirk Cuypers	Christiaan Decoster
Président du SPF Sécurité sociale (vice président)	Frank Van Massenhove	Jan Bertels
Administrateur général de l'AFMPS	Xavier De Cuyper	Greet Musch
Représentants du ministre de la Santé publique	Brieuc Van Damme	Koen Vandewoude
	Ri De Ridder	Yolande Avontroodt
Représentants du ministre des Affaires sociales	Bert Winnen	Magali Pirson
	Johan De Haes	Dirk Ramaekers
Représentants du Conseil des ministres	Jean-Noël Godin	Natacha Beugnier
	Marc Loix	Tijs Neutens
Agence intermutualiste	Michiel Callens	Frank De Smet
	Patrick Verertbruggen	Jean-Marc Laasmans
	Xavier Brenez	Geert Messiaen
Organisations professionnelles représentatives des médecins	Marc Moens	Roland Lemye
	Jean-Pierre Baeyens	Rita Cuypers
Organisations professionnelles représentatives des infirmiers	Michel Foulon	Ludo Meyers
	Myriam Hubinon	Olivier Thonon
Fédérations hospitalières	Johan Pauwels	Katrien Kesteloot
	Jean-Claude Praet	Pierre Smiets
Partenaires sociaux	Rita Thys	Catherine Rutten
	Paul Palsterman	Celien Van Moerkerke
Chambre des Représentants	Lieve Wierinck	



## Contrôle

Commissaire du Gouvernement

Steven Sterckx

## Direction

Directeur Général  
Directeur Général Adjoint  
Directeurs du programme d'études

Raf Mertens  
Christian Léonard  
Kristel De Gauquier  
Dominique Paulus

## Contact

Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE)  
Doorbuilding (10<sup>e</sup> étage)  
Boulevard du Jardin Botanique, 55  
B-1000 Bruxelles  
Belgique

T +32 [0]2 287 33 88

F +32 [0]2 287 33 85

info@kce.fgov.be

<http://www.kce.fgov.be>



## SYNTHÈSE

# COMMENT PRENDRE EN COMPTE LES PRÉFÉRENCES DES CITOYENS DANS LA DÉCISION DE REMBOURSER UN NOUVEAU TRAITEMENT ?

IRINA CLEEMPUT, STEPHAN DEVRIESE, LAURENCE KOHN, CARL DEVOS, JANINE VAN TIL, KARIN GROOTHUIS-ODSHOORN, PIETER VANDEKERCKHOVE, CARINE VAN DE VOORDE



## COLOFON

Titre :	Comment prendre en compte les préférences des citoyens dans la décision de rembourser un nouveau traitement ? – Synthèse
Auteurs :	Irina Cleemput (KCE), Stephan Devriese (KCE), Laurence Kohn (KCE), Carl Devos (KCE), Janine van Til (Universiteit Twente, the Netherlands), Karin Groothuis-Oudshoorn (Universiteit Twente, the Netherlands), Pieter Vandekerckhove (Mapi, United Kingdom), Carine Van de Voorde (KCE)
Coordinateur de projet :	Nathalie Swartenbroekx (KCE)
Rédaction synthèse :	Karin Rondia (KCE), Christian Léonard (KCE)
Relecture :	Nadia Benahmed (KCE), Dominique Roberfroid (KCE)
Experts externes :	Lieven Annemans (Ugent), Jaak Billiet (KU Leuven), Ri De Ridder (RIZIV – INAMI), Myriam De Spiegelaere (ULB), Brigitte Duvieusart (Koning Boudewijnstichting – Fondation Roi Baudouin), Margreet Franken (Erasmus Universiteit Rotterdam, the Netherlands), Johan Hansen (Nederlands Instituut voor Onderzoek van de Gezondheidszorg (NIVEL), the Netherlands), Mark Koopmanschap (Erasmus Universiteit Rotterdam, the Netherlands), Erik Schokkaert (KU Leuven), Martina Vandebroek (KU Leuven), Tinne Vandensande (Koning Boudewijnstichting – Fondation Roi Baudouin), Toon Vandevelde (KU Leuven), Bert Winnen (RIZIV – INAMI)
Validateurs externes :	Ann Carton (Studiedienst van de Vlaamse Regering), Roselinde Kessels (Universiteit Antwerpen), Aki Tsuchiya (University of Sheffield, United Kingdom)
Remerciements :	Stefan Van De Venster (FOD Binnenlandse zaken – SPF Intérieur), Peter Raeymaekers (LyRaGen), Gerrit Rauws (Koning Boudewijnstichting – Fondation Roi Baudouin), Monique Bosson (Belgisch Raadgevend Comité voor Bio-ethiek – Comité Consultatif de Bioéthique de Belgique), Johan Van der Heyden (WIV – ISP), Stefaan Demarest (WIV – ISP), Sylviane de Viron (ISP – WIV), Edwin Pelfrene (SVR), Ann Carton (SVR), Marc Callens (SVR)
Autres intérêts déclarés :	Honoraires ou autres compensations pour la rédaction d'une publication ou la collaboration à un tel travail : Peter Raeymaekers (collaborateur free-lance / consultant Koning Boudewijnstichting – Fondation Roi Baudouin) Participation à une étude scientifique ou expérimentale en qualité d'initiateur, de chercheur principal ('principal investigator') ou de chercheur : Roselinde Kessels (co-rechercheur / co-auteur recherche doctoral Jeroen Luyten 'Public preferences for prioritizing preventive and curative health care interventions: a discrete choice experiment') Présidence ou fonction de responsable au sein d'une institution, d'une association, d'un département ou d'une autre entité pour lequel/laquelle les résultats de ce rapport pourraient avoir un impact : Ri De Ridder (directeur général RIZIV – INAMI), Bert Winnen (directeur médical RIZIV – INAMI)
Layout :	Ine Verhulst

**Disclaimer :**

- **Les experts externes ont été consultés sur une version (préliminaire) du rapport scientifique. Leurs remarques ont été discutées au cours des réunions. Ils ne sont pas co-auteurs du rapport scientifique et n'étaient pas nécessairement d'accord avec son contenu.**
- **Une version (finale) a ensuite été soumise aux validateurs. La validation du rapport résulte d'un consensus ou d'un vote majoritaire entre les validateurs. Les validateurs ne sont pas co-auteurs du rapport scientifique et ils n'étaient pas nécessairement tous les trois d'accord avec son contenu.**
- **Enfin, ce rapport a été approuvé à l'unanimité par le Conseil d'administration.**
- **Le KCE reste seul responsable des erreurs ou omissions qui pourraient subsister de même que des recommandations faites aux autorités publiques.**

Date de publication : 22 décembre 2014 (2nd print; 1st print: 22 décembre 2014)  
Domaine : Health Services Research (HSR)  
MeSH : Decision Making; Health Insurance Reimbursement; Democracy; Consumer participation  
Classification NLM : W 84.3 Research (General)  
Langue : Français  
Format : Adobe® PDF™ (A4)  
Dépot légal : D/2014/10.273/90  
Copyright : Les rapports KCE sont publiés sous Licence Creative Commons « by/nc/nd »  
<http://kce.fgov.be/fr/content/a-propos-du-copyright-des-rapports-kce>.



Comment citer ce rapport ?

Cleemput I, Devriese S, Kohn L, Devos C, van Til J, Groothuis-Oudshoorn K, Vandekerckhove P, Van de Voorde C. Comment prendre en compte les préférences des citoyens dans la décision de rembourser un nouveau traitement ? – Synthèse. Health Services Research (HSR). Bruxelles: Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE). 2014. KCE Reports 234Bs. D/2014/10.273/90.

Ce document est disponible en téléchargement sur le site Web du Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé.







## ■ PRÉFACE

Notre santé a beau être notre bien le plus cher, elle reste un concept foncièrement évasif, pour lequel chacun de nous développe sa propre définition. Et souvent nous ne prenons pleinement conscience de son importance que lorsqu'il nous semble qu'elle nous échappe. Elle est de surcroît soumise à l'influence d'une multitude de facteurs, dont beaucoup agissent insidieusement, sur le long terme. Pour construire un système de soins solidaire, financé par tous ceux qui en ont les capacités, il y a donc un réel enjeu qui consiste à faire entrer cette variété de définitions et cette multitude de facteurs dans une équation...qui devient extraordinairement difficile à résoudre. Inévitablement, des choix doivent être faits. Pour ceux et celles qui pilotent notre politique de santé, le défi est de taille.

Lors d'un précédent rapport, le KCE avait proposé une ouverture vers ce que l'on appelle parfois la démocratie sanitaire. Les membres des instances de l'INAMI avaient accueilli favorablement l'idée d'une implication des citoyens dans l'établissement des priorités en soins de santé. Le principe était acquis, encore fallait-il imaginer son application. Comment faire valoir la voix du citoyen dans les décisions de remboursement de nouveaux traitements sans pour autant donner libre cours à des réactions émotionnelles, des conflits d'intérêt, voire des réflexes discriminatoires ou d'exclusion ? Nous avons dû nous entourer de précautions considérables pour obtenir de manière objective et scientifiquement valable une estimation du poids que notre population accorde à des valeurs comme la prolongation de la vie, la qualité de vie, le niveau d'inconfort lié à un traitement, etc.

De ce travail de longue haleine, nous avons extrait une « hiérarchisation » des différents critères qui, aux yeux des citoyens, devraient caractériser chaque décision de rembourser une nouvelle intervention de santé. Un outil pour aider les pouvoirs publics à poser leurs choix, mais qui ne les exemptera pas de réflexions, de discussions, de délibérations au sein desquelles, à côté de l'efficacité, les notions d'équité et d'éthique resteront prépondérantes. Car aucun instrument, aussi sophistiqué soit-il, ne pourra remplacer la touche humaine quand il s'agit de prendre soin de l'autre.

Christian LÉONARD  
Directeur Général Adjoint

Raf MERTENS  
Directeur Général



## ■ SYNTHÈSE

### TABLE DES MATIÈRES

■	PRÉFACE.....	1
■	SYNTHÈSE .....	2
1.	MESSAGES CLÉS.....	3
2.	CONTEXTE .....	4
2.1.	LE SYSTÈME BELGE DE DÉCISION EN MATIÈRE DE REMBOURSEMENT DE SOINS DE SANTÉ.....	4
2.2.	LES CONDITIONS DE LA LÉGITIMITÉ.....	5
2.3.	DEUX PRÉCISIONS IMPORTANTES: .....	6
3.	OBJECTIFS DE CETTE ÉTUDE .....	6
4.	DÉMARCHE ET RÉSULTATS / LE PROCESSUS MCDA .....	7
4.1.	LA SÉLECTION DES CRITÈRES PERTINENTS .....	8
4.1.1.	Un canevas de départ .....	8
4.1.2.	La sélection des critères pertinents .....	10
4.2.	L'ENQUÊTE DE POPULATION .....	13
4.2.1.	L'échantillon de la population générale.....	13
4.2.2.	L'échantillon des membres des organes consultatifs .....	13
4.2.3.	L'élaboration du questionnaire et la technique des choix discrets.....	13
4.3.	RÉSULTATS DE L'ENQUÊTE ET CALCUL DES PONDÉRATIONS.....	17
4.3.1.	La nécessité thérapeutique.....	17
4.3.2.	La nécessité sociétale.....	18
4.3.3.	La valeur ajoutée des nouveaux traitements .....	18
4.4.	COMMENT PRENDRE EN COMPTE LES PONDÉRATIONS DANS LE PROCESSUS DE DÉCISION ? .....	19
4.4.1.	Un système de scores pondérés.....	19
4.4.2.	Des scores variables mais des pondérations immuables .....	19
4.4.3.	Une image intégrée.....	20
4.4.4.	Il y a toujours place pour des exceptions... mais elles doivent être justifiées .....	21
5.	CONCLUSION .....	21
■	RECOMMANDATIONS.....	22



## 1. MESSAGES CLÉS

En matière de remboursement de soins de santé, les décisions politiques sont généralement très complexes ; elles font intervenir des critères nombreux, variés et parfois difficilement conciliables. Dans un système démocratique, les décideurs politiques doivent en outre satisfaire à des exigences de légitimité face aux citoyens et pouvoir rendre compte de leurs choix.

On peut poser comme hypothèse que l'intérêt de la société est au moins en partie déterminé par les préférences des citoyens – qui sont eux-mêmes des patients en puissance, passés, présents ou à venir. Or les décideurs politiques n'ont en général qu'une idée assez vague de ce que sont ces préférences, parce qu'il n'existe pas de données objectives à ce sujet. Ils ont donc tendance à se fier, de manière plus intuitive que réellement étayée, à leurs propres impressions de « ce qui est bon pour le citoyen » quand ils doivent trancher dans ces décisions complexes.

Dans le cadre de ses recherches en matière d'organisation des soins de santé, le KCE a déjà analysé plusieurs facettes de ces processus décisionnels. L'étude que nous présentons ici vise un double objectif :

- à court terme : rendre explicites les préférences des citoyens sur une série de critères importants pour les décisions de remboursements de soins de santé ;
- à plus long terme : développer un outil qui puisse servir d'aide dans les processus décisionnels complexes en matière de remboursement de soins de santé, en permettant d'intégrer de façon transparente les multiples considérations en jeu – dont les préférences des citoyens.

Ce travail ne fournira pas aux décideurs une formule magique. À l'avenir comme par le passé, ils devront continuer à poser des choix difficiles pour résoudre ces questions complexes. Mais l'outil que nous souhaitons développer vise à les informer de façon fiable et reproductible sur les préférences des citoyens, pour les guider dans les arbitrages qu'ils seront inévitablement amenés à faire.

- **Pour être légitimes, les décisions en matière de remboursements de soins de santé devraient être transparentes et tenir compte des préférences des citoyens. Or il n'existe pas de données publiées sur les préférences des citoyens belges à ce sujet.**
- **Cette étude vise à mesurer l'importance relative, aux yeux des citoyens, des critères utilisés pour évaluer les demandes de remboursements de nouvelles interventions de santé.**
- **Les préférences des citoyens par rapport à ces critères ont été déterminées grâce à une enquête de population dont la méthodologie scientifique est détaillée dans le présent travail. Sur cette base, des pondérations ont été établies pour chacun des critères de décision soumis à l'avis des citoyens.**
- **Le résultat le plus important de l'enquête est que les citoyens estiment que la qualité de vie est le critère qui doit peser le plus sur les décisions de rembourser ou non un nouveau traitement. L'impact sur l'espérance de vie est également un critère important mais il est mis en balance avec la perte de qualité de vie.**
- **Ces pondérations sont destinées à être intégrées dans un outil d'aide à la décision qui sera proposé aux commissions de l'INAMI compétentes en matière de décisions de remboursement de soins de santé. Ceci fera l'objet d'une prochaine étude du KCE.**
- **Le développement de cet outil d'aide à la décision s'inscrit dans un travail de longue haleine visant à élaborer un processus de décision en matière de remboursement de soins de santé qui soit plus transparent, et de ce fait plus légitime aux yeux de tous.**



## 2. CONTEXTE

Le rôle essentiel du KCE dans le paysage des soins de santé belge est de fournir un support scientifique aux décideurs lorsqu'ils doivent poser des choix en matière de soins de santé. Cela peut porter sur l'évaluation d'une nouvelle intervention de santé (médicament, technologie, dispositif médical, etc.) candidate au remboursement par l'assurance maladie, ou sur l'organisation des soins (financement des hôpitaux, des soins à domicile, etc.), ou encore sur les meilleures manières de soigner telle ou telle maladie (recommandations de pratique clinique).

En matière de remboursement de soins, **l'analyse du processus-même de prise de décision** fait aussi partie des thématiques de recherche du KCE. Il s'agit en effet d'un processus complexe, dont différents aspects ont été successivement décortiqués au cours des années précédentes (voir notamment les rapports 147 et 195). Le but étant de proposer des pistes pour aboutir progressivement à une approche aussi **transparente et légitime** que possible.

Il semble de plus en plus évident que les décisions de remboursement ne devraient pas reposer uniquement sur l'application « mécanique » de critères technico-économiques tels que l'efficacité, la sécurité ou le coût d'une intervention de santé, mais qu'elles devraient également inclure des critères d'un autre ordre, davantage fondés sur des priorités que la société elle-même veut mettre en avant. Ces priorités peuvent porter sur la qualité de vie, l'allongement de l'espérance de vie, etc.

Pour être en mesure de prendre en compte des critères aussi différents sans tomber dans la subjectivité – ce qui ferait perdre tout son sens à la démarche – le processus de prise de décision doit être formalisé et reproductible. Il doit garder sa cohérence en toutes circonstances. Il faut pour cela l'encadrer de balises à la fois immuables et suffisamment souples pour pouvoir faire face à des cas de figures très variés : que l'on doive statuer sur le remboursement d'un nouveau médicament contre le cancer ou sur celui des sirops anti-reflux pour les bébés, les mêmes principes fondamentaux devraient être pris en compte. C'est une question d'équité.

Et c'est bien là que réside toute la difficulté... Car peser dans une même balance des critères aussi différents par nature que le coût d'un traitement ou son impact sur la qualité de vie, cela relève de la quadrature du cercle.

### 2.1. Le système belge de décision en matière de remboursement de soins de santé

Dans la pratique, le processus actuel de décision de remboursement pour une nouvelle intervention de santé (produit ou procédure) débute par l'introduction, par le prestataire ou le fabricant, d'une demande en ce sens auprès de l'INAMI.

Le processus de décision de remboursement en usage en Belgique comporte 3 phases:

1. une phase d'**évaluation** de toutes les données scientifiques relatives à l'intervention considérée ;
2. une phase d'**appréciation** où ces éléments objectifs sont pondérés, mis en balance, ce qui implique d'établir des priorités parmi les critères pris en compte. Dans un système démocratique, l'idée que cette appréciation devrait idéalement refléter les préférences de la société a fait son chemin et est de plus en plus acceptée ;
3. une phase de **décision** proprement dite, sur base des résultats de la phase d'appréciation.

La première phase, celle de l'**évaluation** (*'Assessment'*), est en dehors du cadre de cette étude. Elle a pour but de décrire la maladie concernée et de quantifier les impacts cliniques, thérapeutiques et économiques du nouveau produit ou procédure, en comparaison avec ses alternatives, s'il en existe. Idéalement, cette phase se base sur de chiffres objectifs, issus de méthodologies rigoureuses et reproductibles.

Durant la phase d'**appréciation** (*'Appraisal'*), un groupe d'experts et de représentants (stakeholders) des milieux scientifique, mutualiste, pharmaceutique, médical et politique se prononce sur la plus-value de l'intervention pour la société. En Belgique, ce sont essentiellement les membres de la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM) et de la Commission de remboursement des implants et des dispositifs médicaux invasifs, deux commissions de l'INAMI, qui évaluent les demandes de remboursement. D'autres comités – consultatifs ou non – de l'INAMI peuvent également intervenir dans certains domaines précis (revalidation, soins dentaires, etc.). Les avis de ces commissions débouchent sur la formulation d'une proposition adressée au ministre, qui prend la **décision** finale (phase de décision).



### Délibératif ou évaluatif

Actuellement, en Belgique, le processus de décision en matière de remboursement est dit « **délibératif** » c'est-à-dire qu'il est basé sur une délibération réunissant experts et stakeholders au sein d'un organe consultatif. On oppose généralement au modèle délibératif le modèle **évaluatif** tel qu'il existe aux Pays-Bas et en Suède. La différence fondamentale réside dans la composition du comité d'experts qui conseille le décideur final. Dans le modèle délibératif, les principales parties intéressées sont représentées dans le comité d'évaluation, tandis que dans le modèle évaluatif, ce comité est composé essentiellement d'experts scientifiques. Dans ce modèle, les préférences sociétales sont alors exprimées via une consultation de représentants de la société civile.

Jusqu'à ce point, les préférences des citoyens ne sont pas prises en considération dans le processus – du moins pas de manière formelle. En effet, dans le modèle délibératif belge, les citoyens ne sont pas invités à participer aux discussions. Leurs intérêts sont censés être défendus par d'autres acteurs déjà impliqués. Il n'existe aucune instance de consultation des citoyens (comme au sein du NICE en Grande-Bretagne), ni de procédure de délibération structurée avec leurs représentants. On ne sait donc pas exactement comment a lieu cette prise en considération des préférences des citoyens.

### Ne pas confondre les préférences des citoyens et la représentation des patients

Parmi les membres de la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM), à l'heure actuelle, les patients ne sont pas directement représentés. Il serait pourtant intéressant de pouvoir les inviter, en fonction des sujets traités, à titre « d'experts du vécu », pour aider les experts scientifiques à cerner plus précisément l'impact de certains critères. Par exemple, on ne dispose pas toujours de données objectives à propos de la qualité de vie. Seuls des patients possèdent cette « expertise » particulière ; leur point de vue pourrait donc être ajouté lors de l'étape d'appréciation.

Mais il faut bien distinguer cet apport ponctuel de patients-témoins, experts par leur propre vécu, de la **prise en compte systématique des préférences des citoyens**, qui est l'objet de cette étude.

### 2.2. Les conditions de la légitimité

Dans un précédent rapport (KCE Report 147), nous avons insisté sur la nécessité de donner à l'ensemble du processus de décision de remboursement la plus grande **transparence** et la plus grande **pertinence** possibles. Une troisième condition incontournable, que nous n'aborderons pas ici, est la **révisibilité** des décisions (c'est-à-dire la possibilité de les remettre en question et de les adapter à tout moment si elles ne s'avèrent plus pertinentes à la lumière de l'évolution des connaissances).

Pour atteindre la **transparence**, il faut notamment que l'importance relative que l'on accorde à chaque critère de choix soit préalablement définie, admise et connue de tous. Pour atteindre la **pertinence**, il faut, entre autres, que cette importance relative soit en phase avec les priorités que se sont choisies les citoyens. Pour prendre un exemple caricatural, si nous décidons que la qualité de la vie est plus importante à nos yeux que sa durée, cela devra se refléter dans les choix que nous ferons, comme par exemple donner la priorité à des soins palliatifs de qualité plutôt qu'aux médicaments qui prolongent la vie au prix d'effets secondaires pénibles.

Idéalement, on souhaiterait donc disposer d'une procédure qui permette de déterminer l'importance, le « poids » de chacun des critères qui doivent être pris en considération pour procéder à des décisions dans le domaine des soins de santé.



La plupart des acteurs actuels de ce processus de décision admettent (voir KCE Report 195) qu'une telle prise en compte des priorités de la société augmenterait la légitimité des décisions et permettrait donc à chaque citoyen de mieux 's'identifier' au système d'assurance maladie, une condition nécessaire si l'on souhaite que l'ensemble de la société puisse l'assumer, notamment financièrement.

C'est dans la suite logique de cette réflexion que s'inscrit la présente étude. Elle part du principe que les décideurs disposent de peu de balises pour se repérer dans l'établissement des priorités souhaitées par la société, et vise à leur donner des instruments pour mieux les appréhender.

Il s'agit d'une démarche tout à fait innovante, car elle repose sur une approche empirique, basée sur une **enquête de population**, pour déterminer les préférences des citoyens à intégrer dans le processus.

### 2.3. Deux précisions importantes:

1. Cette étude porte sur les processus de décision en matière de remboursements de soins de santé à venir. Il ne s'agit pas de remettre en question les décisions de remboursement déjà prises, mais de fournir des informations susceptibles d'améliorer les décisions futures.
2. Cette étude porte sur les processus de décision en matière de remboursements de soins de santé au niveau de la population dans son ensemble. Il s'agit donc bien de règles générales et, à aucun moment, de cas particuliers. Il ne s'agit donc absolument pas d'établir une procédure qui nous amènerait à devoir choisir « entre la grand-mère et le petit-fils ». Par conséquent, l'enquête de population qui a été menée n'a interrogé les citoyens que sur des principes généraux et jamais sur des cas particuliers.

## 3. OBJECTIFS DE CETTE ÉTUDE

L'objectif ultime de l'ensemble de ce travail est de **développer un outil d'aide à la décision** qui permettra aux décideurs de rendre certaines étapes du processus décisionnel plus transparent et plus en phase avec les préférences de la société belge. Cet outil ne doit pas se substituer au processus de décision mais contribuer à mieux informer les décideurs et à accroître la légitimité des choix qu'ils feront.

Cette étude se concentre plus précisément sur **deux objectifs opérationnels** qui sont:

- **déterminer des pondérations** pour une série de critères identifiés comme pertinents pour les décisions de remboursement. Ces pondérations sont le reflet de l'importance accordée par la population belge à chacun de ces critères, mesurée sur base d'une enquête de population ;
- étudier la faisabilité de l'incorporation de ces pondérations dans un outil utilisable dans le contexte belge.

Un **objectif secondaire** de cette étude est de comparer les poids accordés aux mêmes critères par les décideurs politiques et par la population, ce qui permettra d'estimer dans quelle mesure la prise en compte des préférences du public est susceptible de modifier ou pas les décisions telles qu'elles se prennent actuellement. Ces renseignements pourront être utilisés dans des recherches futures pour investiguer dans quelle mesure l'utilisation de l'outil proposé conduit effectivement à des modifications dans les décisions et permet d'augmenter la transparence et la justification des décisions prises.



### Une collaboration de longue durée entre le KCE et la Fondation Roi Baudouin

Cette étude s'inscrit dans un thème de recherche plus vaste sur les manières d'intégrer les valeurs et préférences sociétales dans les processus décisionnels en matière de soins de santé. Le KCE collabore dans ce cadre avec la Fondation Roi Baudouin et l'INAMI pour arriver à des résultats à la fois pratiques, utilisables sur le terrain, et scientifiquement validés.

Étant donné que l'essence même du problème réside dans la manière de concilier objectivité et subjectivité, les approches du KCE et de la Fondation ont été élaborées pour se compléter mutuellement en tirant parti des points forts de chacun des partenaires. La tâche du KCE est de réussir à « capter » les préférences (intrinsèquement subjectives) par des méthodes quantitatives, tandis que la Fondation Roi Baudouin développe un volet purement qualitatif, qui doit permettre de discerner et de mettre en perspective les fondements des préférences exprimées par les citoyens. Les résultats de ce « Laboratoire » seront publiés par la Fondation dans le courant 2015.

## 4. DÉMARCHE ET RÉSULTATS / LE PROCESSUS MCDA

Pour bien comprendre la démarche de ce travail, osons un exemple qui n'a rien à voir avec le problème qui nous préoccupe. Imaginons qu'une commune envisage de placer des éoliennes sur son territoire. Il s'agit typiquement d'une décision où il faut prendre en compte différents critères en apparence assez « disparates » :

- l'avantage écologique de l'énergie renouvelable
- le problème des nuisances esthétiques
- le problème des nuisances sonores
- le problème des oiseaux migrateurs qui risquent d'entrer en collision avec les pales
- etc.

Tous ces critères n'ont pas le même poids aux yeux de chaque habitant de la commune : les oiseaux migrateurs sont-ils plus importants que l'esthétique du paysage ? Ou que l'avantage écologique en termes d'énergie verte ? Quel sera le poids des nuisances sonores ?

Pour le savoir, il faut faire une enquête auprès des différentes parties prenantes du village en leur demandant de préciser leurs préférences. On pourra alors attribuer une **pondération** aux différents critères, ce qui mènera à une décision plus démocratique. Chacun pourra faire valoir son point de vue et le choix final pourra être fait, explicitement, sur cette base.

*Mutatis mutandis*, si l'on demande aux citoyens belges de se prononcer sur leurs préférences en matière de remboursement d'interventions de santé, leurs réponses dépendront également de très nombreux paramètres : les caractéristiques des maladies concernées, les caractéristiques des patients qui en sont atteints, les avantages liés aux interventions elles-mêmes, et le contexte social.

Si l'on veut que les décisions restent cohérentes les unes avec les autres malgré cette multiplicité de paramètres, c'est-à-dire sans laisser interférer l'émotion du moment ou d'autres éléments (lobbying, etc.), il faut mettre sur pied une manière d'y arriver qui soit **stable et reproductible**. Il existe pour cela une série de techniques, qui ont été développées dans des domaines



parfois très éloignés de la santé. La “*multi-criteria decision analysis*” ou analyse multicritère (MCDA) est l’une de ces techniques.

Dans le contexte qui nous occupe ici, on peut définir la MCDA comme une méthode qui permet de rendre **explicite** le poids relatif – la **pondération** – de chacun des critères (parfois contradictoires) pris en compte dans les décisions.

La MCDA doit être vue comme une **aide à la décision**, un outil destiné à structurer les processus délibératifs, à exercer le jugement, et non comme une méthode à appliquer mécaniquement. « *Ce qui importe c’est la manière dont le débat est structuré : jusqu’où permet-il une discussion raisonnable, éclairée et ouverte, qui s’ouvre à une variété de perspectives et qui prend en compte la pluralité des intérêts en présence* » (d’après Klein 1993).

L’avantage majeur de la MCDA est donc qu’elle **accroît la transparence et la cohérence des processus de décision**. En identifiant et en pondérant de façon explicite et reproductible les critères qui entrent en ligne de compte, elle permet aux décideurs d’assumer plus ouvertement leurs choix face à l’opinion publique. C’est donc un outil de gouvernance avisée qui devrait contribuer à augmenter la confiance des citoyens envers les décideurs politiques.

La démarche de ce travail peut être schématiquement subdivisée en trois étapes :

1. Identification et sélection des **critères pertinents** qui fondent les décisions en matière de remboursement dans notre pays, au moyen d’une revue de littérature suivie d’une consultation d’experts ;
2. Réalisation d’une **enquête de population** pour déterminer l’importance respective (la pondération) de ces différents critères aux yeux des citoyens ;
3. Calcul des pondérations sur base des résultats de l’enquête.

Les pondérations obtenues au terme de ces trois étapes seront proposées à l’INAMI afin de fournir aux membres des comités concernés une référence stable et légitimée dans les processus de décision en matière de remboursement de nouvelles interventions de santé.

Dans le **point 4** de la présente synthèse, nous proposons un aperçu de la manière dont ces pondérations pourraient venir enrichir le processus existant via leur intégration dans un outil d’aide à la décision.

## 4.1. La sélection des critères pertinents

### 4.1.1. Un canevas de départ

La première étape de ce travail a été d’identifier les critères pertinents qui fondent les décisions en matière de remboursement dans notre pays, et de sélectionner ceux qui allaient être soumis à l’exercice de pondération par les citoyens belges. Il n’est en effet pas envisageable de tester *tous* les critères pertinents possibles car cela exigerait une enquête beaucoup trop vaste, impossible à mettre en œuvre.

Dans le rapport KCE n°147 déjà mentionné, nous avons proposé un « canevas » pratique permettant de sérier les critères lors du processus de décision de remboursement (en l’occurrence, des médicaments). Ce canevas consiste en cinq questions qui se succèdent de façon hiérarchique : si la réponse à la première question est oui, les décideurs peuvent passer à la suivante, et ainsi de suite (voir tableau 1).

D’après ce cadre conceptuel, pour qu’un nouveau traitement soit acceptable pour un remboursement, il faut qu’il existe **au moins un besoin thérapeutique et/ou sociétal** pour l’indication à laquelle il s’adresse. Ainsi par exemple, si on estime que le problème concerné ne nécessite pas de nouveau traitement, il n’est peut-être pas utile d’utiliser les deniers publics pour le rembourser (sauf s’il s’avère que ce nouveau traitement est au moins aussi efficace que l’existant, mais moins cher). Toutefois, l’affirmation de ce besoin ne suffit pas ; il faut ensuite que le nouveau traitement soit convaincant par rapport à d’autres critères jugés importants, qui font l’objet de la question suivante. Et ainsi de suite.





**Tableau 1 – Cadre conceptuel pour le processus d'appréciation en matière de décision de remboursement d'une intervention de santé dans le système belge**

Niveau de décision	Question	Critères possibles
<b>1. Nécessité thérapeutique et sociétale</b>	L'intervention proposée cible-t-elle un besoin thérapeutique ou sociétal?	<p>Nécessité thérapeutique:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• (Absence de) disponibilité de traitements alternatifs efficaces en termes d'espérance de vie et de qualité de vie</li> <li>• Degré d'inconfort du traitement existant</li> <li>• etc.</li> </ul> <p>Nécessité sociétale :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Prévalence élevée/faible</li> <li>• Inégalités en termes de santé</li> <li>• Coût de la maladie pour la société</li> <li>• etc.</li> </ul>
<b>2. Acceptation du principe de consacrer une part du budget public à la prise en charge de ce type d'affection</b>	Notre société accepte-t-elle de financer publiquement une intervention quelconque qui remédie à une affection de ce type?	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Responsabilité individuelle</li> <li>• Pathologie liée au mode de vie</li> <li>• etc.</li> </ul>
<b>3. Acceptation de la prise en charge d'un traitement <i>spécifique</i> par le budget public</b>	Notre société accepte-t-elle de financer publiquement <i>cette intervention</i> en particulier, sachant que l'acceptation de prendre en charge ce type d'affection est acquise dans son principe?	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Valeur thérapeutique</li> <li>• Portée des gains en termes de santé</li> <li>• Réduction de la prévalence</li> <li>• etc.</li> </ul>
<b>4. Acceptation de payer <i>davantage</i> pour ce traitement spécifique</b>	Sachant que notre société accepte de financer publiquement cette intervention spécifique, acceptons-nous de payer <i>davantage</i> pour cette intervention que pour le meilleur traitement alternatif?	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Économies potentielles dans d'autres secteurs des soins de santé</li> <li>• Qualité et niveau de certitude des preuves</li> <li>• Acceptabilité des paiements partagés et/ou des suppléments</li> <li>• Rareté de la pathologie</li> <li>• etc.</li> </ul>
<b>5. Acceptation de payer un prix déterminé</b>	Quel montant sommes-nous disposés à payer pour cette intervention en particulier, au moyen de deniers publics?	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Valeur thérapeutique ajoutée</li> <li>• Impact sur le budget / capacité d'intervention</li> <li>• Rapport coût/efficacité</li> <li>• Nécessités thérapeutique et/ou sociétale</li> <li>• Qualité et niveau de certitude des preuves</li> <li>• Limites du partage des coûts</li> <li>• etc.</li> </ul>



Idéalement, pour chaque question, la réponse doit comporter des **critères de décision explicites**, qui doivent être **pertinents ET pondérés**, et donc tenir compte de l'importance relative qu'y accordent les citoyens. À l'heure actuelle, ces deux éléments – pertinence et pondération – n'ont jamais été investigués au sein de la population belge.

La littérature décrit plusieurs listes de critères plus ou moins extensives, développées dans d'autres pays, mais leur pondération n'est que rarement (voire jamais) basée sur les préférences des citoyens. Notre approche est donc très novatrice sur ce point.

De plus, ces critères ne sont généralement pas structurés de manière hiérarchique comme le sont ceux de notre canevas. Au contraire, les critères sont souvent introduits tous ensemble dans le modèle de décision. L'avantage de notre modèle « multicouches » est de ne comporter que quelques critères par niveau, étant donné que la littérature montre qu'il est quasi impossible, en pratique, de considérer plus de six critères à la fois. C'est donc une manière de « simplifier la complexité »... en la structurant.

#### 4.1.2. La sélection des critères pertinents

Une recherche dans la littérature scientifique a permis d'établir une *long list* des différents critères utilisés à l'étranger, qui a ensuite été réduite à une *short list* après discussion avec un panel d'experts. Cette liste reprend les critères sur lesquels l'exercice de pondération par les citoyens semblait le plus faisable et le plus pertinent dans le contexte belge.

Ces critères sont regroupés dans les trois questions suivantes :

- Existe-t-il une **nécessité thérapeutique** ? (avons-nous besoin, *d'un point de vue médical*, d'un meilleur traitement que celui qui existe actuellement – et qui est remboursé – pour la maladie en question ?)
- Existe-t-il une **nécessité sociétale** ? (y a-t-il un besoin, *pour l'ensemble de la société*, d'un meilleur traitement que celui qui existe actuellement – et qui est remboursé – pour la maladie en question ?)

- Notre société accepte-t-elle de financer ce traitement en particulier ? (quelle est sa **valeur ajoutée** par rapport au traitement existant et déjà remboursé ?)

Les autres questions du canevas du tableau 1 n'ont pas été reprises dans l'enquête :

- La question « notre société accepte-t-elle de payer *d'avantage* pour ce traitement en particulier que pour les traitements déjà existants ? » est indirectement couverte par les réponses aux autres questions car sa réponse dépend d'une combinaison du degré de nécessité et de la valeur ajoutée.
- La question « combien notre société est-elle prête à payer pour ce traitement ? » touche à une matière économique et budgétaire qui dépasse le cadre de cette étude.
- Enfin la question : « Notre société accepte-t-elle de financer publiquement un traitement quelconque qui remédie à une affection de ce type ? » est sans aucun doute la plus délicate, car c'est celle qui met en jeu, entre autres valeurs éthiques, la solidarité et la responsabilité individuelle. C'est notamment le cas pour les affections qui sont – au moins partiellement – en lien avec notre mode de vie (tabagisme, alimentation déséquilibrée, conduite dangereuse, sédentarité, etc.). Si le KCE a volontairement renoncé à soumettre cette question au verdict des citoyens, ce n'est pas par tentation de balayer les difficultés sous le tapis, mais précisément parce que nous pensons que cette matière sensible nécessite d'importants prérequis d'information du citoyen. Ce type de question est abordé par la Fondation Roi Baudouin dans ses Labos citoyens, dont la méthodologie, basée sur des discussions approfondies et nuancées avec des experts, semble plus adéquate.



Tableau 2 – Critères inclus dans l'enquête

Nécessité thérapeutique	Nécessité sociétale	Valeur ajoutée du nouveau traitement
<ul style="list-style-type: none"><li>• Qualité de vie avec le traitement existant</li><li>• Espérance de vie avec le traitement existant</li><li>• Inconfort lié au traitement existant</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Dépenses publiques par patient liées à la maladie</li><li>• Prévalence de la maladie</li></ul>	<ul style="list-style-type: none"><li>• Impact sur la qualité de vie</li><li>• Impact sur l'espérance de vie</li><li>• Impact sur l'inconfort lié au traitement</li><li>• Impact sur les dépenses publiques par patient, liées à la maladie</li><li>• Impact sur la prévalence de la maladie</li></ul>

#### 4.1.2.1. Les critères de la nécessité thérapeutique :

Par rapport à une maladie donnée, il y a **nécessité thérapeutique** quand il n'existe encore aucun traitement ou que les traitements disponibles n'ont qu'une efficacité modérée.

La nécessité thérapeutique est utilisée de préférence à la **nécessité médicale**, qui représente le besoin *absolu* de traitement pour une maladie donnée, indépendamment de l'existence ou non d'autres traitements. La nécessité médicale dépend essentiellement de la *gravité* de la maladie mais ce n'est pas parce qu'une maladie est grave qu'elle représente un besoin thérapeutique important : par exemple, le diabète est une maladie grave mais il existe des traitements efficaces. Par contre, la mucoviscidose est aussi une maladie grave, mais elle n'a pas de traitement efficace. Sa nécessité thérapeutique est donc plus élevée que celle du diabète.

Par ailleurs, se focaliser sur la nécessité médicale comporte le risque de mener à des dépenses importantes pour des maladies pour lesquelles il existe déjà de bons traitements. En effet, il arrive que les traitements innovants proposés pour ces maladies n'apportent que des bénéfices cliniques relativement limités, mais à un prix toujours croissant.

Dans la section de notre enquête portant sur la nécessité thérapeutique, les répondants devaient choisir, entre deux groupes de patients, celui pour lequel il leur semblait le plus important de développer un nouveau et meilleur traitement. Les patients étaient définis par trois caractéristiques :

- leur qualité de vie avec la maladie en question ;
- le degré d'inconfort du traitement existant ;
- l'impact de la maladie sur leur espérance de vie, étant donné leur âge.

#### 4.1.2.2. Les critères de la nécessité sociétale

La nécessité sociétale est essentiellement tributaire :

- de la fréquence de la maladie ;
- des dépenses publiques (par patient) liées à la maladie et/ou son traitement.

C'est par essence un domaine où les préférences des citoyens peuvent faire une différence : par exemple, préférera-t-on soigner une maladie qui touche beaucoup de monde ou une maladie rare ? Il est possible que les citoyens considèrent que le besoin sociétal est plus grand pour une maladie qui



concerne un maximum d'individus, ou à l'inverse que le besoin sociétal est plus grand pour une maladie rare, parce que ses traitements sont moins facilement disponibles, ou parce que la notion de malchance entre en jeu.

Dans la section de notre enquête portant sur la nécessité sociétale, les répondants devaient choisir pour laquelle de deux maladies il leur semblait le plus important de développer un nouveau traitement. Les deux maladies étaient définies par deux séries de caractéristiques :

- leur **prévalence** (moins de 2000 patients concernés par l'affection, de 2000 à 10 000, de 10 000 à 100 000, plus de 100 000),
- des dépenses publiques (par patient) liées à la maladie et/ou son traitement (faible ou élevé).

#### 4.1.2.3. Les critères de la valeur ajoutée du traitement

La valeur ajoutée est un élément essentiel pour répondre à la question « Sommes-nous prêts à payer avec les deniers publics *pour ce traitement en particulier* (compte tenu du fait que le principe de payer pour soigner cette maladie est déjà acquis via la question 2 du canevas) ? ». Il s'agit donc bien de la *valeur ajoutée* que nous accordons à ce nouveau traitement par rapport à ceux qui existent. Cette valeur ajoutée peut elle-même tenir à différentes caractéristiques du nouveau traitement en question, tels que sa sécurité et son efficacité en comparaison avec les autres traitements existants, ou l'importance des gains de santé qu'il peut apporter (s'il permet d'améliorer considérablement l'état de santé des malades ou juste un peu).

Dans la section de notre enquête portant sur la valeur ajoutée, les répondants devaient choisir, entre deux nouveaux traitements pour une même maladie, celui qu'ils estimaient devoir être remboursé par l'assurance maladie. Les traitements étaient caractérisés par 5 critères :

- l'impact sur la qualité de vie ;
- l'impact sur l'espérance de vie ;
- l'impact sur le confort du traitement ;
- l'impact sur la prévalence de la maladie ;
- l'impact budgétaire (défini comme les dépenses publiques liées à la maladie et/ou son traitement, par patient atteint de ladite maladie, ce qui comprend le coût des soins ainsi que la perte de productivité, la perte de salaire, etc.).

On remarquera que certains critères repris pour évaluer l'importance de la valeur ajoutée correspondent à des critères déjà utilisés dans les questions sur la nécessité sociétale et thérapeutique. La raison de ce choix est que si ces critères sont considérés comme pertinents pour déterminer les nécessités sociétale et thérapeutique, c'est l'*amélioration* de ces critères qui sera, en soi, un critère pertinent pour la valeur ajoutée. À cette différence près qu'ici, tous les critères sont considérés ensemble.

Le questionnaire aborde donc séparément les critères liés à l'individu, ceux liés à la société et ceux liés au traitement.

#### 4.1.2.4. Le cas particulier de l'âge

L'âge n'est pas considéré comme un critère pertinent en soi dans le cadre de cette étude car, en général, dans notre pays, l'âge n'intervient pas pour fixer les remboursements de soins de santé. Nous n'avons donc pas cherché à tester l'importance de l'âge en tant que critère de choix. Ce paramètre a toutefois été introduit dans l'intitulé de certaines questions pour aider les participants à approcher la caractéristique de l'espérance de vie. Il est en effet difficile d'imaginer l'importance que représente le fait de perdre 5 ans de vie sans connaître l'âge du malade. Par exemple, le fait de mourir rapidement d'une maladie peut être considéré différemment par les citoyens selon qu'il s'agit d'une personne âgée de 18 ou de 85 ans.



## 4.2. L'enquête de population

### 4.2.1. L'échantillon de la population générale

Afin de cerner les préférences des citoyens belges par rapport aux critères sur lesquels se basent les décisions de remboursement de soins de santé, une vaste enquête de population a été menée entre février et avril 2014.

Au départ, 20 000 personnes entre 20 et 89 ans, représentatives de la population belge en termes d'âge et de sexe, ont été tirées au sort à partir du Registre national, avec l'accord de la Commission de la protection de la vie privée.

De ces 20 000 citoyens, 4810 ont accepté de participer à l'enquête (taux de participation de 24 %), avec finalement 4288 questionnaires valablement remplis (21,4 %). Il s'agissait d'une enquête en ligne mais les participants avaient la possibilité d'obtenir un formulaire papier sur demande. Toutes les réponses étaient strictement anonymes ; 91% des répondants ont utilisé le formulaire en ligne et 9% le formulaire sur papier.

Environ 66 % des répondants ont rempli le questionnaire en néerlandais, et 34 % le questionnaire en français. La proportion d'hommes et de femmes correspondait à celle de la population belge ; par contre, la ventilation par tranches d'âges montrait une légère sous-représentation des femmes de 70 ans et plus.

### 4.2.2. L'échantillon des membres des organes consultatifs

En plus de l'échantillon de la population générale, nous avons invité les membres **des 9 organes consultatifs fédéraux concernés par les remboursements d'interventions en soins de santé** à remplir le questionnaire (voir encadré). Leurs réponses ont été analysées séparément.

Des 421 personnes invitées à répondre, 175 ont répondu (41,6 %) et 161 ont entièrement rempli le questionnaire (38,2 %). Tous ont répondu au questionnaire en ligne ; 57 % ont rempli le questionnaire en néerlandais et 43 % le questionnaire en français. C'est parmi les comités consultatifs de l'INAMI que le taux de réponse a été le plus élevé (>45 %) ; le taux le plus faible correspondait à la Commission Santé publique de la Chambre (11,6 %) et à la Commission des Affaires sociales du Sénat (9,3 %).

### Les organes consultatifs invités à remplir le questionnaire

Comité consultatif de Bioéthique de Belgique

Commission de Remboursement des Médicaments / INAMI

Commission de remboursement des implants et des dispositifs médicaux invasifs / INAMI

Collège des médecins-directeurs / INAMI

Conseil Technique Médical / INAMI

Agence fédérale des médicaments et des produits de santé

Commission des Affaires sociales du Sénat

Commission Santé publique de la Chambre

Cellule stratégique de la Ministre de la Santé publique

### 4.2.3. L'élaboration du questionnaire et la technique des choix discrets

Parmi l'éventail de techniques existantes pour mesurer les préférences d'une population, nous avons choisi d'utiliser la méthode des choix discrets (DCE ou *discrete choice experiment*). Cette technique empruntée à l'outillage des études économiques semblait la plus appropriée pour dégager les préférences relatives vis-à-vis des différents critères.

Dans la méthode DCE, les participants doivent choisir entre deux scénarios dont chacun est défini par une série de caractéristiques.

Ces caractéristiques sont identiques dans les deux scénarios, seul leur ordre de grandeur varie en fonction de valeurs prédéfinies (= discrètes).



Par exemple, la qualité de vie peut être évaluée sur une échelle de grandeur entre 0/10 et 10/10. Nous avons choisi de proposer trois valeurs possibles : valeur élevée (8/10), valeur moyenne (5/10) et valeur basse (2/10). Pour connaître l'importance relative de la qualité de vie aux yeux des citoyens, on propose alors une série de scénarios où ce critère varie. En fonction des choix des participants, l'importance relative du critère « qualité de vie » se dégage donc.

Le choix des participants confrontés à plusieurs séries de scénarios permet de dégager l'importance relative attribuée à chaque critère.

Dans la première section du questionnaire, les participants devaient choisir, entre deux scénarios, celui pour lequel le besoin d'un meilleur traitement par rapport à un traitement existant leur semblait prioritaire pour les individus (nécessité thérapeutique).

Dans la deuxième section, les participants devaient choisir, entre deux scénarios, celui pour lequel le besoin d'un meilleur traitement par rapport à un traitement existant leur semblait prioritaire pour la société (nécessité sociétale).

Dans la troisième section, les participants devaient choisir, entre deux nouveaux traitements pour la même maladie, celui auquel ils préféraient accorder le remboursement (valeur ajoutée).

### BOX : Exemple de question (nécessité thérapeutique):

Voici deux groupes de patients. Chaque groupe de patients dispose déjà d'un traitement. Ce traitement implique un certain niveau de contrainte et leur donne une certaine qualité de vie et une certaine espérance de vie.

#### Les patients du groupe 1

ont actuellement une qualité de vie de 8 sur 10  
trouvent le traitement très contraignant  
ont entre 18 ans et 64 ans  
ne mourront plus de la maladie

#### Les patients du groupe 2

ont actuellement une qualité de vie de 5 sur 10  
trouvent le traitement peu contraignant  
ont plus de 80 ans  
ne mourront plus de la maladie

**D'après vous, pour quels patients est-il le plus important de développer un nouveau traitement qui sera meilleur?** Vous décidez vous-même de ce qui est 'meilleur'.

*Veuillez sélectionner une seule des propositions suivantes :*

Les patients du groupe 1

Les patients du groupe 2



L'enquête comprenait également un « exercice de raisonnement moral » préalable, conçu à titre d'échauffement, pour permettre aux participants de réfléchir au fait de poser des choix en matière de soins de santé. Il s'agissait de classer par ordre de priorité six traitements imaginaires, candidats à un remboursement par l'assurance maladie. Il est en effet prouvé que ce genre d'exercice préalable améliore la validité des réponses dans les enquêtes basées sur la méthode des choix discrets.

Enfin, une série de questions démographiques (âge, sexe, état civil, niveau d'éducation, statut professionnel, ayant des enfants ou non) ont également été ajoutées au questionnaire (anonyme), ainsi que des questions personnelles relatives à d'autres critères potentiellement influents, comme le fait d'être soi-même malade ou d'avoir des proches malades, la possibilité de payer ses soins de santé ou non. Les résultats des analyses de ces sous-groupes ne seront pas détaillés dans cette synthèse, mais peuvent être consultés dans le rapport scientifique, section 5.5.

Le questionnaire complet se trouve en annexe du rapport scientifique.

---

### Un questionnaire validé

Le processus de développement du questionnaire comprenait une **phase de pré-test**, un **test pilote** et une **phase de test-retest**. Les deux premières avaient pour but de peaufiner la formulation des questions (compréhension, présentation, faisabilité). La phase de test-retest, réalisée auprès de 55 personnes a servi à démontrer sa fiabilité : la majorité des répondants ont choisi la même réponse dans les phases de test et de retest.

Chaque questionnaire comportait un **scénario de choix dominant** pour tester la crédibilité des réponses. Un choix dominant est un scénario qui doit susciter l'adhésion car toutes ses caractéristiques présentent un niveau supérieur à toutes les caractéristiques de l'autre scénario. Logiquement, le participant doit donc choisir la réponse correspondant à ce choix dominant. Les questionnaires pour lesquels ce choix dominant n'avait pas été choisi ont été exclus de l'analyse.

---

Un problème inhérent à la méthode des choix discrets est que l'on peut rapidement atteindre un nombre très élevé de propositions : pour chaque

scénario il faut en effet combiner le nombre de critères par le nombre de niveaux par critère. Il a donc fallu se limiter et en sélectionner quelques-unes. Les différents scénarios sélectionnés pour les trois questions ont été combinés de manière à constituer vingt-quatre versions différentes de l'enquête (voir encadré).

### BOX : Pour la nécessité thérapeutique, 4 critères interviennent :

- **qualité de vie : 3 niveaux possibles**
- **inconfort lié au traitement : 2 niveaux possibles**
- **âge : 4 niveaux possibles**
- **espérance de vie : 3 niveaux possibles**

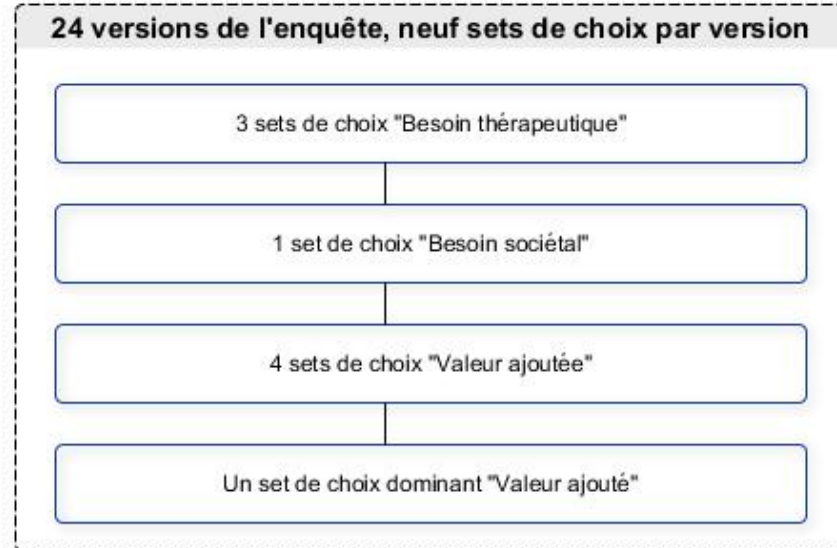
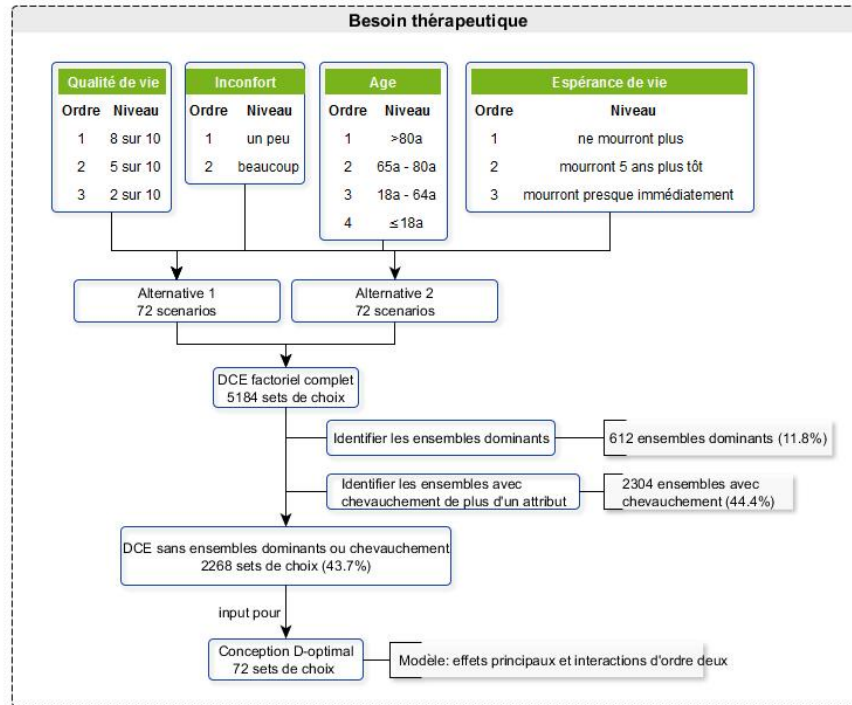
La combinaison des différents niveaux de tous ces critères (3x2x4x3) aboutit à **72 scénarios** possibles, qui doivent ensuite être comparés entre eux deux à deux, ce qui aboutit à 5184 (72x72) combinaisons possibles. On retire tous les combinaisons qui présentent plus d'un élément redondant (2304 scénarios) et tous les scénarios de choix dominant (612 scénarios). Il reste **2268 combinaisons** auxquelles on applique un algorithme d'optimisation qui donne **72 combinaisons**.

Le même exercice est réalisé pour la **nécessité sociétale** et donne **24 combinaisons**.

Le même exercice est réalisé pour la **valeur ajoutée** et donne **96 combinaisons**.

Il est décidé de composer **24 questionnaires différents**, chacun comprenant :

- **1 combinaison de scénarios sur la nécessité sociétale,**
  - **3 combinaisons de scénarios sur la nécessité thérapeutique**
  - **4 combinaisons de scénarios sur la valeur ajoutée**
  - **auxquels on ajoute une combinaison comprenant un scénario de choix dominants, identique dans toutes les versions.**
-







### 4.3. Résultats de l'enquête et calcul des pondérations

#### 4.3.1. La nécessité thérapeutique

De façon générale, c'est le critère de la **qualité de vie avec le traitement existant** qui a été considéré comme le plus important pour déterminer la nécessité thérapeutique. Celle-ci est considérée comme la plus élevée quand la qualité de vie est mauvaise et quand l'inconfort du traitement est important, et ce d'autant plus quand il s'agit d'une maladie létale. À l'autre extrémité, la nécessité thérapeutique est perçue comme étant la plus basse quand la qualité de vie est bonne avec le traitement existant, quand ce traitement n'occasionne pas beaucoup d'inconfort et quand la maladie n'est pas létale.

Une exploration plus poussée de ces résultats montre également d'autres points intéressants :

- les citoyens ne semblent pas faire de différence entre « mourir immédiatement de la maladie » et « mourir 5 ans plus tôt que les personnes n'ayant pas la maladie ». Ces deux caractéristiques ont un impact équivalent sur la nécessité thérapeutique. Ceci suggère que, parmi les citoyens, les répondants confrontés à un tel choix ont tendance à dichotomiser les maladies en « létales » et « non-létales » (alors que les deux propositions indiquent en fait une mort prématurée et donc une maladie létale).
- quand tout le reste est égal par ailleurs, les citoyens établissent leur préférence en fonction de l'âge moyen du groupe de patients concernés. Par exemple, entre deux populations confrontées à des maladies létales, avec une mauvaise qualité de vie mais peu d'inconfort lié au traitement, la préférence va au groupe le plus jeune. Ceci peut s'expliquer par le fait que les patients les plus jeunes perdent davantage d'années de vie s'ils sont atteints d'une maladie létale, et que l'on escompte dès lors que la durée des bénéfices d'un nouveau traitement pour leur santé (en termes d'espérance de vie) sera plus longue. Toutefois, les citoyens ne semblent pas faire de différence explicite entre les jeunes (<18) et les adultes en âge de travailler (18-64) pour ce qui est de la nécessité thérapeutique, si les autres caractéristiques restent égales.
- les citoyens considèrent qu'il est plus grave de perdre de la qualité de vie si celle-ci est bonne au départ, que de la voir s'aggraver (dans les mêmes proportions) quand elle est déjà déficiente au départ : passer

d'une qualité de vie de 8/10 à une qualité de vie de 5/10 a davantage d'impact qu'un passage de 5/10 à 2/10.

- les citoyens semblent faire des arbitrages entre la qualité de vie et l'espérance de vie. Par exemple, ils estiment que la nécessité thérapeutique est similaire pour des patients atteints d'une maladie qui les fait mourir 5 ans plus tôt et qui ont une qualité de vie de 5/10 et pour des patients dont la qualité de vie est de 2/10 mais qui ne mourront pas prématurément. En d'autres mots, la combinaison d'une qualité de vie médiocre et d'un impact faible sur l'espérance de vie est considérée comme une nécessité thérapeutique similaire à une meilleure qualité de vie mais avec un impact important sur l'espérance de vie.

Les détails de ces résultats se trouvent dans le rapport scientifique (section 5.4.2.)

L'analyse des résultats permet aussi de constater que l'ordre d'importance relative des trois critères déterminant la nécessité thérapeutique n'est pas le même chez les citoyens et chez les décideurs : les citoyens considèrent que l'inconfort d'un traitement existant est plus important que le raccourcissement de l'espérance de vie, tandis que les décideurs attachent une importance plus grande à l'espérance de vie qu'à l'inconfort du traitement existant.

NB : la prudence est de rigueur quand on compare les résultats du groupe des « décideurs » aux résultats de la population générale, puisque, *de facto*, les décideurs constituent un groupe nettement plus restreint. Toutefois, leur taux de réponse est proportionnellement plus élevé. Nous donnons donc ces tendances à titre indicatif.



**Tableau 3 – Résultats pour le domaine de la nécessité thérapeutique : pondérations par critère**

Impact de la maladie:	Pondération des citoyens	Pondération des décideurs
sur l'espérance de vie, avec le traitement existant	0.14	0.32
sur la qualité de vie, avec le traitement existant	0.43	0.53
en termes d'inconfort lié au traitement existant	0.43	0.15

#### 4.3.2. La nécessité sociétale

Selon le tableau ci-dessous, les résultats de notre modèle montrent que les citoyens attachent davantage d'importance à l'**impact d'une maladie sur les dépenses publiques** qu'à sa **prévalence**, et qu'à l'inverse, les décideurs attachent davantage d'importance à une diminution de la prévalence d'une maladie qu'à son impact sur les dépenses publiques (avec la même remarque que ci-dessus en ce qui concerne cette comparaison)

Un examen plus approfondi des résultats détaillés (voir rapport scientifique, section 5.4.3.) permet de conclure que le meilleur traitement serait celui qui diminuerait les dépenses publiques par patient et/ou la prévalence de la maladie. On remarque également que les deux groupes considèrent que le besoin sociétal le plus élevé correspond aux maladies très fréquentes qui coûtent beaucoup à la société. En outre, ces résultats montrent que les maladies peu fréquentes ont davantage de chances d'être considérées comme prioritaires par les décideurs que par les citoyens.

**Tableau 4 – Résultats pour le domaine de la nécessité sociétale : pondérations par critère**

Impact de le maladie	Pondération des citoyens	Pondération des décideurs
sur les dépenses publiques par patient	0.65	0.44
prévalence	0.35	0.56

#### 4.3.3. La valeur ajoutée des nouveaux traitements

Les résultats présentés dans le tableau ci-dessous montrent que l'appréciation de la valeur ajoutée est principalement influencée par les changements dans la **qualité de vie**. En deuxième position, les **diminutions de prévalence** semblent revêtir une importance presque aussi grande.

Une analyse plus approfondie des résultats (voir rapport scientifique section 5.4.4.) permet de conclure que, pour des traitements qui améliorent la qualité et l'espérance de vie, les citoyens accordent une valeur ajoutée plus grande à ceux qui permettent de soigner un plus grand nombre de personnes, même s'ils sont plus coûteux et génèrent plus d'inconfort.

Par ailleurs, on constate que l'effet négatif de l'augmentation des dépenses publiques est plus important que l'effet positif d'une diminution des dépenses publiques. En d'autres termes, selon les citoyens, il est plus intéressant – en termes de valeur ajoutée – d'éviter une intervention qui augmente les dépenses de X millions d'euros que de privilégier une intervention qui permet d'économiser les mêmes X millions. Il en va de même pour les aspects relatifs à l'inconfort du traitement ou à la prévalence de la maladie. Ceci va dans le sens d'une loi générale en économie qui dit que la perception d'une perte est toujours considérée comme plus importante que celle d'un gain, même si les deux ont la même valeur absolue.

Pour la qualité de vie, les choses sont moins claires : le gain associé à l'augmentation de la qualité de vie est du même ordre de grandeur que la perte associée à sa diminution, indépendamment de la qualité de vie actuelle des patients.



**Tableau 5 – Résultats pour le domaine de la valeur ajoutée d'un nouveau traitement : pondérations par critère**

Impact du nouveau traitement	Pondération des citoyens	Pondération des décideurs
sur la qualité de vie	0.37	0.39
sur la prévalence	0.36	0.29
sur l'espérance de vie	0.14	0.21
sur l'inconfort du traitement	0.07	0.03
sur les dépenses publiques pour chaque patient	0.06	0.08

*NB : pour vérifier la robustesse des pondérations obtenues, nous avons soumis nos résultats à une seconde méthode d'analyse, dont le détail peut être trouvé dans le rapport scientifique (section 5.4.). Les résultats de cette seconde méthode montrent le même ordre de préférences, sauf pour la nécessité sociétale, où l'ordre est inversé.*

#### 4.4. Comment prendre en compte les pondérations dans le processus de décision ?

La mesure de l'importance relative des différents critères utilisés dans les choix en matière de remboursements d'interventions de santé ne constitue pas l'objectif final de notre travail de recherche. Cet objectif final est l'élaboration d'un outil d'aide à la décision MCDA qui pourrait être utilisé par les commissions de l'INAMI. Les pondérations y seraient l'un des éléments à prendre en compte – un élément fondamental et novateur.

##### 4.4.1. Un système de scores pondérés

Selon le processus tel qu'il existe actuellement en Belgique, la **phase d'appréciation** ('*Appraisal*') consiste à soumettre les données objectives concernant une nouvelle intervention de santé à un groupe d'experts et de stakeholders (p. ex. la Commission de Remboursement des Médicaments de l'INAMI ou CRM) pour qu'ils se prononcent, après délibération, sur sa plus-value sociétale globale.

Dans un système MCDA, il serait demandé aux experts d'attribuer, pour chacun des critères envisagés, un « score » exprimant la manière dont l'intervention satisfait à ces critères. Ce score serait établi sur base des données objectives existantes. C'est à ce stade que les **pondérations** établies par notre étude seraient introduites dans le calcul. Autrement dit,

les scores seraient établis par les experts, mais ce seraient les préférences révélées des citoyens qui détermineraient leur poids relatif dans la décision finale. (Les procédures de détermination des « scores » par les experts feront l'objet d'un rapport KCE ultérieur, en prenant appui sur les résultats du présent travail.)

Ainsi par exemple, les experts de l'INAMI seraient chargés de déterminer si les données probantes relatives à un nouveau médicament permettent d'affirmer que celui-ci augmente significativement la qualité de vie des patients. Mais ce seraient les préférences exprimées par les citoyens qui permettraient de déterminer dans quelle mesure cette amélioration de la qualité de vie doit peser sur la décision de remboursement. **La seule différence avec la situation actuelle serait que les poids attribués aux scores des experts seraient déterminés sur base des préférences des citoyens et non sur celles des experts eux-mêmes.**

##### En pratique :

Chaque score établi par les experts pour chaque critère serait multiplié par la pondération correspondante, pour obtenir un **score pondéré**. Par exemple, pour la nécessité thérapeutique, le score X attribué à la qualité de vie avec le traitement existant serait multiplié par 0.43, le score Y pour l'espérance de vie avec le traitement existant serait multiplié par 0.14 et le score Z lié à l'inconfort du traitement existant serait multiplié par 0.43.

Les scores pondérés des différents critères seraient alors additionnés pour arriver à un **score pondéré total** pour la nécessité thérapeutique (dans notre exemple :  $0.43X + 0.14Y + 0.43Z$ ), un autre pour la nécessité sociétale, et un troisième pour la valeur ajoutée.

L'avantage de ces trois scores pondérés totaux serait d'apporter à chacune des trois questions **une réponse qui tient en un seul chiffre**, malgré la complexité des questions. Ce chiffre unique tiendrait donc à la fois compte des **données objectives** et des **préférences** – subjectives (mais mesurées de manière objective) – des citoyens belges.

##### 4.4.2. Des scores variables mais des pondérations immuables

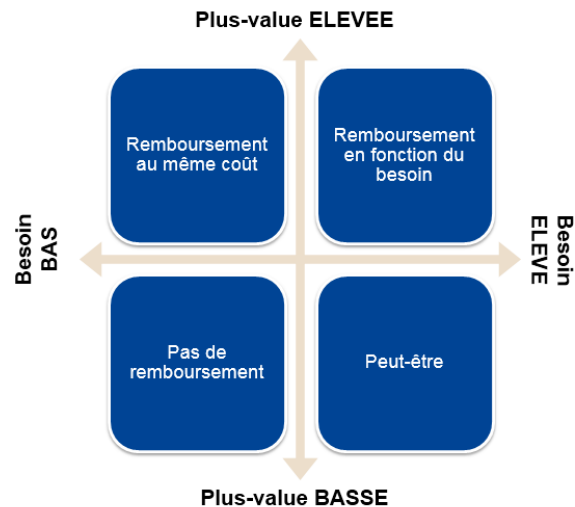
Il est important de souligner que les **pondérations** doivent rester **constantes quelles que soient les interventions à évaluer**, c'est-à-dire que les mêmes pondérations seront toujours appliquées aux mêmes critères. Seuls les scores établis par les experts varieront selon les cas,



puisqu'ils se rapporteront toujours à l'intervention et à la maladie considérées.

En effet, étant donné que les pondérations ont été établies pour des maladies ou des interventions « génériques », virtuelles – l'enquête ne comportait aucun exemple concret – ces pondérations sont en principe **valables pour toutes les demandes de remboursement**. Ceci permettra d'arriver, à force de répétition de l'exercice, à une certaine généralisation. Par exemple, on pourra constater que les interventions se rapportant à certains types de maladies auront plus de chances d'obtenir un remboursement, parce qu'elles cristallisent les préférences des citoyens.

#### 4.4.3. Une image intégrée



Le schéma ci-dessus permet de décomposer et de visualiser les quatre cas de figure possibles. **L'axe horizontal** représente les nécessités thérapeutiques et sociétales prises ensemble, qui définissent **le besoin existant dans la société** vis-à-vis d'une nouvelle intervention. **L'axe vertical** se rapporte à l'intervention considérée; il représente sa **valeur ajoutée globale**.

La combinaison des deux permet d'appréhender en un coup d'œil le rapport entre les besoins (de la société) d'une part et l'apport de l'intervention proposée au remboursement d'autre part.

- Dans le quadrant supérieur droit, le besoin est jugé élevé et la valeur ajoutée de l'intervention également : logiquement, le remboursement sera accordé (en théorie du moins, car cela dépend également du budget disponible et du prix demandé, qui entrent en ligne de compte plus loin dans le processus de décision).
- Dans le quadrant supérieur gauche, la valeur ajoutée est élevée, mais l'intervention se rapporte à une affection qui n'est pas jugée prioritaire (par exemple parce qu'il existe déjà de bons traitements). Dans ce cas, le remboursement peut être envisagé mais c'est alors le prix qui sera décisif : il faudra qu'il soit du même ordre (ou plus bas) que le traitement de référence.
- Dans le quadrant inférieur droit, la valeur ajoutée est limitée mais le besoin est élevé : on envisagera éventuellement le remboursement en fonction d'autres critères (par exemple une maladie pour laquelle il n'existe pas de traitement actif, mais pour laquelle on décide d'accorder le remboursement pour des raisons compassionnelles, ou pour encourager la recherche d'améliorations). Dans de tels cas, il semble sage de définir des conditions pour ce remboursement et d'exiger une réévaluation après un certain temps.
- Dans le quadrant inférieur gauche, l'intervention a une faible valeur ajoutée et il n'y a pas de réelle nécessité. Il n'y a donc pas de raison d'accorder un remboursement.

Dans son état actuel, les deux axes de ce tableau ne comportent pas d'unités de valeur. C'est logique : les valeurs qui seront déterminées au cours de l'exercice MCDA ne seront jamais absolues, mais relatives. **C'est la répétition de l'exercice qui permettra « d'étalonner » progressivement les deux axes et d'aboutir, au fil du temps, à un ranking** des interventions et des types d'affections classés par ordre de priorité.



#### 4.4.4. *Il y a toujours place pour des exceptions... mais elles doivent être justifiées*

À ce stade, les experts pourraient vouloir faire intervenir des arguments supplémentaires, spécifiques, **qui ne sont pas repris dans les critères de base de la MCDA**, mais qui proviennent par exemple d'une volonté politique, comme mettre l'accent sur la valeur préventive de certaines interventions, ou sur le poids de la responsabilité individuelle dans certaines affections, etc. Cela reste toujours possible, et il est d'ailleurs souhaitable que des éléments complémentaires pertinents puissent être pris en considération ; le processus, sinon, pourrait être qualifié de rigide et de peu sensible. Mais il est important que la prise en compte de ces arguments supplémentaires soit bien documentée et n'induisse **pas de modifications dans les scores et pondérations attribués lors de l'exercice MCDA**, sinon celui-ci perd tout son sens. En effet, tout élément supplémentaire introduit dans le processus doit être tout aussi soigneusement et explicitement motivé que les autres critères, sinon tout le bénéfice de l'exercice – en transparence et en pertinence – est perdu.

Par exemple, si le gouvernement décide de mettre l'accent sur les inégalités en santé, il serait logique de faire valoir explicitement qu'une intervention qui contribue effectivement à réduire les inégalités doit peser plus lourd dans la balance. C'est alors un choix politique.

En respectant ce principe, il sera toujours possible de justifier la décision prise devant les citoyens, même si elle est le fait d'une exception par rapport au processus établi. Plus le processus est explicite, plus les éventuels arbitrages qui seront faits seront légitimes.

## 5. CONCLUSION

Le résultat le plus important de notre enquête est que les citoyens sont d'avis que la qualité de vie est le critère qui doit peser le plus sur les décisions de rembourser ou non un nouveau traitement. L'impact sur l'espérance de vie reste également un critère important à leurs yeux mais ils le mettent en balance – de façon plus marquée que les décideurs – avec la perte de qualité de vie. Il n'existe pas de solution simple, et encore moins de solution purement « technique », à des questions aussi sensibles et complexes que celles du choix des remboursements de soins de santé. Les préférences des citoyens peuvent apporter des indications concrètes, précieuses pour orienter les décisions des représentants politiques. À certaines conditions toutefois : primo, elles doivent être recueillies de façon impartiale et scientifiquement éprouvée, et secundo, elles doivent pouvoir être transformées en valeurs « compatibles » avec les autres critères – scientifiques, techniques, budgétaires – qui entrent en ligne de compte. L'objectif de cette étude était de rencontrer ces deux exigences.

Il ne s'agissait donc pas de développer un processus de décision prescriptif, mais bien de rendre le processus existant plus transparent et plus reproductible, deux qualités indispensables pour assurer sa légitimité. Nous espérons éveiller l'intérêt des décideurs de notre pays vis-à-vis de l'outil que nous leur proposons pour les aider à justifier leurs positions vis-à-vis des citoyens et à créer, de ce fait, une meilleure assise sociétale aux décisions qui seront prises.

Cet outil n'est cependant pas encore terminé. Il faut encore développer des directives pour encadrer et uniformiser la traduction des données scientifiques en scores relatifs aux différents critères. Ces directives devront être testées avec les experts qui seront amenés à les utiliser. Une fois qu'elles seront suffisamment robustes, un projet pilote pourra être lancé pour tester l'utilisation grandeur nature de l'outil, par exemple pour l'identification et la priorisation des besoins médicaux non rencontrés.



## ■ RECOMMANDATIONS<sup>a</sup>

Aux commissions de l'INAMI qui décident du remboursement des soins de santé ou qui donnent des avis à ce sujet au Ministre des Affaires Sociales :

- Participer à des projets pilote au cours desquels des guidelines sur la détermination des scores pour chaque critère seront testées en détail.
- Participer à un projet pilote qui utilise un instrument de décision multicritère pour identifier et classer les besoins médicaux non rencontrés en Belgique.

---

<sup>a</sup> Le KCE reste seul responsable des recommandations.



