

SYNTHÈSE

ANALYSE DÉCISIONNELLE MULTICRITÈRES POUR L'ÉVALUATION DES BESOINS MÉDICAUX : ÉTUDE PILOTE



SYNTHÈSE

ANALYSE DÉCISIONNELLE MULTICRITÈRES POUR L'ÉVALUATION DES BESOINS MÉDICAUX : ÉTUDE PILOTE

IRINA CLEEMPUT, STEPHAN DEVRIESE, WENDY CHRISTIAENS, LAURENCE KOHN



■ PRÉFACE

Il y a tellement de mantras – ces vérités/formules politiquement correctes – qui vous donnent toujours raison, par définition. Dans ce projet-ci, nous sommes bien lotis puisque nous en combinons deux: une politique de santé basée sur les besoins et la participation des patients. Mais pour passer d'un slogan à une pratique opérationnelle sur le terrain, il faut un peu plus de réflexion et d'études. Et du temps, et de l'espace, pour permettre aux acteurs de s'appropriier la nouvelle approche.

Le programme *unmet needs* de l'INAMI est un premier pas dans cette direction. Certes, le programme tel qu'il existe aujourd'hui se limite encore au domaine des médicaments, et les propositions qui constituent la liste des « besoins » non rencontrés sont forcément en grande partie inspirées par ce que les firmes ont dans le pipeline. Mais il faut bien commencer quelque part. Et ces besoins sont au moins explicitement pris en compte dans l'appréciation des priorités.

Et puis il y a la voix du patient, qui doit aussi être entendue. Cela semble aller de soi, mais en réalité, c'est un équilibre très précaire. Il s'agit en effet de confronter entre eux des besoins non rencontrés. Il ne peut donc être question de laisser la décision entre les mains des seuls patients, car cela reviendrait à mettre en concurrence des affections et des besoins divers. De plus, lorsqu'il en va de priorités en matière d'assurance maladie, le *citoyen* a bel et bien, lui aussi, son mot à dire.

Une bonne politique doit donc, dans un tel cas, avancer avec précaution. Depuis plusieurs années, le KCE travaille à faire progresser les choses, en étroite collaboration avec l'INAMI, mais aussi en articulation avec les actions menées sur ce terrain par la Fondation Roi Baudouin. Pas à pas, nous avons construit des perspectives et une méthodologie qui laissent une place au patient *et* au citoyen. Vous recevez aujourd'hui les résultats d'un premier test-pilote de cette méthodologie, et ils sont encourageants. Car cette méthode, non contente d'atteindre le double objectif de permettre une politique basée sur les besoins et de prendre en compte les préférences des patients, rend aussi ces décisions complexes plus cohérentes et transparentes. Un petit pas en direction de l'*accountability for reasonableness* que nous avons déjà, il y a quelques années, proposé comme cadre de référence. En cette matière, notre pays est pionnier, et cela aussi doit être dit.

Christian LÉONARD
Directeur Général Adjoint

Raf MERTENS
Directeur Général



■ SYNTHÈSE

TABLE DES MATIÈRES

■	PRÉFACE.....	1
■	SYNTHÈSE	2
1.	CONTEXTE	3
2.	OBJECTIF DE CETTE ÉTUDE.....	5
3.	RÉDACTION DE LA LISTE À L'AIDE DE LA MÉTHODE MCDA.....	6
3.1.	DES BESOINS THERAPEUTIQUES ET SOCIETAUX PLUTOT QUE MEDICAUX	6
3.2.	CHOIX ET PONDERATION DES CRITERES	7
3.3.	CLASSEMENT DES PATHOLOGIES A L'AIDE D'UNE MCDA	10
3.4.	POURQUOI COTER/PONDERER SEPREMENT LES BESOINS THERAPEUTIQUES ET SOCIETAUX ?	12
3.5.	DES OUTILS POUR INTRODUIRE LA MÉTHODE MCDA	13
4.	LA MÉTHODE MISE A L'ÉPREUVE.....	13
4.1.	PAR QUI ?	13
4.2.	COMMENT AVONS-NOUS PROCEDE?	13
4.3.	QUELS RESULTATS EN TERMES DE CLASSEMENT ?	14
4.3.1.	Pour les besoins thérapeutiques.....	14
4.3.2.	Pour les besoins sociétaux	15
5.	CONCLUSION	15
5.1.	LA MCDA EST APPLICABLE ET UTILISABLE	15
5.2.	LA DEFINITION DES « BESOINS MEDICAUX » SELON L'INAMI DIFFERE DE CELLE DE L'AFMPS.....	16
5.3.	UNE LISTE BASEE SUR LES BESOINS REELS DES PATIENTS ET DE LA SOCIETE PLUTOT QUE SUR L'OFFRE DE L'INDUSTRIE	16
■	RECOMMANDATIONS.....	18
■	REFERENCES	20



1. CONTEXTE

Les procédures nécessaires à la mise sur le marché d'un médicament prennent souvent un temps considérable. Le fabricant doit commencer par solliciter une autorisation auprès des instances européennes ou belges compétentes, puis introduire une demande de remboursement auprès de l'INAMI, qui décidera au terme d'une évaluation soigneuse si la spécialité sera ou non prise en charge par l'assurance maladie (voir section 3.1). De ce fait, des personnes gravement malades doivent parfois attendre bien (trop) longtemps avant de pouvoir bénéficier d'un traitement médicamenteux innovant – à tout le moins à un prix abordable.

Cette situation place le gouvernement belge devant un grave dilemme : il ne veut évidemment pas priver ses citoyens gravement malades d'un accès rapide à des traitements innovants prometteurs, mais il doit aussi les protéger contre des produits dont la sécurité et l'efficacité ne sont pas encore suffisamment démontrées. De plus, ils doivent également veiller à ce que le système de soins de santé reste abordable.

Autorisation temporaire dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel ou d'un programme médical d'urgence

Le fabricant du produit ou le/la ministre en charge des Affaires sociales et de la Santé publique^a peut néanmoins demander l'autorisation d'utiliser un nouveau médicament avant la fin de la procédure de demande d'autorisation de mise sur le marché (AMM), voire même avant la fin des recherches cliniques, lorsqu'il s'agit d'une indication où les besoins médicaux sont très importants. Cette autorisation temporaire peut être octroyée dans le cadre d'un « **programme d'usage compassionnel** » ou d'un « **programme médical d'urgence** » – deux possibilités introduites à l'intention des patients atteints de maladies chroniques, graves ou potentiellement mortelles et ne pouvant pas être traités de manière satisfaisante au moyen des médicaments approuvés pour cette indication.

Dans un cas comme dans l'autre, le produit est mis gratuitement à disposition par le fabricant

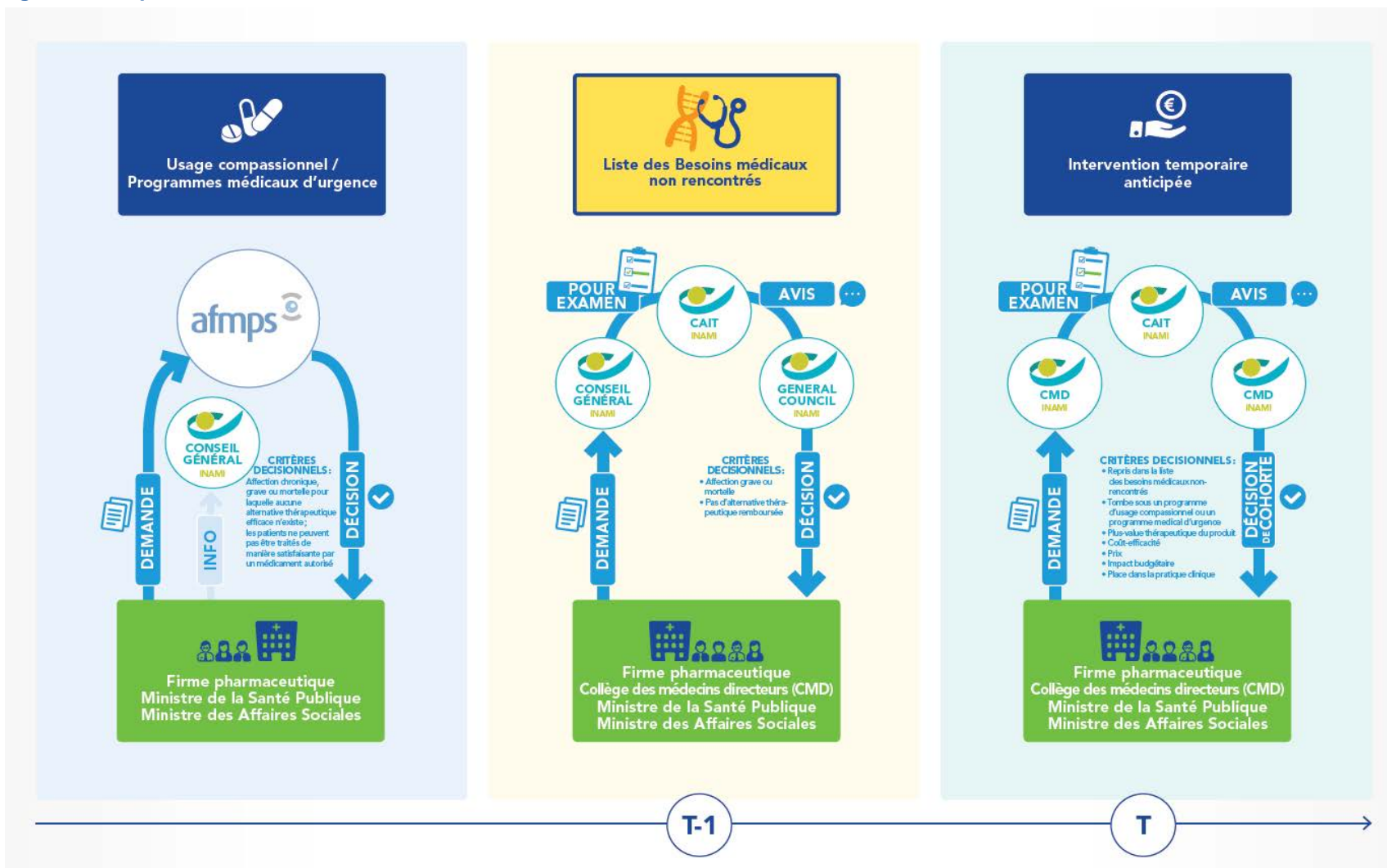
Remboursement temporaire par le biais d'une procédure « *unmet medical needs* »

L'autorisation à titre provisoire dans le cadre d'un usage compassionnel ou d'un programme médical d'urgence signifie que le médicament peut être utilisé en Belgique, mais qu'il n'est pas pour autant remboursé par l'assurance maladie. Pour les firmes, ceci peut représenter un obstacle à l'introduction d'une demande d'autorisation temporaire, puisqu'elles devront alors mettre gratuitement leur produit à disposition. De même, lorsque le ministre introduit la demande, il n'est pas certain que la firme sera d'accord de mettre le produit gratuitement à disposition. C'est pour cette raison que notre pays s'est doté en 2013 d'une procédure pour « besoins médicaux non rencontrés », communément appelée « ***unmet medical needs*** », qui prévoit la possibilité d'intervenir financièrement, à titre temporaire, pour ces médicaments. Le médicament en question doit toutefois satisfaire à certaines conditions (voir Figure 1). La firme est censée introduire une demande de mise sur le marché classique et le médicament doit être destiné au traitement d'une maladie figurant sur la liste des « besoins médicaux non rencontrés ». Cette liste est mise à jour chaque année ; c'est un exercice aussi délicat que complexe, qui fait l'objet de la présente étude (voir plus loin).

^a Dans la suite de ce document, on entendra par « le ministre » le ou la ministre en charge des Affaires sociales et de la Santé publique



Figure 1 – La procédure « unmet medical needs »



AFMPS = Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé
CMD = Collège des médecins-directeurs

CAIT = Commission d'avis en cas d'intervention temporaire dans l'usage d'un médicament



Pour qu'un médicament repris dans la liste des besoins médicaux non rencontrés puisse bénéficier d'un remboursement temporaire, le fabricant ou le ministre doit introduire une demande auprès du Collège des Médecins-Directeurs de l'INAMI (CMD)^b, qui prendra conseil auprès de la « Commission d'avis en cas d'intervention temporaire dans l'usage d'un médicament » (CAIT). Si l'avis est positif, le CMD décidera s'il apporte un soutien financier temporaire au groupe de patients concernés en approuvant un **remboursement de cohorte**.

Pour chaque patient, une **demande de remboursement** devra ensuite être adressée **individuellement** par le médecin traitant au médecin responsable de la firme pharmaceutique, qui devra à son tour introduire une demande d'intervention individuelle auprès du CMD.

La procédure *unmet medical needs* n'est toutefois qu'une solution temporaire en attendant que la spécialité obtienne son autorisation définitive ; dès que celle-ci lui a été délivrée, le fabricant peut introduire une demande de remboursement. Ces deux démarches suivent les procédures régulières.

Quelle est la philosophie qui sous-tend la liste des besoins médicaux non rencontrés ?

À l'heure actuelle, la liste des besoins médicaux non rencontrés est essentiellement utilisée dans le cadre du remboursement temporaire de médicaments, mais son utilité et sa portée sont bien plus larges. La philosophie qui sous-tend cette liste est de mettre en lumière les domaines dans lesquels la recherche de solutions doit être prioritaire. C'est une manière de faire évoluer notre système axé sur l'offre vers un système plus axé sur la demande. L'investissement peut alors être plus ciblé, tant de la part des pouvoirs publics que du secteur privé. D'ailleurs, les solutions ne sont pas nécessairement médicamenteuses. C'est dans cette perspective plus large que s'inscrit l'étude actuelle, qui ne se limite donc pas aux besoins pouvant être rencontrés par le développement d'un médicament.

2. OBJECTIF DE CETTE ÉTUDE

À partir du moment où un médicament a obtenu une autorisation provisoire de mise sur le marché – dans le cadre d'un programme d'usage compassionnel ou d'un programme médical d'urgence – une demande d'inscription de la maladie correspondante sur la liste des besoins médicaux non rencontrés peut être introduite soit par la firme pharmaceutique, soit par le ministre ou le CMD, afin d'obtenir dans un second temps un remboursement temporaire.

Cette liste est constituée chaque année et peut être consultée sur le site internet de l'INAMI^c. Les demandes d'inscription d'une nouvelle pathologie doivent être introduites auprès du Conseil Général de l'INAMI, qui basera sa décision sur les recommandations de la CAIT.

Pour pouvoir être prise en considération en tant que besoin non couvert, la maladie doit affecter lourdement la qualité de vie ou menacer le pronostic vital.

La rédaction annuelle de cette liste n'est pas chose aisée. En 2015, année où elle a été dressée pour la première fois, une quarantaine de demandes ont été introduites. Pour chacune de ces maladies, parfois extrêmement différentes, les membres de la CAIT doivent prendre en compte plusieurs critères dont ils doivent apprécier l'importance respective. Pour les aider dans cet exercice complexe et extrêmement délicat, le KCE a développé une méthode d'analyse décisionnelle multicritères (*multi-criteria decision analysis* ou MCDA) qui permet d'effectuer un classement des diverses « pathologies candidates » de façon transparente et cohérente.

^b <http://www.inami.fgov.be/fr/inami/organes/Pages/soins-sante-organes.aspx#.V0WhR9cttFQ>

^c <http://www.inami.fgov.be/fr/themes/cout-remboursement/par-mutualite/medicament-produits-sante/remboursement/Pages/unmet-medical-need.aspx#.V0Wn-tcttFR>



Qu'est-ce qu'une analyse décisionnelle multicritères (MCDA) ?

La MCDA est une méthode d'évaluation scientifique visant à soutenir le processus de prise de décision lorsqu'un choix doit être fait entre plusieurs options sur la base de plusieurs critères.

Le principe est que l'importance relative et l'impact de chacun de ces critères sur la décision sont pondérés et explicitement spécifiés.

Plusieurs pays (Espagne, Colombie, Italie) utilisent une MCDA dans le cadre des décisions de remboursement de médicaments, mais aucun d'entre eux n'applique actuellement cette méthode au classement des besoins médicaux.

Il existe plusieurs formes de MCDA, dont une seule a été testée par le KCE dans le cadre de cette étude (voir [rapport scientifique](#)).

3. RÉDACTION DE LA LISTE À L'AIDE DE LA MÉTHODE MCDA

3.1. Des besoins thérapeutiques et sociétaux plutôt que médicaux

Actuellement, à chaque introduction d'une demande d'inscrire une pathologie sur la liste, les membres de la CAIT doivent examiner quels sont les besoins médicaux non rencontrés des patients concernés.

Nous avons choisi de ne pas interpréter ici de façon stricte la notion de besoins « **non rencontrés** ». Dans nos systèmes de soins de santé modernes, il est en effet rare qu'un besoin médical ne soit pas rencontré du tout : même s'il n'existe pas de traitement curatif pour certaines maladies, les patients pourront souvent bénéficier malgré tout d'une prise en charge qui soulagera les symptômes (p.ex. douleur) ou leur assurera un confort accru. Ces traitements de soutien doivent être pris en compte dans l'évaluation des besoins.

En vertu de la loi, la liste comporte aujourd'hui une énumération limitative de besoins strictement non rencontrés, et seules ces maladies entrent actuellement en considération pour un remboursement de cohorte. Il serait toutefois préférable d'y faire figurer l'ensemble des besoins existants (même s'ils sont déjà partiellement rencontrés) et de les classer par ordre d'importance, seuls les plus pressants pouvant bénéficier d'un remboursement de cohorte.

Mieux vaudrait donc remplacer la notion de « besoins médicaux » par celles de « besoins thérapeutiques » et « besoins sociétaux ».

Le « **besoin thérapeutique** » est celui qui existe du point de vue du patient. Il peut s'agir du besoin d'un meilleur traitement parce que ceux qui sont déjà remboursés sont trop lourds, ou que la maladie continue à grever trop fortement la qualité de vie ou l'espérance de vie, en dépit des thérapies ou soins existants. Ces critères permettent de déterminer quelles sont les maladies qui devraient figurer en tête de liste et bénéficier d'un accès prioritaire au remboursement, même si certains besoins sont déjà partiellement satisfaits.



Une telle approche rejoint aussi mieux l'esprit de la loi, qui met l'accent sur les besoins médicaux importants (et donc sur les maladies graves) pour lesquels il n'existe pas encore de traitement alternatif (suffisamment efficace).

À cette notion de besoin thérapeutique vient s'ajouter celle de « **besoin sociétal** ». Celle-ci reflète le besoin de la collectivité de disposer, par exemple, d'un meilleur traitement pour une maladie très courante, ou d'un traitement aussi efficace mais moins coûteux pour alléger son impact sur l'assurance maladie...

3.2. Choix et pondération des critères

Avant de pouvoir établir les besoins thérapeutiques et sociétaux pour une pathologie donnée, il était nécessaire de fixer un certain nombre de critères. Nous n'avons heureusement pas dû partir de zéro, puisque nous avons pu nous appuyer sur les résultats de précédents rapports du KCE, qui visaient également à parvenir à une prise de décision plus transparente pour le remboursement des médicaments :

Le rapport KCE 147 consacré aux systèmes de remboursement des médicaments¹. Dans ce rapport, nous avons développé un cadre pour améliorer l'« *accountability for reasonableness* » (la capacité à justifier le caractère raisonnable des décisions)² du processus de prise de décision ordinaire pour le remboursement des médicaments (voir cadre ci-dessous). Nous y recommandons déjà d'avoir recours à une méthode de MCDA.

Évaluation et appréciation dans la procédure de remboursement ordinaire

La première phase ou **phase d'évaluation** (« *Assessment* ») est purement descriptive. Les résultats cliniques, pharmacothérapeutiques et pharmaco-économiques du médicament sont déterminés et comparés à ceux de la/des alternative(s) disponible(s). Le dossier de demande de remboursement est préparé par le fabricant et fait l'objet d'une évaluation critique par les experts de l'INAMI et de la Commission de Remboursement des Médicaments (CRM).

Au cours de la **phase d'appréciation** (« *Appraisal* »), la CRM quantifie la valeur sociétale du médicament en pondérant tous les critères de décision pertinents, en ce compris les critères d'évaluation et autres considérations sociétales. Elle formule ensuite une recommandation au ministre compétent.

Au cours de la **phase de décision**, le ministre prend la décision finale quant à l'éventuel remboursement du médicament. Il peut choisir de s'écarter de la proposition de la CRM pour des raisons sociales ou budgétaires, mais toujours en se basant sur les mêmes critères d'évaluation que la CRM.

La procédure *unmet medical needs* passe par les mêmes étapes, mais avec d'autres acteurs : le rôle de la CRM est assumé par la CAIT et la décision de cohorte est prise par le CMD.

Le rapport KCE 195 consacré à la faisabilité et à l'acceptabilité de la participation des citoyens et des patients dans les politiques de santé.³

À l'aide d'une enquête qualitative, nous avons analysé dans quelle mesure différentes formes d'implication des citoyens et des patients étaient réalisables et acceptables. L'étude a démontré que les stakeholders considèrent cette implication comme importante, de préférence dans un rôle consultatif.

Le rapport KCE 234 consacré à la prise en compte des préférences de la population dans l'importance relative accordée aux critères de décision pour le remboursement de nouveaux traitements.⁴

En 2014, nous avons défini, avec un groupe d'experts, quels sont les critères pertinents pour évaluer les besoins thérapeutiques et sociétaux. Ces critères ont ensuite été pondérés en fonction de leur importance respective sur la base d'une enquête scientifique réalisée à grande échelle au sein de la population belge. **Ces pondérations, mesurées sur une échelle de 0 à 1, sont présentées dans le tableau 1.**



Tableau 1 – Pondération des critères utilisés pour la détermination des besoins thérapeutiques et sociétaux, tels que mesurés dans la population belge.

Besoin thérapeutique	Pondération
• Impact de la maladie sur la qualité de vie avec les traitements existants	0,43
• Inconfort lié au traitement existant	0,43
• Impact de la maladie sur l'espérance de vie avec les traitements existants	0,14

Besoin sociétal	Pondération
• Dépenses publiques par patient liées à la maladie	0,65
• Prévalence de la maladie	0,35

Source: Cleemput I et al. 2014⁴

Plus le poids du critère est élevé, plus le critère est important. Il ressort du tableau 1 que, dans l'évaluation du besoin thérapeutique, le citoyen accorde le plus d'importance à l'impact de la maladie sur la qualité de vie et aux désagréments liés au traitement existant. C'est donc avant tout à ces besoins qu'un nouveau traitement devrait répondre. Il est assez frappant de constater que l'impact sur l'espérance de vie se voit accorder une moindre importance relative.

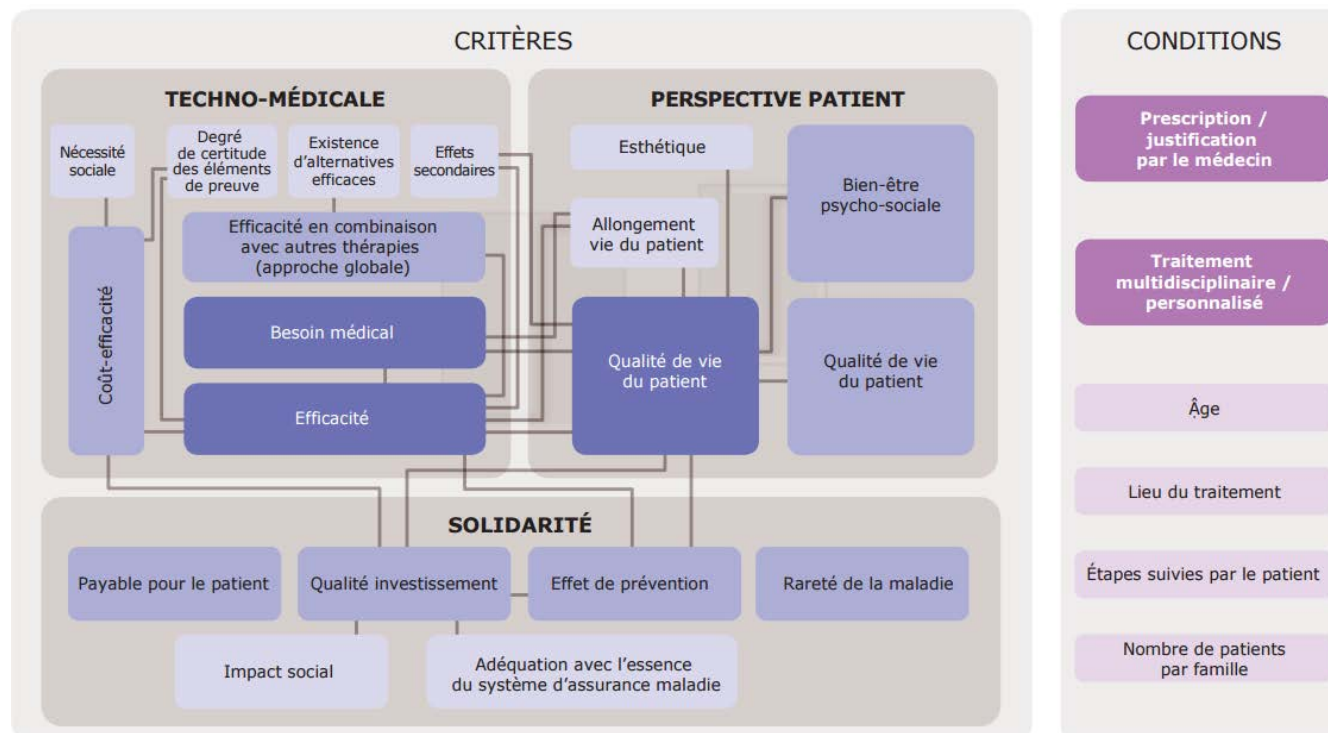
Du point de vue de la collectivité, les citoyens donnent la priorité aux maladies qui génèrent des coûts importants plutôt qu'à celles dont la prévalence est élevée.

Le LaboCitoyen de la Fondation Roi Baudouin (FRB)⁵

Dans la foulée de la publication des rapports du KCE 195 et 234 mentionnés ci-dessus, la FRB a organisé en 2015 son « LaboCitoyen ». Une trentaine de citoyens ont été interrogés sur les valeurs et critères à prendre en compte dans la décision de rembourser une intervention dans le cadre de notre système de soins de santé. Les résultats sont repris à la Figure 2.



Figure 2 – Critères et conditions de remboursement fixés par le LaboCitoyen



Source: Raeymaekers, 2015⁶

Il ressort de la Figure 2 que, ici aussi, la qualité de vie se voit accorder un niveau de priorité élevé. Le citoyen accorde également une grande importance au bien-être psychosocial du patient, au respect de son autonomie et à la qualité de vie de son entourage immédiat (aidants proches, famille, amis). Parmi les propriétés jugées importantes pour l'intervention proprement dite étaient mis en avant l'effet préventif, l'accessibilité financière pour le patient, la qualité de l'investissement et la rareté de la maladie.

C'est donc sur la base de ces différentes études et exercices que nous avons donc établi la liste des critères qui devaient être retenus pour la présente étude pilote, menée avec les membres de la CAIT. (voir Chapitre 4)



3.3. Classement des pathologies à l'aide d'une MCDA

L'étape suivante de notre étude a consisté à demander aux membres de la CAIT de classer les différentes maladies candidates à l'inscription sur la liste des besoins médicaux non rencontrés sur la base des besoins thérapeutiques et sociétaux correspondants.

L'exercice a été réalisé pour chaque maladie en suivant les étapes ci-dessous (voir également Figures 3 et 4) :

1^{er} étape : Description détaillée de la maladie et de la population de patients concernée

2^e étape : Évaluation des données probantes : pour chaque maladie, un rapport des données probantes (*evidence report*) est rédigé sur la base des critères du tableau 1. Ce rapport comporte un aperçu des données probantes disponibles, assorti d'une évaluation critique de leur qualité réalisée par un expert indépendant à l'aide d'un outil disponible sur le site internet du KCE (*quality assessment tool*).

À côté des données provenant de la littérature scientifique, un input direct des soignants et des patients est également possible ; il est repris dans les tableaux des données probantes en tant qu'information qualitative. Cet élément représente une plus-value surtout pour les critères « impact de la maladie sur la qualité de vie » et « désagréments liés au traitement ».

3^e étape : Sur la base de ces rapports de données probantes, **les membres de la CAIT attribuent** à chaque maladie à évaluer **un score sur une échelle de 0 à 3^d pour chacun des critères du tableau 1**. Plus ce score est faible, moins l'impact de la maladie est important : par exemple un score de 0 au critère « impact sur l'espérance de vie avec les traitements existants » signifie que sur la base des données probantes disponibles, les membres de la CAIT estiment que cette pathologie ne réduit pas l'espérance de vie.

Lorsque les données disponibles sont de piètre qualité, ou que l'on observe un haut degré d'incertitude ou des scores très différents entre les membres pour certains critères, ceux-ci doivent faire l'objet d'une discussion plus approfondie au sein de la CAIT. Les différents membres ont alors la possibilité d'expliquer leur score, après quoi on procède à un second tour de cotation.

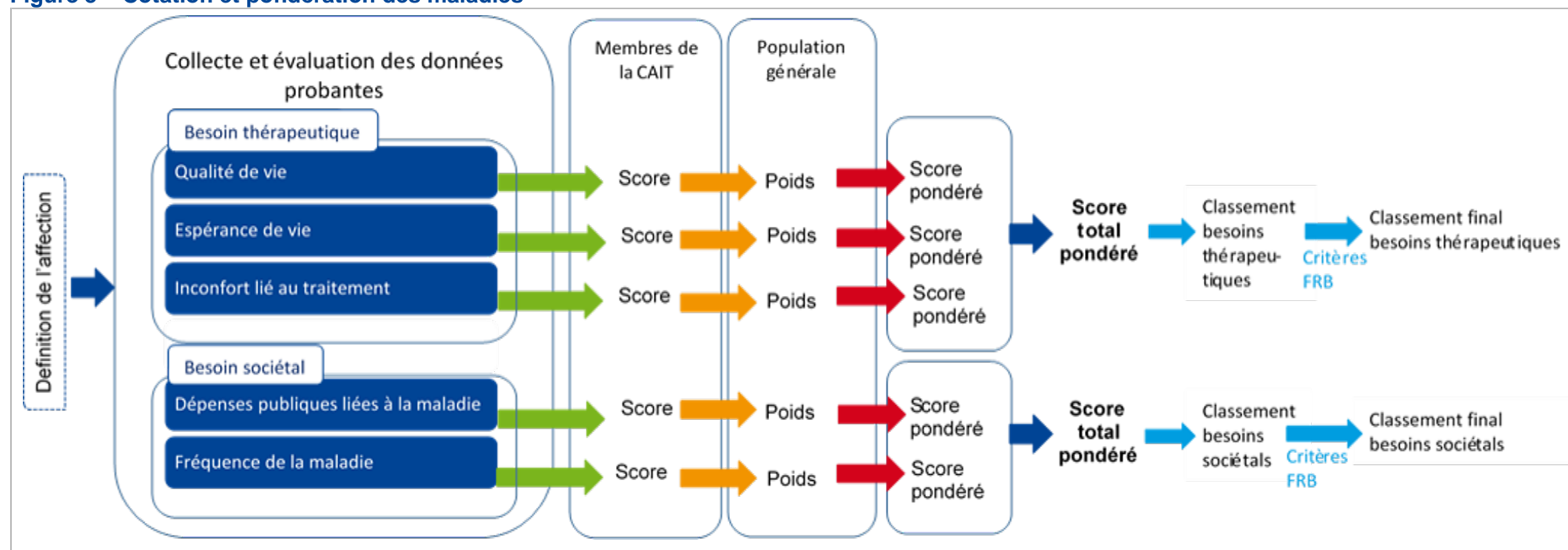
4^e étape : Chacun des scores obtenus est pondéré en fonction de l'importance que le citoyen belge accorde à ce critère (voir Tableau 1).

5^e étape : Les scores pondérés de chaque membre de la CAIT pour les critères de nécessité thérapeutique et sociétale sont additionnés. Un score total moyen est ensuite calculé pour le besoin thérapeutique et un autre pour le besoin sociétal, et ce pour chaque maladie, ce qui permet déjà de les **classer sur la base de leurs scores totaux moyens**.

^d Voir point 3.4.4 du [rapport scientifique](#)



Figure 3 – Cotation et pondération des maladies



6^e étape : Enfin, la CAIT peut également prendre en compte les critères supplémentaires épinglés par le LaboCitoyen de la FRB, à savoir **le bien-être psychosocial** et **l'impact de la maladie sur la qualité de vie des proches du patient**. La CAIT devra évaluer la pertinence de ces critères en séance plénière et motiver leur éventuel impact sur le classement des différentes pathologies (pour de plus amples explications, voir section 3.4.7 du [rapport scientifique](#)). Cette procédure montre bien que l'approche MCDA n'est pas purement quantitative, puisque concertation et débats font partie intégrante du processus. L'une des particularités de la MCDA est en effet le caractère explicite et transparent de cette dimension qualitative et délibérative, qui doit être considérée comme une contribution supplémentaire au processus de prise de décision.

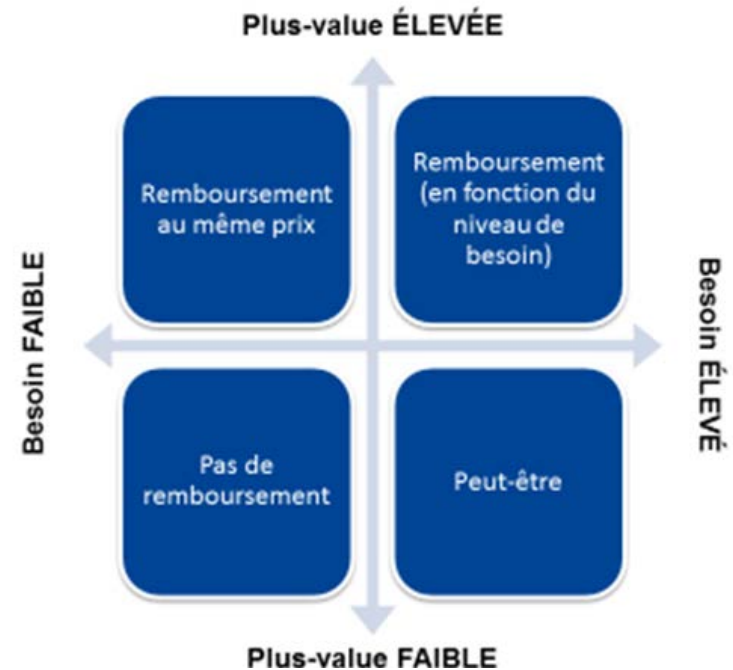


3.4. Pourquoi coter/pondérer séparément les besoins thérapeutiques et sociétaux ?

La cotation et la pondération séparée de ces deux dimensions permettent aux membres de la CAIT de mieux cerner quel type d'amélioration une nouvelle intervention devrait apporter pour répondre aux besoins existants. Si le traitement existant obtient un excellent score sur le plan des besoins thérapeutiques (p.ex. parce qu'il améliore la qualité de vie), la Commission saura qu'elle devra plutôt, pour les demandes futures, se concentrer sur les critères de besoin sociétal. Ils attendront alors d'une nouvelle intervention qu'elle permette de réduire la prévalence de la maladie (p.ex. grâce à un dépistage plus précoce) ou les dépenses publiques par patient. Il sera encore nécessaire d'affiner les recherches pour trouver une manière d'obtenir des scores globaux valides pour les besoins thérapeutiques et sociétaux.

Le schéma décisionnel ci-dessous (Figure 4) montre qu'un traitement ciblant une maladie donnée aura plus de chances d'être remboursé si cette maladie affiche un score élevé pour les deux types de besoins. Si le score est faible pour l'une des deux dimensions, cette probabilité sera au contraire plus limitée. Il va sans dire que la plus-value thérapeutique et la sécurité du nouveau traitement doivent également être suffisantes, mais cette évaluation n'intervient toutefois qu'en aval du processus.

Figure 4 – Schéma décisionnel pour les décisions de cohorte



Source: Cleemput I et al. 2014⁴



3.5. Des outils pour introduire la méthode MCDA

L'introduction de la méthode MCDA peut être facilitée en faisant appel à des outils existants, mais le KCE en a également développé un certain nombre d'autres qui sont accessibles via son site internet :

- un outil pour évaluer et débattre de la qualité des données probantes pour un critère donné^e ;
- un document-type permettant de synthétiser les données probantes par critère et par maladie (et qui peut également être utilisé comme formulaire de demande d'inscription sur la liste des besoins médicaux non rencontrés) ;
- un document-type pour la collecte d'informations supplémentaires en provenance de sources externes telles que les (organisations de) patients^f ;
- un tableau pour calculer les scores pondérés et établir la somme des scores pondérés individuels. Cet outil propose également un classement des maladies en fonction des besoins thérapeutiques et sociétaux.

4. LA MÉTHODE MISE A L'ÉPREUVE

4.1. Par qui ?

Dans un premier temps, notre méthode de MCDA a été testée par 11 experts du KCE possédant un bagage clinique (pré-test). Elle a ensuite été adaptée et affinée sur la base de leur feedback. Le contenu des tableaux de données probantes et les intitulés des échelles d'évaluation a notamment été modifié et un mode d'emploi a été rédigé pour expliciter un certain nombre de notions complexes.

Dans un second temps, un essai pilote a été réalisé auprès de 13 membres de la CAIT. Cet essai pilote visait uniquement à déterminer dans quelle mesure la méthode était utilisable sur le terrain ; il doit donc être considéré comme un simple exercice. Aucune conclusion ne peut par conséquent être tirée du classement des pathologies qui en découle (voir point 4.3).

4.2. Comment avons-nous procédé?

Nous avons sélectionné 8 maladies :

- l'infection invasive à méningocoques,
- la dépression majeure,
- l'insuffisance cardiaque sévère,
- les troubles de la réfraction oculaire,
- la sclérose latérale amyotrophique (SLA),
- le mésothéliome,
- la maladie d'Alzheimer,
- les brûlures sévères chez l'enfant.

Dans notre choix, nous nous sommes efforcés de parvenir à un bon équilibre entre maladies physiques et mentales, rares et plus fréquentes, susceptibles ou non de représenter une menace aiguë pour le pronostic vital.

^e Basé sur *The EVIDEM Collaboration*, juin 2015 ; www.evidem.org

^f Développé par le HTAi Interest Group on Patient and Citizen Involvement in HTA.



Pour chaque maladie, un tableau des données probantes a été dressé pour chacun des cinq critères. Nous nous sommes basés pour cela sur des rapports KCE antérieurs ou sur des dossiers introduits auprès de la CAIT par les firmes pharmaceutiques. Pour la maladie d'Alzheimer et les brûlures, nous avons également pu récolter des données concernant l'impact sur la qualité de vie des patients et des aidants proches, ainsi que sur les désagréments des traitements actuels. Les informations obtenues directement auprès des patients, de leurs représentants et de leurs aidants ont également été reprises dans le tableau.

Au cours d'une première réunion, les participants au pré-test et à l'essai pilote ont reçu des informations à propos de l'approche MCDA et des modalités de l'expérience. Ils ont ensuite attribué des scores individuels à chaque maladie via un questionnaire en ligne. Chaque critère était coté sur une échelle de 0 à 3, avec des intitulés spécifiques à chaque critère (allant p.ex. de « aucun impact » à « impact important »).

Les critères à haute variabilité ont été examinés au cours d'une seconde réunion⁹ et les participants ont eu l'occasion d'adapter leur score, après quoi un classement définitif a été dressé. Les répondants ont également donné leur feedback sur les procédures et la méthodologie utilisées.

4.3. Quels résultats en termes de classement ?^h

4.3.1. Pour les besoins thérapeutiques

Les résultats qui sont présentés ici sont ceux de l'étude pilote.

En ce qui concerne les besoins thérapeutiques, 19 des 24 critères (3 critères par maladie x 8 maladies) affichent des scores très variables (voir § 4.2.4 du [rapport scientifique](#) pour une présentation graphique des réponses par critère et par pathologie).

Dans 11 cas, cette variabilité élevée est le fait d'un seul participant. Douze personnes ont par exemple octroyé un score de 3 à la prévalence de la

dépression majeure, une seule un score de 1. Les participants ne trouvaient pas nécessairement cela problématique et n'ont pas demandé à ce qu'un consensus soit trouvé pour chacun des scores, ni que ceux-ci soient harmonisés. Ils jugeaient ces différences légitimes et estimaient qu'un débat plus poussé était envisageable mais pas indispensable.

Pour certains critères, des différences d'opinion manifestes sont néanmoins apparues. Par exemple, le traitement actuel de la SLA a reçu tous les scores possibles, de « pas du tout lourd » (2 participants) à « exceptionnellement lourd » (2 également) en passant par « relativement lourd » (5) et « très lourd » (4).

Globalement, trois critères seulement ont été examinés plus en détail pour l'ensemble des 8 pathologies et deux participants seulement ont modifié l'un de leurs scores à la suite de cette discussion. Ces adaptations n'ont toutefois eu aucun impact sur le classement définitif.

Tableau 2 – Le classement des besoins thérapeutiques

Ordre	Maladie	Score pondéré moyen
1	Mésothéliome	2,46
2	Brûlures chez l'enfant	2,42
3	SLA	2,26
4	Infection à méningocoques	1,90
5	Maladie d'Alzheimer	1,69
6	Dépression	1,57
7	Insuffisance cardiaque	1,52
8	Troubles de la réfraction	0,75

⁹ Six seulement des 13 participants initiaux ont assisté à cette seconde réunion. La date initialement prévue a en effet dû être modifiée à brève échéance (à cause des attentats terroristes à Bruxelles), de sorte qu'un certain nombre de personnes n'étaient plus disponibles. Ce nombre de participants sensiblement réduit a rendu plus difficile l'évaluation de l'impact des discussions.

^h L'essai pilote visait uniquement à déterminer dans quelle mesure la méthode était utilisable sur le terrain et doit donc être considéré comme un simple exercice. Aucune conclusion ne peut par conséquent être tirée du classement des pathologies qui en découle.



Dans le cas d'une maladie chronique telle que la maladie d'Alzheimer, la durée peut être un argument en faveur d'un positionnement plus haut sur la liste, car l'impact sur la qualité de vie des proches du patient est également de plus longue durée, ce qui avait été considéré comme un argument important par les participants du LaboCitoyen de la FRB.

4.3.2. Pour les besoins sociétaux

Le classement en fonction des besoins sociétaux diffère radicalement de celui réalisé sur la base des besoins thérapeutiques. Ceci n'a évidemment rien de surprenant, étant donné que les critères et la perspective aussi sont très différents. Les membres de la CAIT n'ont pas été interpellés par ces différences.

Tableau 3 – Classement des besoins sociétaux

Ordre	Maladie	Score pondéré moyen
1	Maladie d'Alzheimer	2,16
2	Dépression majeure	2,10
3	Brûlures chez l'enfant	1,56
4	Insuffisance cardiaque	1,43
5	Troubles de la réfraction	1,30
6	SLA	1,25
7	Mésothéliome	1,23
8	Infection à méningocoques	0,80

5. CONCLUSION

5.1. La MCDA est applicable et utilisable

Les personnes ayant participé à l'essai pilote ont jugé logique et utile de **classer séparément** les pathologies en fonction des besoins thérapeutiques et sociétaux.

Il s'est toutefois avéré que **l'attribution d'un score** n'allait pas toujours de soi. Par exemple, dans le cas d'une maladie qui présente à la fois une phase aiguë potentiellement létale et une phase chronique qui s'accompagne de *possibles* séquelles, comme l'infection invasive à méningocoques, il est difficile d'attribuer un score unique à chaque critère. Dans ce cas de figure, il est en effet nécessaire de mettre dans la balance d'une part les risques et l'impact potentiel au cours de la phase aiguë, de l'autre la fréquence et la gravité des possibles séquelles. De même, les traitements existants reposent souvent aussi sur plusieurs éléments susceptibles d'avoir un impact différent sur la qualité de vie du patient. Il est possible que différents membres de la CAIT aient attribué à chacun de ces aspects une pondération (implicite) différente, ce qui a pu influencer le score final. S'il existe un risque de complication grave mais peu fréquente (p.ex. amputation d'un membre après infection à méningocoques), on peut en effet se focaliser aussi bien sur la gravité du problème (avec à la clé un score élevé) que sur sa rareté (qui justifierait un score plus faible), ce qui peut déboucher sur une forte variabilité des scores. C'est notamment dans ce genre de situation qu'il est nécessaire de pouvoir débattre entre membres de la CAIT.

La variabilité résultant de pondérations implicites divergentes peut être considérée comme légitime, mais ce n'est pas le cas si elle résulte d'une **interprétation différente des critères**. À cet égard aussi, il est donc très important de discuter des critères ayant obtenu des scores très différents, car cela permet de s'assurer que tous les participants en ont bien compris la signification. Par exemple, une notion comme les « désagréments liés au traitement existant » doit être clairement précisée, parce qu'elle est très proche de « l'impact de la maladie sur la qualité de vie ». Ces définitions devraient donc idéalement figurer non seulement dans le questionnaire et dans un mode d'emploi, mais aussi être répétées après l'attribution des scores individuels et au cours de la discussion.



L'évaluation de la **qualité des données probantes** peut également s'avérer complexe. En effet, les résultats d'études sont généralement exprimés avec une marge d'incertitude, ce qui rend délicate l'attribution d'un score. Pour les participants, il a semblé utile de soumettre ces données à l'évaluation critique d'un expert indépendant avant de commencer la cotation. Par ailleurs, on retiendra que les formulations « suggestives » (p.ex. « le traitement est globalement bien supporté par les patients ») sont à éviter dans les tableaux de données.

L'implication des patients d'une manière scientifiquement valide (p.ex. au travers de recherches qualitatives fiables) peut aider les membres de la CAIT à mieux saisir l'impact d'une maladie, faute de quoi ils risquent d'être influencés par leur (manque d')expérience personnelle relative à cette maladie.

On peut donc affirmer que l'essai pilote a fait la démonstration qu'une analyse décisionnelle multicritères est une méthode praticable pour le classement d'une liste de pathologies en fonction des besoins thérapeutiques et sociétaux non rencontrés, et qu'elle permet également de prendre en compte les préférences de la population en introduisant une pondération des critères, qui reflètent ces préférences.

5.2. La définition des « besoins médicaux » selon l'INAMI diffère de celle de l'AFMPS

L'INAMI et l'Agence Fédérale des Médicaments et des Produits de Santé (AFMPS) utilisent tous deux la notion de « *medical needs* » – l'INAMI dans le cadre de la liste des besoins médicaux non rencontrésⁱ, l'AFMPS dans celui de l'« usage compassionnel » ou des « programmes médicaux d'urgence ».^j Les conditions à remplir ne sont toutefois pas les mêmes, ce qui prête à confusion. Pour l'inscription sur la liste des besoins médicaux non rencontrés, l'INAMI n'accepte que « les pathologies graves ou menaçant le pronostic vital **pour lesquelles il n'existe aucun autre traitement remboursé** ».

L'AFMPS applique quant à elle une définition différente, imposée par la réglementation européenne en matière d'usage compassionnel. Pour être repris dans son programme d'usage compassionnel ou dans son programme médical d'urgence, le médicament doit être destiné au traitement d'une « maladie chronique, potentiellement létale ou affectant gravement la qualité de vie, et **ne pouvant pas être traitée de manière satisfaisante au moyen d'un médicament autorisé.** »

En d'autres termes, une pathologie admise au programme médical d'urgence de l'AFMPS ne figurera pas nécessairement sur la liste des besoins médicaux non rencontrés de l'INAMI. Si elle peut être traitée de manière satisfaisante au moyen d'une thérapie non médicamenteuse, le besoin thérapeutique sera considérée comme faible par l'INAMI.

Le KCE plaide par conséquent en faveur de plus d'uniformité et recommande d'utiliser la définition de l'INAMI.

5.3. Une liste basée sur les besoins réels des patients et de la société plutôt que sur l'offre de l'industrie

La loi stipule actuellement que le budget du programme *unmet medical needs* doit être calculé sur la base des pathologies figurant sur la liste des besoins médicaux non rencontrés, alors même que les traitements futurs ne sont pas encore connus – du moins en théorie. Dans les faits, l'objectif est plutôt de pouvoir déterminer quels sont, dans une liste de médicaments encore en développement, ceux qui répondent le mieux aux besoins réels.

Ce mode de travail ne correspond pas à l'esprit d'un système de santé orienté par la demande ou, mieux encore, par les besoins – comprenez, un système dirigé en fonction de ce qui est réellement nécessaire aux patients. Il correspond plutôt à un système orienté par l'offre, axé sur les nouveaux traitements qui se trouvent actuellement dans le pipeline de l'industrie. Si nous voulons évoluer vers un système davantage orienté par ce qui est vraiment nécessaire, la liste doit se baser sur les besoins réels des citoyens et de la société. Les patients, les prestataires de soins et d'autres acteurs concernés devraient donc également pouvoir formuler de nouvelles propositions d'inscription sur la liste, et pas uniquement les fabricants, l'INAMI et le ministre.

ⁱ Déterminé par la loi du 7 février 2014 et l'AR du 12 mai 2014

^j Déterminé par le règlement de la Commission européenne (EC 726/2004)



Mettre l'accent sur les maladies plutôt que sur les interventions à venir complique évidemment grandement l'estimation du budget nécessaire. On pourrait toutefois prévoir un montant pour les traitements innovants – et pas uniquement pour les médicaments, mais aussi pour les interventions relevant p.ex. du domaine de la chirurgie, de l'organisation des soins ou des thérapies de soutien. Les besoins du patient dépassent en effet souvent de loin le seul traitement pharmacologique, comme le montrent aussi très clairement les études du KCE et le LaboCitoyen de la Fondation Roi Baudouin (voir chapitre 3). Pour cela, il sera toutefois nécessaire de modifier la réglementation qui sous-tend le programme *unmet medical needs*, puisque celui-ci n'autorise actuellement les décisions de cohorte que pour les médicaments. Il sera alors plus important que jamais de disposer d'un outil qui permette que la mise en balance d'interventions potentiellement très différentes se déroule de façon plus transparente et cohérente.



■ RECOMMANDATIONS^k

Au LÉGISLATEUR BELGE

- Passer d'un système de santé orienté par l'offre à un système basé sur les besoins réels en veillant à ce que la liste des besoins médicaux non rencontrés ne dépende pas seulement de ce qui se trouve dans le pipeline de l'industrie pharmaceutique et ce
 - en élargissant aux patients et à leurs représentants, , aux aidants proches, aux dispensateurs de soins et aux autres professionnels l'éventail des stakeholders habilités à proposer des ajouts à la liste des besoins médicaux non rencontrés. La manière d'organiser cela devra encore être discutée avec les stakeholders concernés ;
 - en prévoyant des budgets non seulement pour les traitements pharmaceutiques innovants mais aussi pour d'autres types d'interventions innovantes, afin de satisfaire réellement les besoins des patients. Il est nécessaire pour cela de modifier la législation du programme *unmet medical needs*, qui n'autorise actuellement des décisions de cohorte que pour les médicaments.

Aux REPRÉSENTANTS BELGES SIÉGEANT DANS LES INSTITUTIONS EUROPÉENNES

- Dans le cadre de la réglementation relative à l'usage compassionnel, définir les « besoins médicaux » comme les besoins concernant des pathologies graves pour lesquelles il n'existe pas d'alternatives satisfaisantes, en ce compris les approches non médicamenteuses.

À l'INAMI

- Intégrer à la définition des « besoins médicaux non rencontrés », en plus de la notion de besoin thérapeutique, celle de besoin sociétal, mais en les évaluant séparément.
- Établir en deux phases la liste limitative nécessaire à l'attribution du budget du programme des besoins médicaux non rencontrés: d'abord établir un classement des besoins existants, et déterminer ensuite auxquels, parmi les besoins les plus hauts classés, on pourrait attribuer des moyens publics dans le cadre du programme *unmet medical needs*.
- Prévoir une évaluation indépendante de la qualité des données probantes soumises aux *stakeholders*. Un instrument pour ce faire (*quality assessment tool*) est disponible sur le site internet du KCE.

^k Le KCE reste seul responsable des recommandations.



- **Compléter les tableaux de données probantes avec des informations collectées auprès des patients au sujet de l'impact d'une maladie sur la qualité de vie et des désagréments des traitements actuels pour les malades. Les couples d'associations de patients peuvent faciliter la prise de contact avec les organisations individuelles.**

À la Commission d'avis en cas d'intervention temporaire dans l'usage d'un médicament (CAIT)

- **Expliquer préalablement à l'introduction de la demande d'inscription sur la liste des besoins médicaux non rencontrés l'utilisation des documents-types pour les tableaux de données probantes à fournir.**
- **Utiliser une analyse décisionnelle multicritères pour classer les besoins thérapeutiques et sociétaux, en tenant compte des préférences de la population.**
- **Utiliser les outils disponibles sur le site internet du KCE pour appliquer l'approche décisionnelle multicritères.**
- **Rappeler régulièrement (comprenez, à chaque tour d'évaluation) la définition des différents critères afin d'être certain qu'ils soient compris de la même façon par chacun.**
- **Mettre en discussion les critères affichant des scores très variables, afin de vérifier si tous les membres de la commission les ont interprétés de la même manière.**



■ REFERENCES

1. le Polain M, Franken M, Koopmanschap M, Cleemput I. Drug reimbursement systems: international comparison and policy recommendations. Health Services Research (HSR). Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2010 2011-03-07 (2nd print; 1st print: 2011-01-11). KCE Reports 147C (D/2010/10.273/90) Available from: https://kce.fgov.be/sites/default/files/page_documents/KCE_147C_Drug_reimbursement_systems_4.pdf
2. Daniels N, Sabin J. Limits to health care: fair procedures, democratic deliberation, and the legitimacy problem for insurers. *Philos Public Aff.* 1997;26(4):303-50.
3. Christiaens W, Kohn L, Léonard C, Denis A, Daue F, Cleemput I. Models for citizen and patient involvement in health care policy - Part I : exploration of their feasibility and acceptability. Health Services Research (HSR). Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2012. KCE Reports 195 (D/2012/10,275/105) Available from: https://kce.fgov.be/sites/default/files/page_documents/KCE_195C_citizen_and_patient_participation.pdf
4. Cleemput I, Devriese S, Kohn L, Devos C, van Til J, Groothuis-Oudshoorn K, et al. Incorporating societal preferences in reimbursement decisions - Relative importance of decision criteria according to Belgian citizens Health Services Research (HSR). Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2014 22/12/2014. KCE Reports 234 Available from: http://kce.fgov.be/sites/default/files/page_documents/KCE_234_reimbursement_decisions_Report.pdf
5. Raeymaekers P. Les orientations des citoyens pour rembourser les soins de santé. Bruxelles: Fondation Roi Baudouin; 2015. D/2848/2015/09
6. Raeymaekers P, Vandenbroeck P, Denis A, Van Steenberge J. Les remboursements dans les soins de santé : un agenda pour le changement. Bruxelles: Fondation Roi Baudouin, ; 2015.



COLOPHON

Titre :	Analyse décisionnelle multicritères pour l'évaluation des besoins médicaux : étude pilote – Synthèse
Auteurs :	Irina Cleemput (KCE), Stephan Devriese (KCE), Wendy Christiaens (KCE), Laurence Kohn (KCE)
Coordinateur de projet :	Nathalie Swartenbroekx (KCE)
Coordinateur de projet ff. :	Laurence Kohn (KCE)
Rédaction de la synthèse :	Gudrun Briat (KCE)
Relecture :	Anja Desomer (KCE), Irm Vinck (KCE)
Experts externes :	Francis Arickx (RIZIV – INAMI), Lode De Bot (Vlaams Patiëntenplatform vzw), Ri De Ridder (RIZIV – INAMI), Micky Fierens (Ligue des Usagers des Services de Santé asbl), Viviane Gendreike (INAMI – RIZIV), Viviane Knappenberg (INAMI – RIZIV), Isabelle Kniebs (Patienten Rat & Treff), Sophie Lannoy (Ligue des Usagers des Services de Santé asbl), Florence Leveque (INAMI – RIZIV), Greet Musch (FAGG – AFMPS), Maarten Plessers (Vlaams Patiëntenplatform vzw), Tinne Vandensande (Koning Boudewijnstichting), Ilse Weeghmans (Vlaams Patiëntenplatform vzw), Rene Westhovens (UZ Leuven)
Validateurs externes :	Bruno Flamion (Université de Namur), Marc Koopmanschap (Erasmus Universiteit Rotterdam, BMG, Nederland), Mireille Goetghebeur (University of Montreal, Canada)
Remerciements :	Jef Adriaenssens (KCE), Membres de la Commission d'avis en cas d'intervention temporaire dans l'usage d'un médicament de l'INAMI, Karin Rondia (KCE)
Autres conflits déclarés :	Tous les experts et stakeholders qui ont été consultés pour ce rapport ont été sélectionnés pour leur implication dans le sujet de cette étude. A ce titre, il est possible que chacun d'eux présente, jusqu'à un certain point, un inévitable conflit d'intérêt.
Infographiques :	Julien Ligot (Fedopress)
Layout :	Filip Coppens (Smals), Sophie Vaes (KCE), Ine Verhulst (KCE)

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 (voir <http://kce.fgov.be/fr/content/le-conseil-dadministration-du-centre-dexpertise>).**



- **Le KCE reste seul responsable des erreurs ou omissions qui pourraient subsister de même que des recommandations faites aux autorités publiques.**

Date de publication : 28 juin 2016
Domaine : Health Services Research (HSR)
MeSH : Decision Making, Decision Support Techniques, Needs Assessment
Classification NLM : WA525 Health Policy (general works)
Langue : Français
Format : Adobe® PDF™ (A4)
Dépot légal : D/2016/10.273/66
ISSN : 2466-6440
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, Christiaens W, Kohn L. Analyse décisionnelle multicritères pour l'évaluation des besoins médicaux : étude pilote – Synthèse. Health Services Research (HSR). Bruxelles: Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE). 2016. KCE Reports 272B. D/2016/10.273/66.

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