

Effacité, efficacité (effectiveness) et efficacité: question de point de vue

Prof Nicolas Senn

*Institut universitaire de médecine de famille
Lausanne*



Plan de la presentation

- Définir une approche: les dimensions de l'évaluation
 - Efficacité
 - Effectivité
 - Efficience
 - Puis les autres: Humanité, Equité
- Synthèse

Objectifs du cours

- Appréhender les différentes perspectives
- Appréhender des notions de base sur les trois dimensions
- Exercice pratique sur la coordination dans les cabinets

Definitions

- Comment définiriez-vous ces trois dimensions?
 - Efficacité
 - Effectivité (effectiveness), Impact
 - Efficience

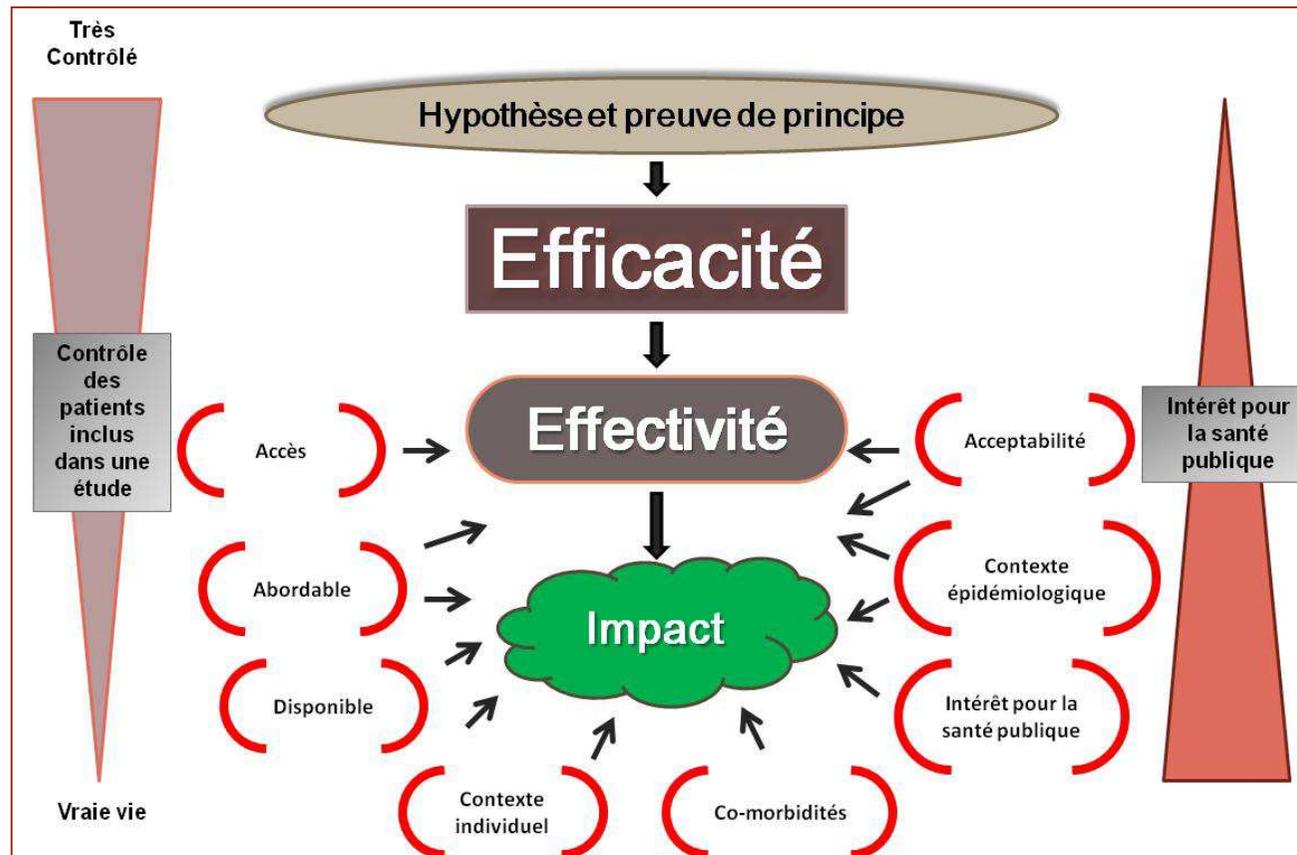


Les dimensions de l'évaluation des soins

- Déterminer la (les) dimensions que l'on souhaite investiguer permet de préparer le plan de l'étude.
- Permettre de choisir la méthode la plus appropriée pour évaluer une démarche (intervention, organisation,..) de soins
- 3 dimensions :
 - Efficacité = efficacité pour la santé dans des conditions standardisées
 - Effectivité = bénéfiques dans la vraie vie (pragmatique)
 - Efficience = coûts en lien avec les bénéfiques
 - Autres dimensions:
 - Humanité = expérience des patients avec les soins

Efficacité et Effectivité

- Les bénéfices qu'une intervention (médicale) apporte au patient.
- Mesuré par une amélioration de la santé
- Efficacité est la dimension la plus étudiée
- Rappel:



Etapes de développement d'une intervention

Phase de recherche	Stade de développement	Moyen de recherche		Intérêts et bénéficiaires				Données/ preuves scientifiques
		Taille d'échantillon	Besoins logistiques et financiers	Intérêt pour la santé publique	Intérêt actuel pour les scientifiques	Intérêt actuel pour les cliniciens	Bénéfices pour la population	
	Hypothèse	0	(+)	0	0	0	0	
I	Preuve de principe	+	+	(+)	+++	+	0	+++
II-III	Efficacité	++	++	++	+++	++	0	+++
IV	Effectivité	+++	+++	+++	++	+++	++	++
Implémen- tation	Impact	+++++	++	+++++	+	+	+++	+



Effacité et efficacité

- Il est crucial de bien choisir la mesure
- Type de mesures:
 - Signes / symptômes / valeur de labo,....
- Information obtenue par:
 - Mesure clinique (labo,)
 - Un observateur externe (examen clinique du médecin)
 - Rapporté par le patient (questionnaire,...)
 - Rapporté par un proche du patient
- Mesures directs ou indirects
- Permet de juger de l'effet (clinique) d'une intervention

Qualité de l'information



Effacité et efficacité

Exemples de mesures:

- Signes: pression artérielle, taille,...
- Symptômes: échelle de la douleur, céphalées,...
- Labo (souvent mesure indirect): Strepto test
- Etat fonctionnel: scores d'évaluation (AVQ,...)
- Qualité de vie: questionnaires (SF-36,...)
- Mesure de processus (ce qui est réalisé)

Effacité



Efficacité

Commentaires:

- les questionnaires pour la qualité de vie, état fonctionnel, etc... sont des instruments de recherche et non de pratique clinique
- Utiliser les questionnaires existants si ils existent (le travail de validation est très long!)

Efficacité et effectivité

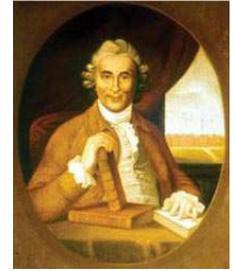
Nombreux designs d'études :

- Observationnelles (sans intervention)
 - Parallèles (tous les patients sont recrutés en même temps):
 - Cohorte
 - Cas-témoin
 - Transversales
 - Non-parallèles
 - Avant-après
 - Etudes écologiques (plus des individus, mais des populations)
- Interventionnelles (Essais Cliniques Randomisés)
 - Individuel
 - En grappe
 - Cross-over
 - Factoriel
 - Préférence des patients

Qualité de données



Une étude de James Lind, 1746



12 marins, avec une présentation similaire du scorbut sont alloués, 2 à chacun des 6 types de traitement, qui avaient été recommandés ou utilisés :

(1) 1.1 litre de cidre de pomme

(2) 25 gouttes, au total environ 1 ml, d'acide sulfurique dilué dans de l'eau 3 fois par jour, aussi comme un gargarisme

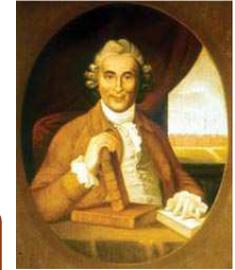
(3) environ 18 ml de vinaigre trois fois par jour, et également utilisé comme un gargarisme;

(4) 0,3 litre d'eau de mer

(5) 2 oranges et 1 citron (pour 6 jours seulement)

(6) environ 4 ml d'une préparation magistrale composé d'ail, de graines de moutarde, de résine, de gomme, etc, et de boire de l'eau d'orge acidulé de tamariniers et tartrate acide de potassium

Une étude de James Lind, 1746



cas et contrôles contemporains

Randomization

12 marins, avec une présentation similaire du scorbut sont alloués, 2 à chacun des 6 types de traitement, qui avaient été recommandés ou utilisés :

Traitements

Hypothèse

Critères d'inclusions

- (1) 1.1 litre de cidre de pomme
- (2) 25 gouttes, au total environ 1 ml, d'acide sulfurique dilué dans de l'eau 3 fois par jour, aussi comme un gargarisme
- (3) environ 18 ml de vinaigre trois fois par jour, et également utilisé comme un gargarisme;
- (4) 0,3 litre d'eau de mer
- (5) 2 oranges et 1 citron (pour 6 jours seulement)
- (6) environ 4 ml d'une préparation magistrale composé d'ail, de graines de moutarde, de résine, de gomme, etc, et de boire de l'eau d'orge acidulé de tamariniers et tartrate acide de potassium

Vitamin C

Efficienne

- Type d'études possibles:
 - **Analyses coût-bénéfices** = bénéfiques uniquement monétaire d'une intervention (tout types de coûts)
 - **Analyses coût-efficacité** = coût pour un gain en santé (différence des coûts / différence des effets)
 - **Analyses de minimisation des coûts** = assume que deux interventions ont le même effet
 - **Analyses coût-utilité** = ajustement pour la qualité de vie (QALY, DALY)
- Malgré toutes les analyses financières que nous pouvons faire, la question (subjective) qui demeure est de savoir **le prix que la société est prête à mettre pour un gain en santé**

Efficienne

- Exemple: débat en Angleterre en 2009 démontrant le côté arbitraire du prix qu'on accorde à la santé:
- Que jugeons-nous (la société) comme acceptable de payer pour gagné un QALY (=1 année de vie en parfaite santé)?

Head To Head

Should NICE's threshold range for cost per QALY be raised? Yes

BMJ 2009; 338 doi: <http://dx.doi.org/10.1136/bmj.b181> (Published 26 January 2009) Cite this as: BMJ 2009;338:b181

Adrian Towse, director

¹ Office of Health Economics, London SW1A 2DY

Decisions made by the National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) about whether the NHS should fund treatments are based on cost effectiveness. NICE methods guides refer to a threshold of £20 000-£30 000 (€22 000-€34 000; \$30 000-\$45 000) per quality adjusted life year (QALY).¹ However, this is an arbitrary figure. Evidence on the public's willingness to pay suggests that it should be higher. There is a lack of evidence on opportunity costs.

20-30'000 £ ou plus???

Efficienc

- Pour mesurer l'efficience, il faut:
 - Mesurer les coûts
 - Les ressources nécessaires pour effectuer l'intervention
 - L'effet sur la santé
- Exemple:
Etude CADET pour la dépression en médecine générale en Angleterre, étude coût-utilité
- Mesure:
QALY pour l'intervention multidisciplinaire pour la dépression en médecine générale
- Collecte des coûts:
 - Liste détaillée de coûts bruts
 - Liste des ressources utilisées
 - Coût total par intervention

Cost-Effectiveness of Collaborative Care for Depression in UK Primary Care: Economic Evaluation of a Randomised Controlled Trial (CADET)

Colin Green^{1*}, David A. Richards¹, Jacqueline J. Hill², Linda Gask³, Karina Lovell⁴, Carolyn Chew-Graham⁵, Peter Bower³, John Cape⁶, Stephen Pilling⁶, Ricardo Araya⁷, David Kessler⁷, J. Martin Bland⁸, Simon Gilbody⁹, Glyn Lewis¹⁰, Chris Manning¹¹, Adwoa Hughes-Morley³, Michael Barkham¹²



Dimension 2: Efficience

Coûts bruts

Table 1. Unit costs for different types of health and social care resource items.

Resource item	Unit costs*	Source of cost data	Basis of estimate
GP (at surgery/practice)	£36.00	PSSRU 2011	GP appt/surgery; based on costing at 11.7 mins
GP (at home)	£121.00	PSSRU 2011	

Resources utilisées dans les 2 bras

Table 2. Mean health and social care resource use (quantities) over 12 month follow-up.

Resource item	Usual Care		Collaborative Care	
	n = 305		n = 276	
	n	Mean (SD) [range]	n	Mean (SD) [range]
Primary/Community Care:				
GP (surgery/practice)	244	8.21 (6.69) [0-56]	217	7.77 (6.78) [0-45]
GP (at home)	247	0.12 (0.80) [0-11]	218	0.05 (0.27) [0-3]

Estimation des coûts pour l'étude

Table 3. Estimated mean cost (£'s) for health, social care, and other resource use, over 12 month follow-up.

Resource item	12-mth Follow-up			
	Usual Care		Collaborative Care	
	n	£ Mean (SD)	n	£ Mean (SD)
Primary/Community:				
GP (surgery/practice)	244	295.52 (241)	217	279.76 (243)
GP (at home)	247	14.21 (97)	218	5.55 (32)

Dimension 2: Efficience

Coûts bruts

Table 1. Unit costs for different types of health and social care resource items.

Resource item	Unit costs*	Source of cost data	Basis of estimate
GP (at surgery/practice)	£36.00	PSSRU 2011	GP appt/surgery; based on costing at 11.7 mins
GP (at home)	£121.00	PSSRU 2011	

Resources utilisées dans les 2 bras

Table 2. Mean health and social care resource use (quantities) over 12 month follow-up.

Resource item	Usual Care n = 305		Collaborative Care n = 276	
	n	Mean (SD) [range]	n	Mean (SD) [range]
GP (surgery/practice)	244	8.21 (0.69) [0-56]	217	7.77 (0.76) [0-45]
GP (at home)	247	0.12 (0.80) [0-11]	218	0.05 (0.27) [0-3]

**Résultat au total: 14'248€ / QALY
(en-dessous du seuil arbitraire de 20'000€)**

Estimation des coûts pour l'étude

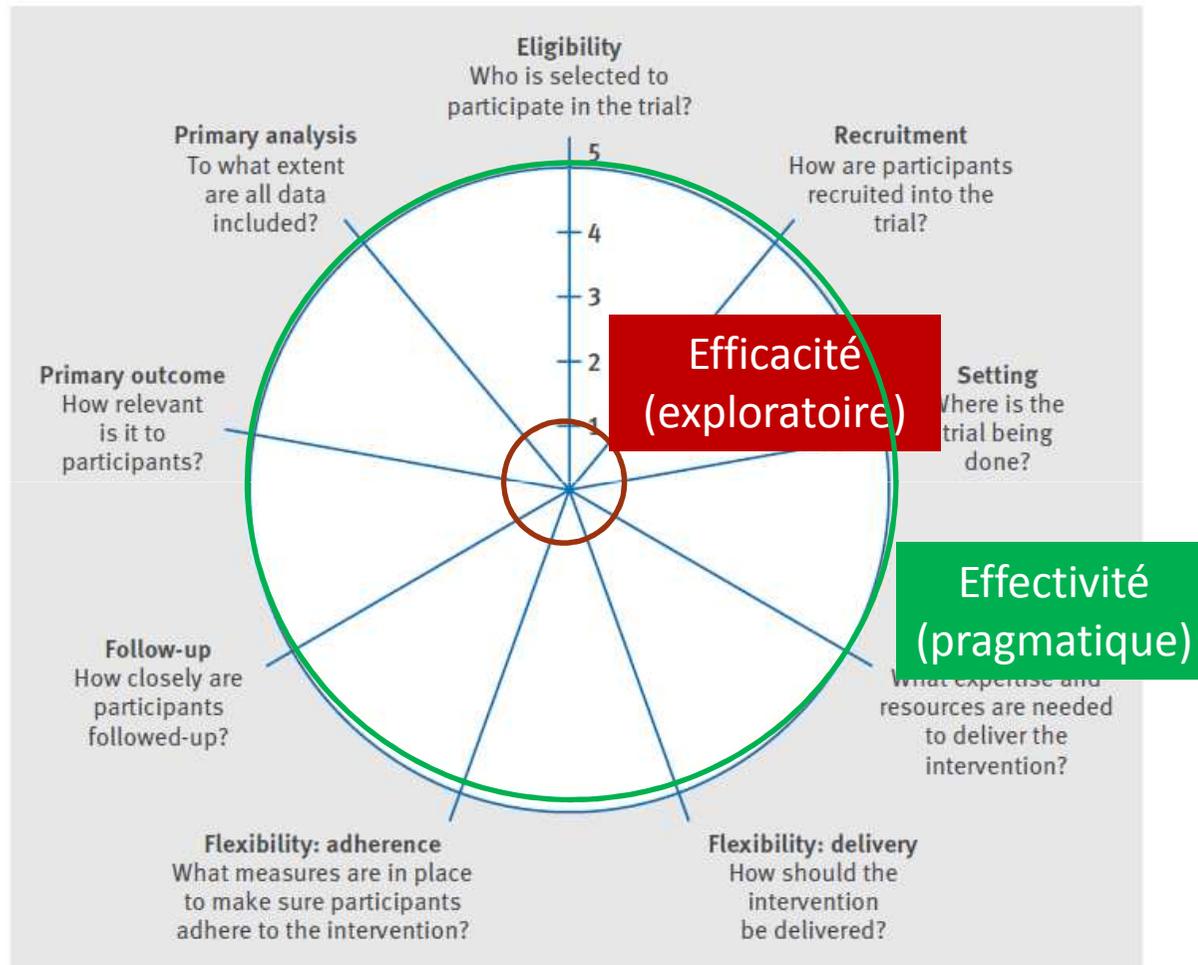
Table 3. Estimated mean cost (£'s) for health, social care, and other resource use, over 12 month follow-up.

Resource item	12-mth Follow-up			
	Usual Care		Collaborative Care	
	n	£ Mean (SD)	n	£ Mean (SD)
Primary/Community:				
GP (surgery/practice)	244	295.52 (241)	217	279.76 (243)
GP (at home)	247	14.21 (97)	218	5.55 (32)

Synthèse

Dimensions	Mesures (Ex)	Méthodes (Ex)
Efficacité	<ul style="list-style-type: none">• Biomédical• Activités de la vie quotidienne• qualité de vie	<ul style="list-style-type: none">• Essais randomisés• (Études observationnelles)
Effectivité /impact	<ul style="list-style-type: none">• Processus de soins• Satisfaction• Activités de la vie quotidienne• Qualité de vie	<ul style="list-style-type: none">• Études observationnelles• Design « interventionnels » plus soft
Efficienne	<ul style="list-style-type: none">• QALY• DALY• Coûts / bénéfices	<ul style="list-style-type: none">• Analyses coût-bénéfices /utilité

Même dans un essai clinique, on peut être plus efficacité ou plus effectivité



The PRagmatic-Explanatory Continuum Indicator Summary 2 (PRECIS-2) wheel.



Exercice: améliorer la coordination en médecine générale

Organisation volontaire des soins du patient entre deux personnes ou plus (incluant le patient) impliqués dans la prise en charge du patient afin de faciliter l'utilisation appropriée des services de santé. Cette organisation nécessite le déploiement de personnel et d'autres ressources nécessaires au bon déroulement des soins et est souvent assurée par l'échange d'informations entre les différents prestataires



Exercice: améliorer la coordination en médecine générale (2)

- Quelques interventions

Intervention	Nombre d'études		
	Effet « positif »	Effet « négatif »	Pas d'effet
Concilium	2	2	1
Dossier patient électronique	13	4	5
Contacts téléphoniques	5	2	
Plan de soins	12	2	5
Formulaires préformatés	1	1	2
Télémédecine			1
Consultations multidisciplinaires		1	
Gestion des rendez-vous entre les différents soignants	4	1	
Arrangement entre soignant	2		1
Priorisation de l'accès à certains spécialistes	1		
Formation des soignants	8		1
Guidelines	10	2	2
Système de rappel	5		2
Supervision	3	1	
Gestionnaire de soins / de cas	14	6	3
Co-location	4	1	1
Travail en équipe	11	1	2
Formation/éducation des patients	11	3	4
Aide au patient à l'obtention de rendez-vous	4	1	2
Formation des accompagnants des patients	1	1	
Accord opérationnel	1	1	
Gatekeeping	1	1	
Païement à la performance		1	
Capitation	1	1	
Facilitateur de la qualité	2		



Exercice: améliorer la coordination en médecine générale (3)

- Par groupe
- Définir une des interventions d'amélioration de la coordination
- Définir:
 - Comment vous allez la mettre en place
 - Comment vous allez évaluer son effet en choisissant l'un des 3 axes
 - Efficacité
 - Effectivité
 - Efficience



Planifier une étude selon le modèle BMJ: un cadre

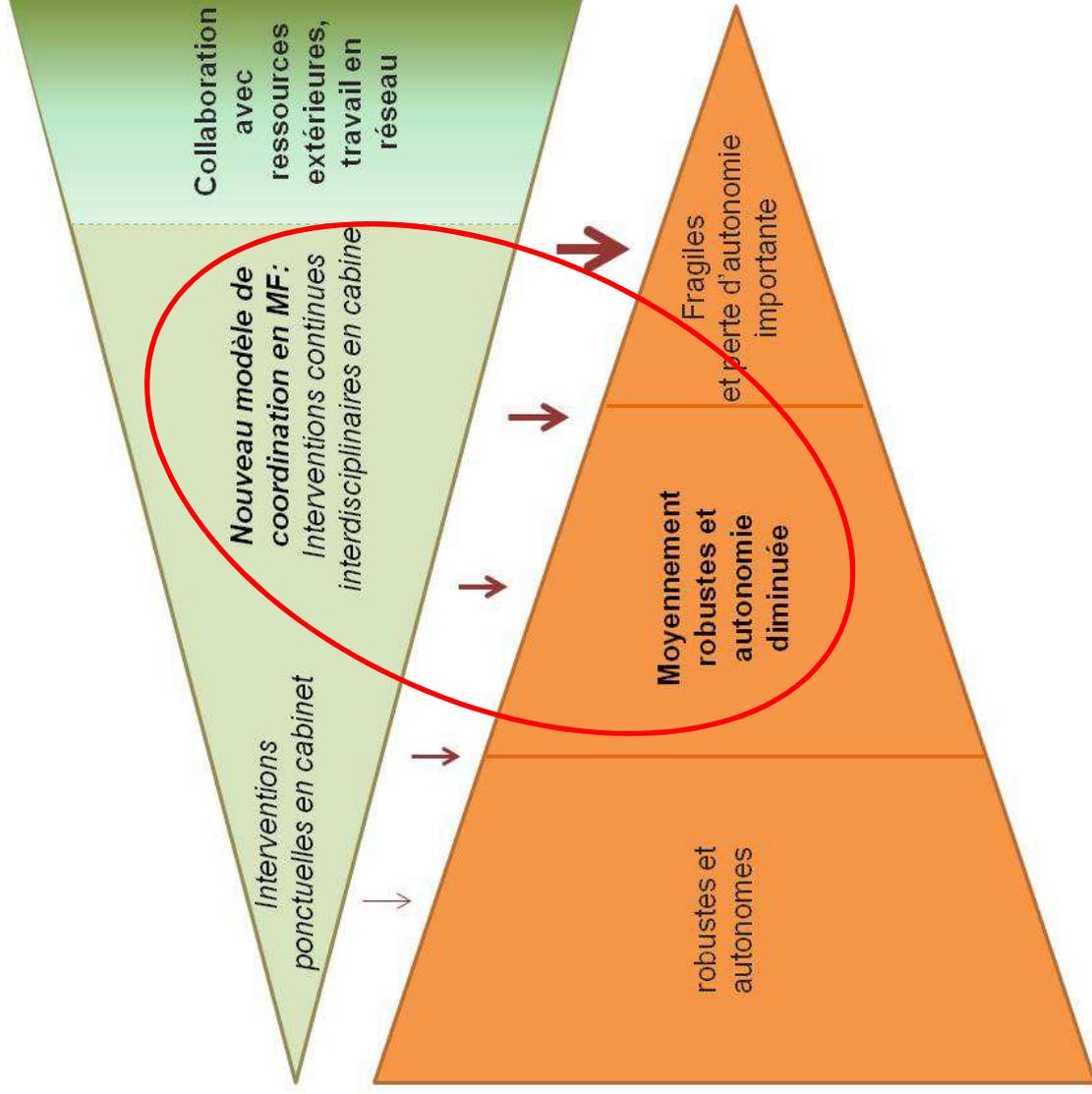
Problème	Élément de coordination à introduire:
Design / méthode (approche)	
Lieu	
Effets du changement escompté	
Éléments clés d'évaluation (mesures)	



Un projet de nouveau modèle de coordination en médecine de famille dans le canton de Vaud (partenariat avec le service de la santé publique)



Intensité d'interventions



Etat de santé des patients suivis en MF



Objectifs du mandat 1 (terminé en 2015)

- Définir une **problématique** qui puisse être partagée par les acteurs de terrain dans le canton de Vaud

→ **la coordination des soins**

- **Effectuer une revue de littérature** (scoping review) afin d'identifier des modèles de soins primaires qui pourraient améliorer la coordination des soins dans le contexte de la médecine de premier recours.
- Définir les **éléments d'une expérience pilote**

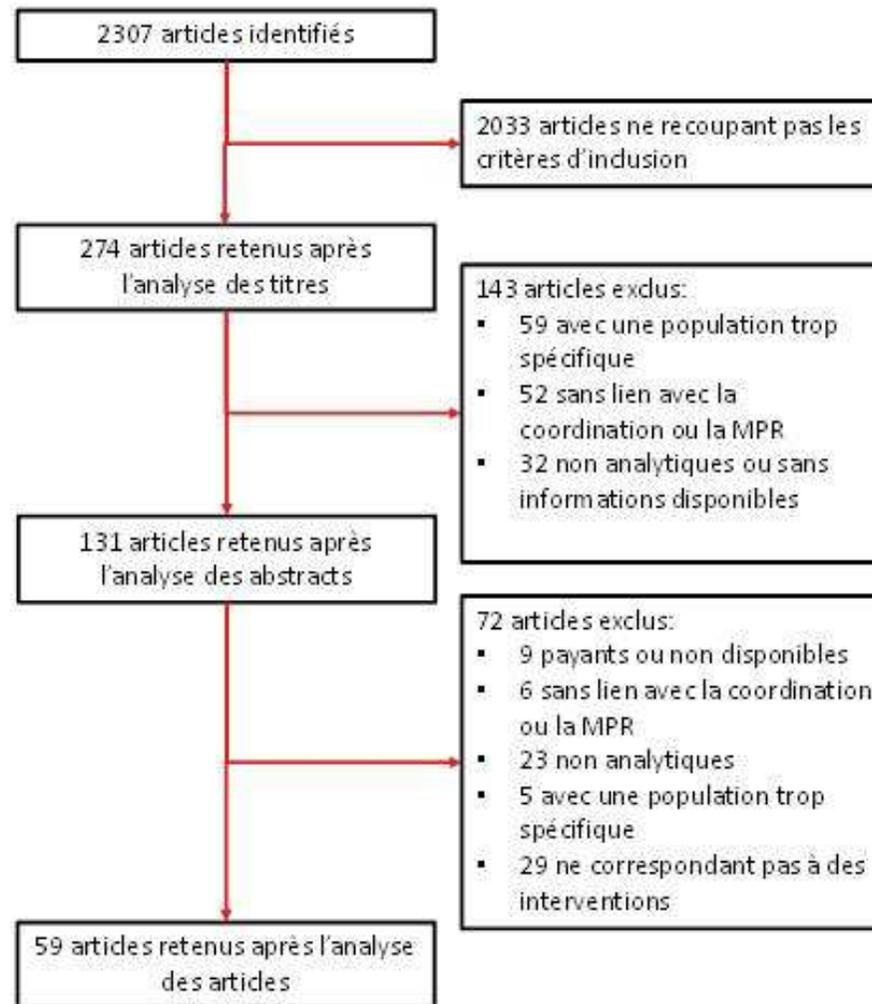
+ groupe d'accompagnement avec MF Vaud, SVM, IUMF

Processus Delphi, groupe d'expert

- Groupe d'accompagnement de médecins de famille
- 1 round: survey électronique
- 2^{ème} round: discussion de consensus sur les interventions les plus retenues
- Relecture finale du rapport et de ces conclusions par le groupe



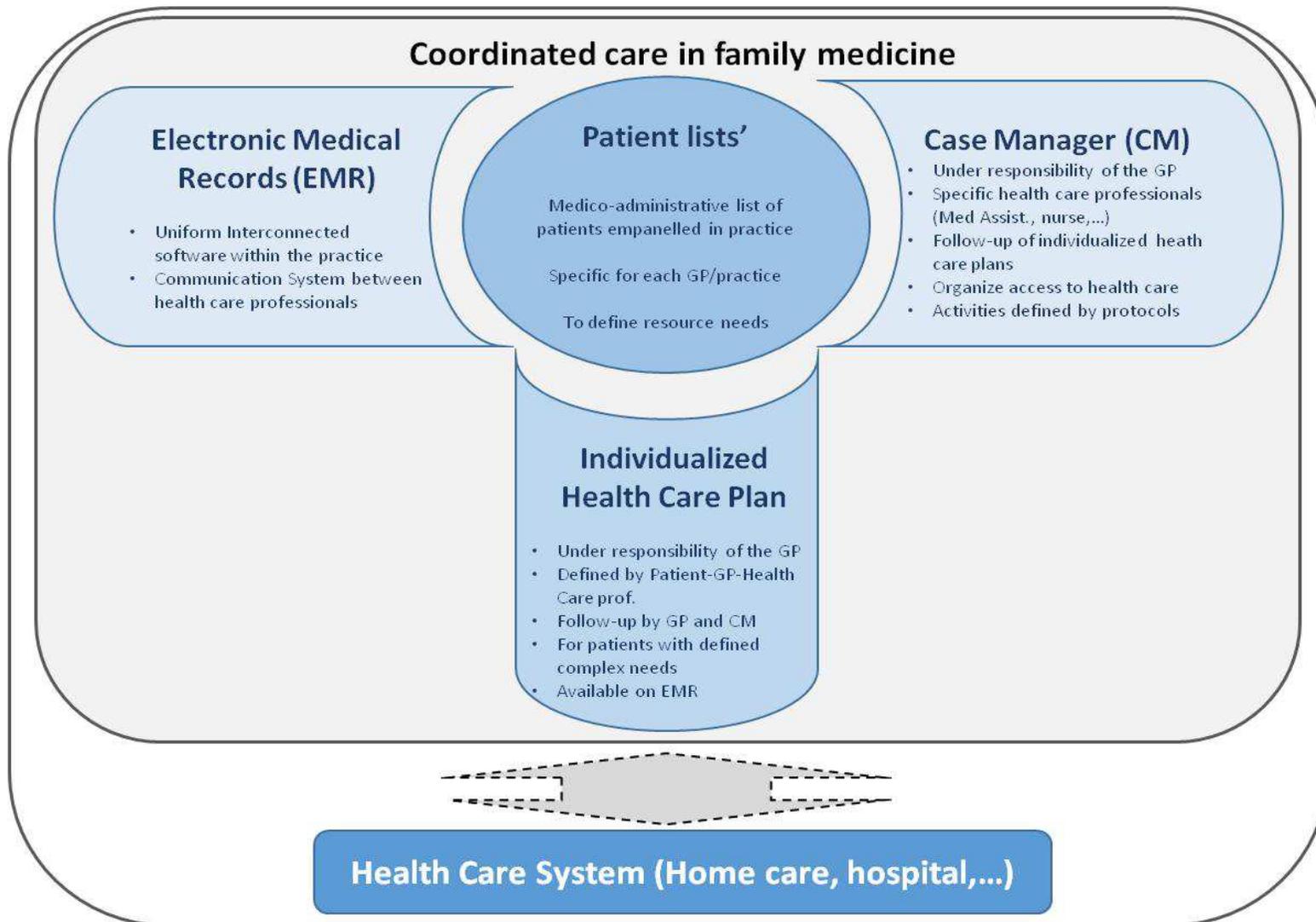
Résultats



25 interventions identifiées

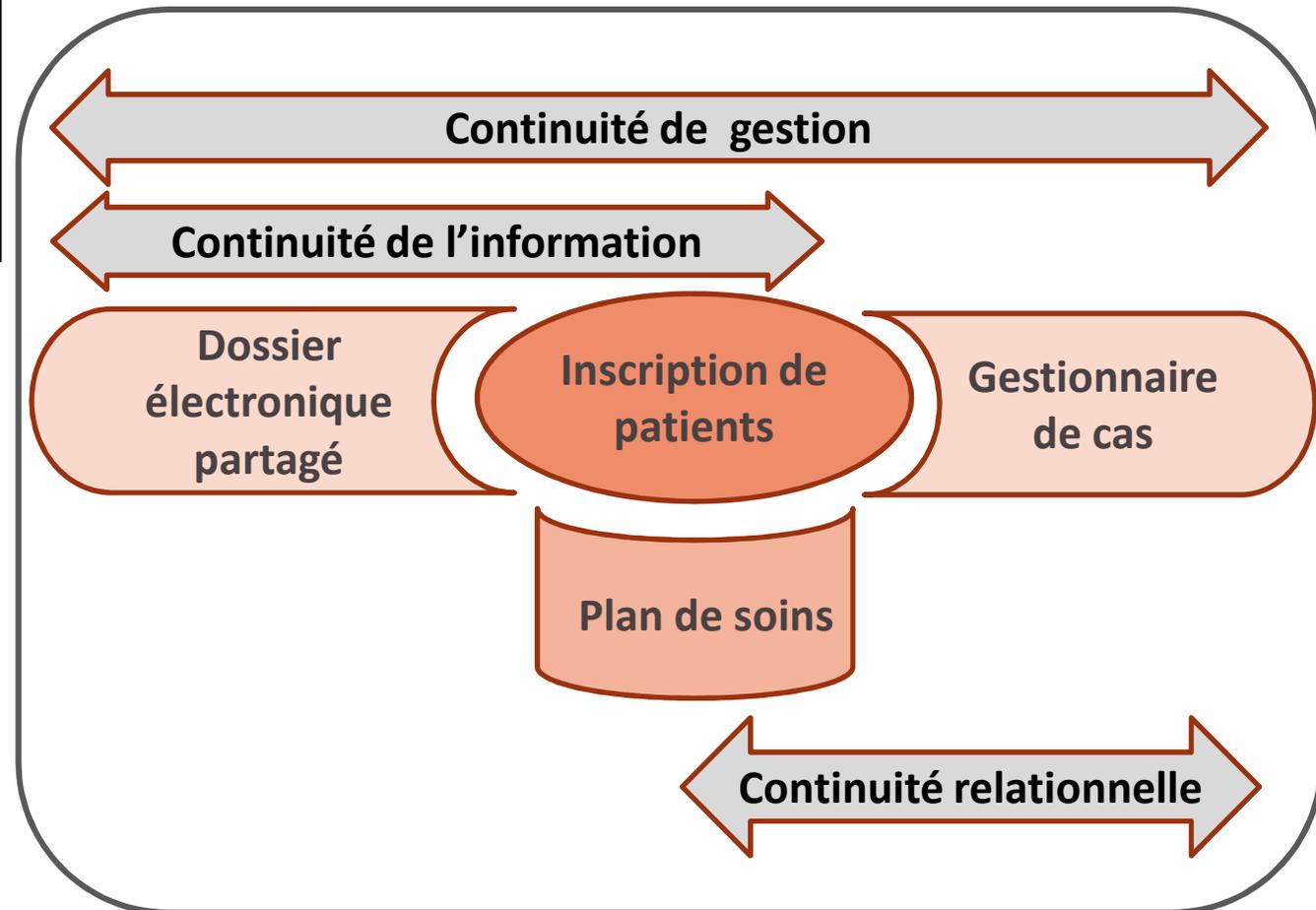
Intervention	Nombre d'études		
	Effet « positif »	Effet « négatif »	Pas d'effet
Concilium	2	2	1
Dossier patient électronique	13	4	5
Contacts téléphoniques	5	2	
Plan de soins	12	2	5
Formulaires préformatés	1	1	2
Télémédecine			1
Consultations multidisciplinaires		1	
Gestion des rendez-vous entre les différents soignants	4	1	
Arrangement entre soignant	2		1
Priorisation de l'accès à certains spécialistes	1		
Formation des soignants	8		1
Guidelines	10	2	2
Système de rappel	5		2
Supervision	3	1	
Gestionnaire de soins / de cas	14	6	3
Co-location	4	1	1
Travail en équipe	11	1	2
Formation/éducation des patients	11	3	4
Aide au patient à l'obtention de rendez-vous	4	1	2
Formation des accompagnants des patients	1	1	
Accord opérationnel	1	1	
Gatekeeping	1	1	
Paieement à la performance		1	
Capitation	1	1	
Facilitateur de la qualité	2		

Modèle conceptuel



Conditions cadres

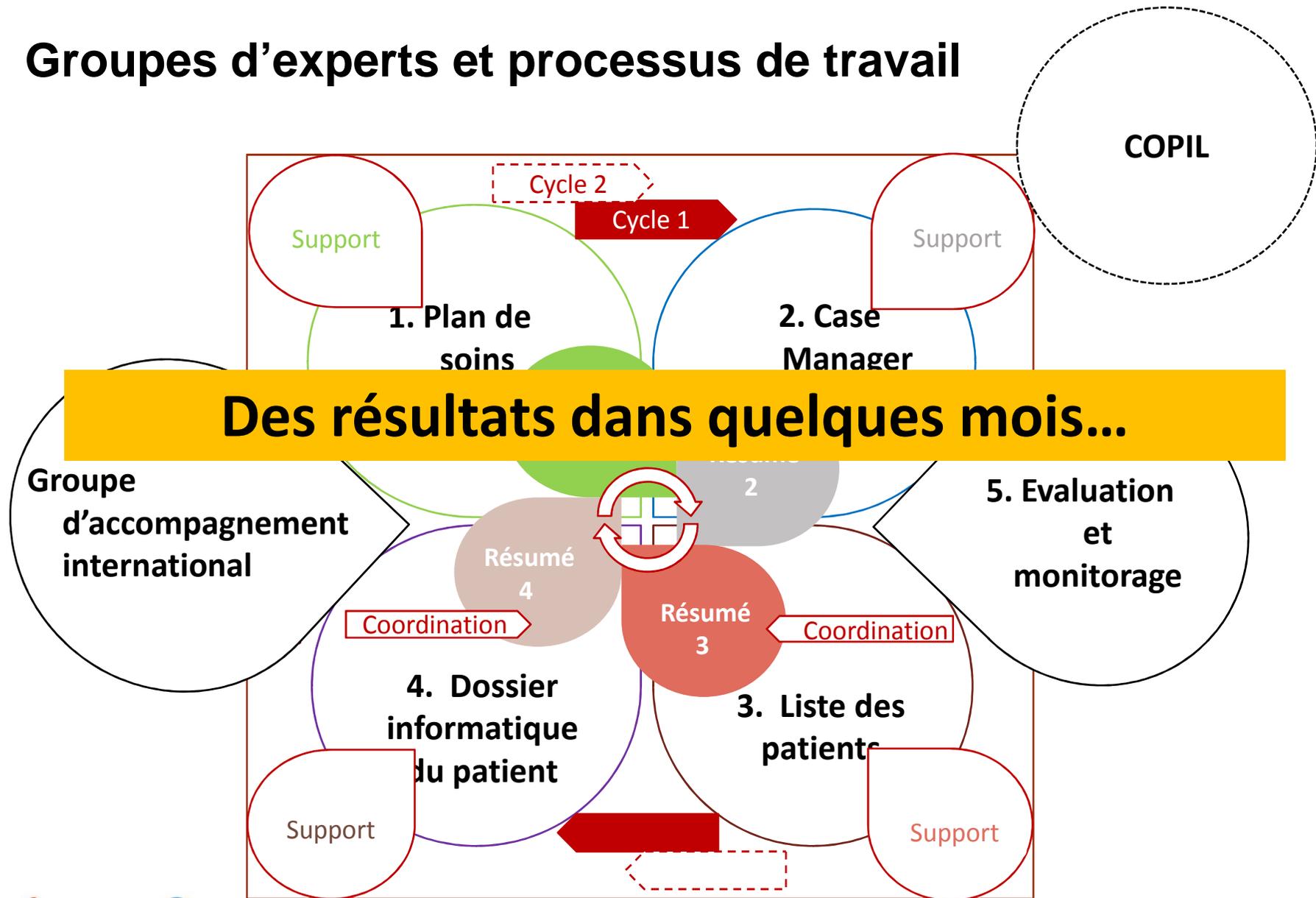
- Définition des responsabilités
- Incitatifs financiers bases sur la liste de patients (Formation du gc, salaire du gc, logiciel du dep)



Objectifs du mandat 2 (en cours)

Définir les **critère opérationnels** du modèle de coordination des soins élaboré lors du mandat 1 >
TOOLKIT

Groupes d'experts et processus de travail



Evaluation du nouveau modèle

- Clairement effectivité/impact (+/- efficacité)
- Mesure de processus surtout: nombre de patients, documents de transmission, temps passé,...
- Si mesure un effet sur la santé: taux d'hospitalisation évitable?

