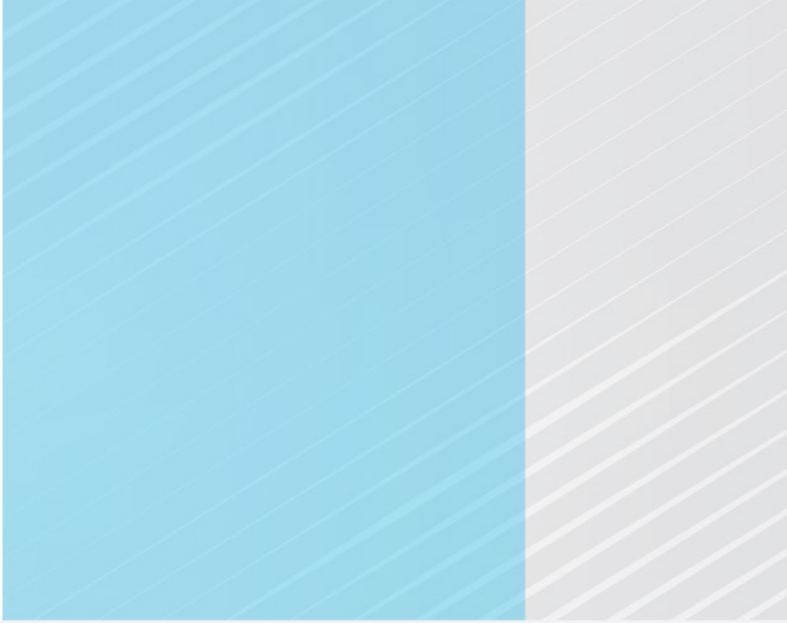


Évaluation économique des
interventions en santé et en services
sociaux à l'Institut national d'excellence
en santé et en services sociaux
(INESSS)

Une production de l'Institut national
d'excellence en santé
et en services sociaux (INESSS)
Bureau – Méthodologies et éthique



Évaluation économique des interventions
en santé et en services sociaux à l'Institut
national d'excellence en santé et en
services sociaux (INESSS)

Rédaction

Sylvie Arbour
Caroline Cambourieu

Coordination scientifique

Olivier Demers-Payette

Direction

Isabelle Ganache
Élisabeth Pagé
Mélanie Martin



Le contenu de cette publication a été rédigé et édité par l'INESSS.

Membres de l'équipe de projet

Auteures principales

Sylvie Arbour, Ph. D.
Caroline Cambourieu, Ph. D.

Collaborateurs et collaboratrices internes

Rachel Arcand, M. Sc.
Yannick Auclair, Ph. D.
Simon Bélanger, M. Sc.
Jim Boulanger, Ph. D.
Joël Brabant, M. Sc.
Naomi Chouinard, M. Sc.
Dave Corbin, M. A.
Alexandre Couture, Pharm. D., M. Sc.
Patrick Dufort, M. Sc.
Julie Dussault, Ph. D.
Loïg Gaugain, M. Sc.
Laurence Giroux, M. Sc.
Aurélie Godbout, MD, M. Sc.
Ludovick Larocque-Laplante, M. Sc.
Alexandre Martins, M. Sc.
Mario Méthot, Ph. D.
Thomas Mortier, Ph. D.
Khesraw Muradqadam, M. Sc.
Léon Nshimyumukiza, Ph. D.
Amélie Rousseau, M. Sc.
Hudson P. Silva, Ph. D.
Hervé Tchala Vignon Zomahoun, Ph. D.
Monika Wagner, Ph. D.

Coordonnateur scientifique

Olivier Demers-Payette, Ph. D.

Adjointes à la direction

Mélanie Martin, Ph. D. (jusqu'en août 2024)
Élisabeth Pagé, Ph. D. (après août 2024)

Directrice

Isabelle Ganache, Ph. D.

Repérage de l'information scientifique

Renaud Lussier, Ph. D., M.S.I.
Lysane St-Amour, M.B.S.I.

Soutien documentaire

Bin Chen, techn. docum.

Soutien administratif

Myriam Mouhajir

Équipe de l'édition

Jean Talbot
Nathalie Vanier

Sous la coordination de
Catherine Olivier, Ph. D.

Avec la collaboration de
Littera Plus, révision linguistique

Dépôt légal

Bibliothèque et Archives nationales du Québec, 2025

ISBN 978-2-555-01027-7 (PDF)

Tous droits réservés

© Gouvernement du Québec, 2025

Ce document peut être utilisé, reproduit, imprimé, partagé et communiqué, en tout ou en partie, à des fins non commerciales, éducatives ou de recherche uniquement, à condition que l'INESSS soit dûment mentionné comme source. Les photos, images, figures ou citations peuvent être associées à des droits d'auteur spécifiques et nécessitent une autorisation de la part de l'INESSS avant utilisation. Tout autre usage de cette publication, y compris sa modification en tout ou en partie ou visant des fins commerciales, doit faire l'objet d'une autorisation préalable de l'INESSS. Une autorisation peut être obtenue en formulant une demande à droitdauteur@inesss.qc.ca.

Pour citer ce document : Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Lignes directrices d'évaluation économique des interventions en santé et en services sociaux à l'INESSS, rédigé par Sylvie Arbour et Caroline Cambourieu. Québec, Qc : INESSS; 2025. 21 p.

L'Institut remercie les membres de son personnel qui ont contribué à l'élaboration du présent document.

Comité consultatif

Le comité consultatif avait pour mandat d'accompagner les travaux de l'INESSS afin d'assurer la qualité scientifique, la pertinence et la faisabilité du projet, et ce, en fournissant de l'information, de l'expertise, des opinions ou des perspectives essentielles à la réalisation des travaux.

Le comité était formé de membres indépendants reconnus pour leur expertise dans le domaine de l'économie de la santé, de l'évaluation économique et de l'éthique de la décision :

Pierre Dagenais, médecin-conseil à l'UETMISSS, CIUSSS de l'Estrie-CHUS, professeur agrégé, Faculté de médecine et des sciences de la santé, Université de Sherbrooke

Nathalie Demarcellis-Warin, professeure titulaire, Département de mathématiques et de génie industriel, Polytechnique Montréal

Marc Desmarais, ancien président du Conseil du médicament du Québec (CMQ)

Salah Ghabri, référent scientifique de l'évaluation économique des produits de santé - Département de l'évaluation médicale, Direction de l'évaluation et de l'accès à l'innovation, Haute Autorité de Santé (HAS)

Guy Lacroix, professeur titulaire, Département d'économie, Université Laval

Éric Latimer, chercheur, Centre de recherche Douglas, professeur titulaire, Département de psychiatrie, Université McGill

Luigi Lepanto, professeur titulaire de clinique, École de santé publique, Département de gestion, d'évaluation et de politique de santé, Université de Montréal, chercheur investigateur, Centre de recherche du Centre hospitalier de l'Université de Montréal (CRCHUM)

Dominic Martin, professeur en éthique, École des sciences de la gestion (ESG), Université du Québec à Montréal (UQAM)

Celia Primus-de Jong, chercheuse en services de santé et économiste de la santé, Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg - Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE)

Daniel Reinharz, professeur titulaire, Département de médecine sociale et préventive, Université Laval

Louise Rousseau, professeure associée, École de santé publique, Département de gestion, d'évaluation et de politique de santé, Université de Montréal

Eric Tchouaket, statisticien et économiste de la santé, professeur titulaire, Département des sciences infirmières, Université du Québec en Outaouais (UQO)

Autres contributions

L'Institut tient à remercier aussi les personnes suivantes qui ont contribué à la préparation de ces lignes directrices en fournissant soutien, information et conseils clés :

Geneviève Asselin, agente de recherche, coordonnatrice, Unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, CHU de Québec – Université Laval

Roxane Borgès Da Silva, professeure titulaire, Département de gestion, évaluation et politique de santé de l'École de santé publique de l'Université de Montréal.

Miruna Burga, économiste

Sylvine Carrondo Cottin, agente de planification, de programmation et de recherche, CHU de Québec – Université Laval

Jason Robert Guertin, professeur agrégé, Département de médecine sociale et préventive, Faculté de médecine, Université Laval

Alexander Haines, Manager Health Economics, Canada's Drug Agency – Agence des médicaments du Canada (CDA-AMC)

Maude Laberge, professeure agrégée, Département de médecine sociale et préventive, Faculté de médecine, Université Laval

Karen Lee, Director Health Economics, Canada's Drug Agency – Agence des médicaments du Canada (CDA-AMC)

Nicolas Martelin, économiste, chargé de cours et président de Prostperia

Thomas Poder, professeur sous octroi agrégé, Département de gestion, évaluation et politique de santé de l'École de santé publique de l'Université de Montréal; chercheur régulier, Centre de recherche de l'Institut universitaire en santé mentale de Montréal

Marc Rhainds, cogestionnaire médical et scientifique de l'Unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, CHU de Québec – Université Laval

Pharmacoéconomistes et économistes de l'INESSS, notamment à la Direction de l'évaluation des médicaments et des technologies à des fins de remboursement (DER), qui ont contribué aux réflexions sur les aspects méthodologiques proposés dans les lignes directrices.

Déclaration d'intérêts

Toutes les personnes qui ont collaboré à ces lignes directrices ont déclaré leurs intérêts et leurs rôles en tout respect de la Politique de prévention, d'identification, d'évaluation et de gestion des conflits d'intérêts et de rôles des collaborateurs de l'INESSS. Après évaluation, aucun intérêt ou rôle déclaré n'a nécessité l'application d'une modalité de gestion.

Responsabilité

L'Institut assume l'entière responsabilité de la forme et du contenu définitifs de ce document. Celui-ci ne reflète pas forcément les opinions des personnes consultées aux fins de son élaboration.

TABLE DES MATIÈRES

SIGLES ET ACRONYMES	I
GLOSSAIRE	II
INTRODUCTION	1
1 MÉTHODOLOGIE	4
1.1 Revue de littérature	4
1.2 Consultation	4
2 TABLEAU-SYNTÈSE	6
3 COMPOSANTES	8
3.1 Problème décisionnel – Question d'évaluation	8
3.2 Population cible	8
3.3 Comparateurs	9
3.4 Perspective	9
3.5 Horizon temporel	10
3.6 Taux d'actualisation	10
3.7 Type d'analyse	11
3.8 Efficacité	11
3.9 Valorisation des résultats en santé et en services sociaux	12
3.10 Modélisation	13
3.11 Coûts et ressources	14
3.12 Exploration des incertitudes	16
3.13 Seuil d'efficacité décisionnel	17
3.14 Équité en santé	17
3.15 Impacts environnementaux	18
3.16 Présentation des résultats	18
CONCLUSION	19
RÉFÉRENCES	20

LISTE DES FIGURES

Figure 1	Les cinq dimensions du cadre d'appréciation globale de la valeur de l'INESSS.....	1
----------	---	---

LISTE DES TABLEAUX

Tableau 1	Sommaire des recommandations méthodologiques pour chacune des composantes des lignes directrices en évaluation économique	6
-----------	---	---

SIGLES ET ACRONYMES

ACB	Analyse coût-bénéfice
ACC	Analyse coût-conséquence
ACE	Analyse coût-efficacité
ACU	Analyse coût-utilité
AMC	Analyse de minimisation des coûts
AVAQ	Années de vie ajustées en fonction de la qualité
AVG	Années de vie gagnées
ASCOT	<i>Adult Social Care Outcomes Toolkit</i>
CDA-AMC	<i>Canada's Drug Agency</i> – Agence des médicaments du Canada
CORE	<i>Clinical Outcomes in Routine Evaluation</i>
DER	Direction de l'évaluation des médicaments et des technologies à des fins de remboursement
ECRA	Essai clinique à répartition aléatoire
EQ-5D	Questionnaire <i>EuroQol 5-Dimensions</i>
HAS	Haute Autorité de Santé
HTAi	Health Technology Assessment international
HUI	<i>Health Utilities Index</i>
ICECAP	<i>ICEpop CAPability measure</i>
ICER	<i>Institute for Clinical and Economic Review</i>
INAHTA-	<i>International Network of Agencies for Health Technology Assessment</i>
ISPOR	<i>Professional Society for Health Economics and Outcomes Research</i>
MSSS	Ministère de la Santé et des Services sociaux
NICE	<i>National Institute for Health and Care Excellence</i>
RCED	Ratio coût-efficacité différentiel
RCUD	Ratio coût-utilité différentiel
SF-6D	Système de classification des états de santé <i>Short Form 6-Dimensions</i>
SSSS	Système de santé et de services sociaux
UETMIS	Unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé

GLOSSAIRE

Analyse complémentaire

Évaluation fondée sur des choix méthodologiques autres que ceux recommandés dans l'analyse de référence afin d'évaluer l'incertitude relative à la méthodologie. Peut accompagner l'analyse de référence et être transmise aux décideurs, mais il importe d'indiquer les conséquences de s'écarter de l'analyse de référence. [CDA-AMC, 2017]

Analyse coût-bénéfice

Évaluation économique consistant à comparer différentes options, dans laquelle les coûts et les résultats sont quantifiés en unités monétaires communes. [INAHTA-HTAi]

Analyse coût-conséquences

Évaluation économique consistant à comparer différentes options, dans laquelle les composantes de coûts et les différentes issues d'une maladie ou d'une intervention sont calculées et présentées de façon séparée. [INAHTA-HTAi]

Analyse coût-efficacité

Évaluation économique consistant à comparer différentes options, dans laquelle les coûts sont mesurés en unités monétaires puis agrégés, et les résultats sont exprimés en unités naturelles (non monétaires). [INAHTA-HTAi]

Analyse coût-utilité

Évaluation économique consistant à comparer différentes options, dans laquelle les coûts sont mesurés en unités monétaires et les résultats en unités d'utilité, habituellement pour le patient (en employant les années de vie ajustées en fonction de la qualité, par exemple). [INAHTA-HTAi]

Analyse de minimisation des coûts

Évaluation économique consistant à comparer les coûts de différentes options présumées produire des résultats de santé équivalents et à déterminer la moins coûteuse. [INAHTA-HTAi]

Analyse de référence

Évaluation fondée sur l'ensemble des méthodes recommandées par souci d'uniformité et de transparence, qui permet la comparaison des résultats de différentes interventions pour différentes décisions. Adapté de [CDA-AMC, 2017]

Analyse de sensibilité en scénarios

Analyse complète de scénarios établis pour examiner les sources d'incertitude (p. ex. structurelle) dans l'analyse de référence ou l'analyse complémentaire. [CDA-AMC, 2017]

Analyse de sensibilité univariée

Moyen d'évaluer la robustesse d'un modèle mathématique en testant une gamme plausible d'estimations d'un intrant afin de déterminer si de telles variations entraînent des changements importants dans les résultats du modèle. Adapté de [INAHTA-HTAi]

Année de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ)

Unité de résultat d'une intervention où les gains (ou les pertes) d'années de vie subséquentes à cette intervention sont ajustés en fonction de la qualité de vie durant ces années. [INAHTA-HTAi]

Analyse probabiliste

Méthode employée dans la modélisation économique, qui permet de quantifier le niveau de confiance dans les résultats de l'analyse par rapport à l'incertitude des données d'entrée du modèle. Les paramètres du modèle sont représentés sous forme de distributions de probabilité. Traduction libre et adaptée de [YHEC, 2016]

Arbre de décision

Représentation graphique des options et résultats possibles pour faciliter la prise de décision dans des conditions d'incertitude. Adapté de [INAHTA-HTAi]

Courbe d'acceptabilité du rapport coût-efficacité

Courbe illustrant la probabilité qu'une option donnée soit efficiente en fonction de la valeur attribuée à une année additionnelle de vie ajustée en fonction de la qualité (AVAQ). [INAHTA-HTAi]

Coûts d'opportunité (de renonciation)

Valeur des bénéfices de l'option à laquelle on renonce en choisissant une option donnée. [INAHTA-HTAi]

Coûts directs

Ensemble des coûts fixes ou variables des ressources (biens, services, etc.) pris en considération dans le cadre de la mise en œuvre d'une intervention et de la gestion de ses conséquences. Adapté de [INAHTA-HTAi]

Coûts indirects

Ensemble des coûts attribués à la valeur de la production économique perdue en raison d'une maladie, d'une blessure invalidante ou d'un décès prématuré. [INAHTA-HTAi]

Efficacité réelle ou pratique

Bénéfice que procure l'usage d'une technologie, d'un programme ou d'une intervention pour traiter un problème particulier dans des conditions générales ou courantes plutôt que dans des conditions contrôlées, notamment dans le cadre de l'usage d'une technologie par un médecin dans un hôpital ou par un patient à domicile. [INAHTA-HTAi]

Efficienne

Degré auquel le bénéfice maximal possible est obtenu compte tenu des ressources disponibles. Il se fonde sur le rapport entre le résultat obtenu et les ressources utilisées, interprété selon une règle de décision. Adapté de [INAHTA-HTAi]

Évaluation des coûts détaillés (*micro-costing*)

Technique d'estimation où chaque ressource utilisée par l'intervention est valorisée par un coût réel unitaire. Adapté de [HAS, 2020]

Frontière d'efficienne

Courbe formée par les rapports coût-efficacité ou coût-utilité différentiels dans une représentation graphique des comparateurs non dominés. [INAHTA-HTAi]

Intrant

Unité quantifiable de ressources d'une même nature, affectées à une activité. Les ressources utilisées comme intrants peuvent être des ressources humaines, matérielles, financières ou informationnelles. [OQLF]

Impact budgétaire

Répercussions financières de l'introduction d'une intervention sur les budgets d'immobilisations et de fonctionnement d'un payeur de soins. Adapté de [INAHTA-HTAi]

Méthode du coût de friction

Méthode d'estimation du coût de la perte de production engendrée par l'absence d'un employé durant la période nécessaire à l'organisation pour le remplacer et retrouver le niveau de productivité initial. [INAHTA-HTAi]

Modèle de Markov

Modélisation quantitative comprenant un ensemble particulier d'états de santé mutuellement exclusifs et complets, pour lesquels il existe des probabilités de transition d'un état à un autre, y compris la probabilité de rester dans le même état. [INAHTA-HTAi]

Modèle de microsimulation

Modélisation économique dans laquelle les individus modélisés passent par le modèle un par un, leurs résultats sont enregistrés et l'expérience d'une cohorte est ensuite obtenue en agrégeant les résultats individuels. Traduction libre et adaptée de [YHEC, 2016]

Modèle de survie partitionné

Modélisation économique employée pour suivre une cohorte théorique dans le temps, au fur et à mesure qu'elle évolue entre un ensemble d'états de santé exhaustifs et mutuellement exclusifs. Le nombre de personnes dans chaque état à des moments successifs n'est pas dicté par les probabilités de transition. Traduction libre et adaptée de [YHEC, 2016]

Ratio coût-efficacité différentiel

Différence de coûts entre deux interventions, divisée par la différence entre les effets mesurés de ces interventions sur les patients en termes d'unité physique (p. ex. différence de coûts par nombre de cas évités). Adapté de [INAHTA-HTAi]

Ratio coût-utilité différentiel

Différence de coûts entre deux interventions, divisée par la différence entre les effets mesurés de ces interventions sur les patients en termes d'utilité (p. ex. différence de coûts par année de vie ajustée en fonction de la qualité ou par équivalent d'années de vie en bonne santé). Adapté de [INAHTA-HTAi]

Simulation à évènements discrets

Technique de modélisation employée dans l'évaluation économique des interventions, dans laquelle l'expérience d'un patient individuel est simulée dans le temps. Traduction libre et adaptée de [YHEC, 2016]

Taux d'actualisation

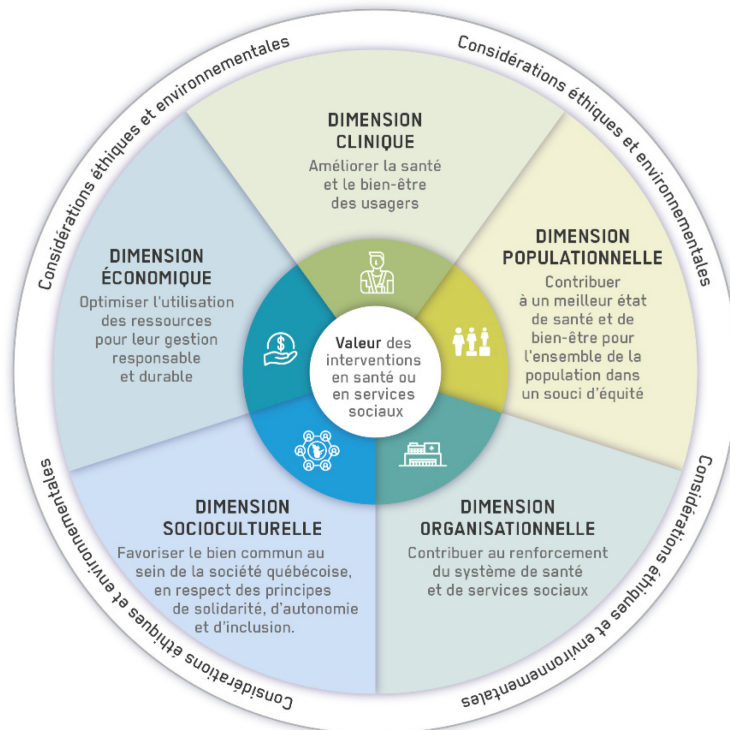
Taux d'intérêt de substitution employé pour déterminer la valeur actuelle de coûts et de bénéfices futurs. Adapté de [INAHTA-HTAi]

INTRODUCTION

L'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS) a pour mission de promouvoir l'excellence clinique et l'utilisation efficace des ressources dans le secteur de la santé et des services sociaux. L'INESSS évalue notamment les avantages cliniques et les coûts des technologies, des médicaments et des interventions en santé et en services sociaux. Il publie des recommandations quant à leur adoption, leur utilisation ou leur couverture par le régime public et il élabore des guides de pratique clinique afin d'en assurer l'utilisation optimale. Dans ces recommandations et guides, l'INESSS détermine les critères à utiliser pour évaluer la performance des services et, le cas échéant, les modalités de mise en œuvre et de suivi de ceux-ci conformément aux meilleures pratiques de gouvernance clinique. Il promeut et soutient aussi le développement de l'évaluation scientifique à l'égard des interventions en santé et en services sociaux. Le développement de lignes directrices en évaluation économique contribuera à l'évolution des pratiques évaluatives à l'INESSS et à leur transparence.

En 2021, l'INESSS s'est doté d'un cadre d'appréciation de la valeur des interventions en santé et en services sociaux [INESSS, 2021]. Selon cette approche, une intervention apporte de la valeur dans la mesure où son usage ou sa mise en place contribue à la quintuple finalité du système de santé et de services sociaux (dimensions clinique, populationnelle et économique) dans le contexte québécois (dimensions organisationnelle et socioculturelle) :

Figure 1 Les cinq dimensions du cadre d'appréciation globale de la valeur de l'INESSS



Ainsi, pour l'élaboration de certains de ses produits de connaissance, l'Institut réalise une évaluation économique afin d'apprécier si l'intervention¹ optimise l'utilisation des ressources pour leur gestion responsable et durable. L'évaluation économique en santé et en services sociaux² vise à éclairer des décisions publiques d'allocation efficiente des ressources collectives limitées. Elle se fonde sur l'analyse comparative entre les avantages pour les usagers et usagères des interventions en santé et en services sociaux et leurs coûts pour le système de santé et de services sociaux (SSSS). Elle cherche à répondre à la question centrale de déterminer si les ressources nécessaires pour utiliser l'intervention évaluée devraient être déployées.

Afin de guider les choix méthodologiques s'appliquant à ses différents types de produits de connaissances, l'INESSS se dote de lignes directrices en évaluation économique des interventions en santé et en services sociaux. Ces lignes indiquent de manière synthétique les éléments méthodologiques pertinents pour les évaluations menées à l'INESSS. Elles se situent donc entre un cadre de référence et des lignes directrices plus détaillées. Elles ont pour objectif de produire des résultats d'évaluation crédibles et normalisés pour les interventions en santé et en services sociaux, et de favoriser la transparence des décisions méthodologiques prises lors d'une évaluation. D'autres choix méthodologiques pourraient s'avérer plus appropriés au problème décisionnel; dans ce cas, ils devront être clairement justifiés.

Les présentes lignes directrices s'inscrivent en phase avec celles des principales agences en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé et en services sociaux. Au premier plan, les lignes directrices de l'INESSS s'appuient sur celles de l'Agence des médicaments du Canada (anciennement l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé) [CDA-AMC, 2017]. Elles considèrent aussi les lignes directrices du National Institute for Health and Care Excellence (NICE) au Royaume-Uni [NICE, 2022], de la Haute Autorité de Santé (HAS) en France [HAS, 2020] et de l'Institute for Clinical and Economic Review (ICER) aux États-Unis [ICER, 2023]. D'autres travaux, notamment issus de la Professional Society for Health Economics and Outcomes Research (ISPOR) [Briggs *et al.*, 2012; Caro *et al.*, 2012; Eddy *et al.*, 2012; Roberts *et al.*, 2012] et des comparaisons de lignes directrices en évaluation économique [Khorasani *et al.*, 2022; Sharma *et al.*, 2021; Zisis *et al.*, 2020; Blucher *et al.*, 2019; Weatherly *et al.*, 2017] ont servi de références.

¹ Le terme « intervention » est employé ici dans son sens large. Il comprend les modes d'intervention (cognitifs, psychosociaux, sensoriels, physiques, physiologiques ou portant sur un milieu de vie ou de soins), les technologies (tests et procédures de biologie médicale, médicaments, thérapies cellulaires et géniques, dispositifs médicaux, équipements médicaux, produits sanguins, technologies numériques), les modes d'organisation des soins et services et les modes de gouvernance. [INESSS, 2021]

² Dans le cadre de ces lignes directrices, l'évaluation économique fait principalement référence à l'évaluation de l'efficience.

Les lignes directrices recommandent des choix méthodologiques à l'égard des composantes suivantes : problème décisionnel, population cible, comparateur(s), perspective, horizon temporel, taux d'actualisation, type d'analyse, efficacité, valorisation des résultats, modélisation, coûts et ressources, exploration des incertitudes, seuil d'efficacité décisionnel, équité en santé, impacts environnementaux et présentation de l'évaluation économique et de ses résultats. Des recommandations sur chacune de ces composantes sont énoncées.

1 MÉTHODOLOGIE

Les choix méthodologiques recommandés concernant les composantes des lignes directrices en évaluation économique des interventions en santé et en services sociaux de l'INESSS reposent sur une revue de la littérature scientifique, sur une revue des guides et lignes directrices des autres agences en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé et en services sociaux ainsi que sur des consultations avec des experts du domaine.

1.1 Revue de littérature

Le repérage de la littérature a été mené par une conseillère en information scientifique (bibliothécaire) en collaboration avec l'équipe de projet. Une recherche ciblée a été réalisée dans les bases de données bibliographiques MEDLINE, Embase et EBM Reviews (Cochrane Central Register of Controlled Trials, Cochrane Database of Systematic Reviews, Health Technology Assessment, NHS Economic Evaluation Database). Les résultats ont été limités aux documents publiés en anglais ou en français depuis 2015. D'autres sources spécialisées, dont des sources de littérature grise, ont également été consultées.

Les sites Web de certaines agences d'évaluation en santé et en services sociaux et associations professionnelles ont été examinés afin de répertorier les lignes directrices en évaluation économique des agences suivantes : [Agence des médicaments du Canada](#) (anciennement l'Agence canadienne des médicaments et des technologies de la santé), [National Institute for Health and Care Excellence](#) (NICE) au Royaume-Uni, [Haute Autorité de Santé](#) (HAS) en France et [Institute for Clinical and Economic Review](#) (ICER) aux États-Unis.

Une fiche méthodologique détaillée pour chaque composante a été produite afin de comparer les orientations méthodologiques des différentes organisations, de considérer la littérature pertinente et de tenir compte des consultations réalisées.

1.2 Consultation

1.2.1 Comité consultatif

Le comité consultatif avait pour mandat d'accompagner les travaux de l'INESSS afin d'assurer la qualité scientifique, la pertinence, la faisabilité et l'acceptabilité professionnelle et sociale du produit livré, et ce, en fournissant de l'information, de l'expertise, des opinions ou des perspectives essentielles à la réalisation des travaux.

Le comité a été formé de membres indépendants reconnus pour leur expertise dans le domaine de l'économie de la santé et de l'évaluation économique et de l'éthique de la décision. Les membres du comité consultatif se sont rencontrés à cinq reprises au cours de la démarche. Ils ont été consultés sur les orientations du projet, mais surtout sur les

propositions de recommandations méthodologiques pour chacune des composantes. Leurs propos ont été transcrits, des comptes-rendus ont été produits et des ajustements ont été apportés aux propositions, le cas échéant.

1.2.2 Groupe de discussion avec les membres économistes des comités délibératifs permanents de l'INESSS

En plus du comité consultatif, les membres économistes des comités délibératifs permanents de l'INESSS ont été consultés sur une version préliminaire et finale des lignes directrices en évaluation économique des interventions en santé et en services sociaux. Leurs commentaires ont été intégrés.

1.2.3 Consultations internes

Les coordonnateurs et les professionnels économistes et pharmacoéconomistes de l'INESSS, notamment à la Direction de l'évaluation des médicaments et des technologies à des fins de remboursement (DER), ont été régulièrement consultés sur les itérations des lignes directrices en évaluation économique des interventions en santé et en services sociaux. Les enjeux ont été discutés lors de rencontres, et des modifications ont été apportées.

1.2.4 Autres consultations

Des membres d'une unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (UETMIS) ont été consultés sur une version préliminaire des lignes directrices en évaluation économique des interventions en santé et en services sociaux. Leurs commentaires ont été intégrés.

2 TABLEAU-SYNTHESE

Le Tableau 1 présente brièvement les recommandations sur les choix méthodologiques des composantes des lignes directrices en évaluation économique des interventions en santé et en services sociaux de l'INESSS. Lorsque l'évaluation économique est réalisée à partir d'autres choix méthodologiques que ceux recommandés, ces derniers doivent être justifiés et être en adéquation avec les besoins associés au problème décisionnel.

Tableau 1 Sommaire des recommandations méthodologiques pour chacune des composantes des lignes directrices en évaluation économique

Composantes	Choix méthodologiques recommandés
Problème décisionnel	Le problème décisionnel est clair et formulé selon les éléments de l'approche PICO ou PICO-TS (Population, Intervention, Comparateur, Résultats, Temporalité, Milieux d'intervention).
Population cible	La population bénéficiaire de l'intervention, y compris les sous-groupes pertinents pour des analyses stratifiées si nécessaire, doit être clairement décrite.
Comparateurs	Les comparateurs doivent être d'usage courant dans le contexte de l'évaluation au Québec.
Perspective	La perspective du système public de santé du Québec est privilégiée.
Horizon temporel	L'horizon temporel doit être suffisamment long pour capter toutes les différences pertinentes de coûts et de résultats entre les interventions comparées.
Taux d'actualisation	Le taux d'actualisation est de 1,5 % avec analyse complémentaire, ou de base selon l'intervention, à 3 %. Même taux pour les coûts et les résultats.
Type d'analyse	L'analyse coût-utilité (ACU) est privilégiée.
Efficacité	L'efficacité clinique pratique (ou en contexte réel) doit être considérée. Le devis d'étude de référence pour l'efficacité clinique explicative (ou contrôlée) est l'essai clinique à répartition aléatoire (ECRA).
Valorisation des résultats en santé et en services sociaux	Mesurés en années de vie ajustées en fonction de la qualité (AVAQ).
Modélisation	Le modèle doit être choisi et conçu en fonction du problème décisionnel. Il doit être crédible et incorporer adéquatement la population cible, l'histoire naturelle de la maladie ou de la condition, le parcours de soins et de services sociaux.
Coûts et ressources	Les coûts des ressources employées sont estimés en trois étapes : identification, mesure et quantification, et valorisation en unité monétaire de référence.
Exploration des incertitudes	Les incertitudes liées aux résultats de l'évaluation économique doivent être caractérisées, quantifiées et adéquatement présentées.

Composantes	Choix méthodologiques recommandés
Seuil d'efficience décisionnel	Il n'y a pas de seuil d'efficience décisionnel. Des repères de 50 000 \$ et de 100 000 \$ par AVAQ gagnée peuvent être retenus pour interpréter les résultats.
Équité en santé	Tous les résultats sont pondérés également.
Impacts environnementaux	Les impacts environnementaux notables et bien documentés des interventions sont présentés selon les étapes du cycle de vie de l'intervention.
Présentation des résultats	Il résume les résultats associés au problème décisionnel, présente les composantes méthodologiques et les résultats de l'évaluation économique, et précise les questions liées aux différentes incertitudes relatives aux résultats.

3 COMPOSANTES

Les lignes directrices en évaluation économique des interventions en santé et en services sociaux de l'INESSS énoncent succinctement les recommandations méthodologiques pour 16 composantes. Ces composantes concernent respectivement le problème décisionnel, la population cible, le ou les comparateurs, la perspective, l'horizon temporel, le taux d'actualisation, le type d'analyse, l'efficacité, la valorisation des résultats en santé et en services sociaux, la modélisation, les coûts et les ressources, les incertitudes, le seuil d'efficience décisionnel, l'équité en santé, les impacts environnementaux ainsi que la rédaction et la présentation des résultats.

Si les lignes directrices concernent spécifiquement l'évaluation de l'efficience, les recommandations peuvent être également utiles pour guider d'autres types d'analyses économiques ou de documentation de l'information économique pertinente à l'évaluation d'une intervention en santé et en services sociaux.

3.1 Problème décisionnel – Question d'évaluation

Le problème décisionnel (ou question d'évaluation) constitue l'objet de l'évaluation économique.

Le problème décisionnel (ou la question d'évaluation) énonce clairement l'objectif de l'évaluation économique d'une intervention de santé ou de services sociaux dans le contexte québécois. L'énoncé du problème décisionnel d'une évaluation économique doit contenir les éléments de l'approche PICO ou un équivalent comme PICO-TS : P pour *population cible*, I pour *intervention évaluée*; C pour *comparateur (intervention comparée)*; O pour *résultats obtenus (Outcomes)*, T pour *temporalité* et S pour *milieu(x) d'intervention (Settings)*.

3.2 Population cible

La population cible est l'ensemble des personnes à qui est destinée l'intervention évaluée (habituellement des patients et des usagers) et qui est visée dans le problème décisionnel. Au besoin, elle comprend des sous-groupes.

La population cible pour qui l'usage de l'intervention est autorisé ou reconnu doit être décrite, notamment en précisant ses caractéristiques (p. ex. groupe d'âge, genre, état de santé, etc.).

3.2.1 Sous-groupe de population cible

S'il s'avère judicieux d'étudier l'influence de facteurs susceptibles de faire varier l'estimation des coûts et des résultats des interventions évaluées (p. ex. en présence d'hétérogénéité des besoins de santé et de services sociaux, des résultats cliniques ou de contribution financière à déboursier pour les patients, les usagers ou les proches aidants), et que les données pertinentes et de qualité sont disponibles. Une analyse

stratifiée de la population cible par sous-groupes homogènes peut être produite, et les résultats peuvent être présentés pour chacun d'eux.

3.3 Comparateurs

Le ou les comparateurs se définissent par rapport à l'intervention en santé ou en services sociaux qui est évaluée et découlent du problème décisionnel. Ils doivent être d'usage courant dans le contexte de l'évaluation au Québec.

Généralement, le ou les comparateurs sont les interventions susceptibles d'être remplacées ou de voir leur utilisation déplacée par l'intervention évaluée. Dans certains cas, le comparateur de l'intervention évaluée peut être l'absence d'intervention (c.-à-d. ne rien faire). Aussi, les comparateurs peuvent être des stratégies de prise en charge (p. ex. interventions interdépendantes ou séquence d'interventions, soins et services sociaux destinés à optimiser l'efficacité du traitement principal), et non pas des interventions individuelles. Ces stratégies doivent être précisées en distinguant les changements apportés par l'intervention évaluée.

Le ou les comparateurs choisis sont ceux en usage pour la population d'intérêt au Québec et dans la région sociosanitaire où la décision s'appliquera. La sélection du ou des comparateurs doit être justifiée.

3.4 Perspective

La perspective choisie délimite l'analyse des résultats et les coûts de l'intervention et de son ou ses comparateurs. Le choix d'une perspective doit :

- relever du problème décisionnel;
- tenir compte de la disponibilité et de la qualité des données;
- être expliqué et justifié.

Parmi les perspectives pouvant être envisagées pour documenter l'évaluation économique, celle du système public de santé et de services sociaux (SSSS) du Québec est retenue.

Toutefois, dans les cas de figure où l'INESSS juge que les coûts sociétaux des soins sont importants par rapport aux coûts directs de ces mêmes soins, et que l'impact de l'intervention sur ces coûts est substantiel, il est recommandé d'inclure la perspective sociétale comme scénario de base à côté de la perspective du SSSS public québécois. Les coûts et les effets relevant de cette perspective doivent alors être identifiés, quantifiés et décrits pertinemment.

3.4.1 Perspective du système public de santé et de services sociaux du Québec

Cette perspective prend en considération, d'une part, les coûts directs payés par le système public de santé et de services sociaux, qui sont associés à l'intervention évaluée et à son ou ses comparateurs, et d'autre part, les résultats directs en santé et en services sociaux de l'intervention évaluée et de son ou ses comparateurs pour la population cible durant un horizon temporel déterminé.

3.4.2 Perspective sociétale

La perspective sociétale est plus large que celle du SSSS public du Québec. Elle considère les coûts directs couverts par le SSSS public ainsi que les coûts indirects payés ailleurs que dans le SSSS public, et les effets sur la santé pertinents pour la population cible ainsi que les autres effets pertinents.

Parmi les coûts indirects se trouvent, entre autres, les coûts liés à la perte de productivité des patients, des usagers ou des proches, qui découlent de leur état de santé (p. ex. embauche ou formation d'une personne pour le remplacer). Concernant les effets autres que ceux en santé et en services sociaux, il est question, entre autres, de retombées de l'intervention non liées directement à la santé comme l'amélioration du niveau de scolarité, la réduction des méfaits, etc.

3.5 Horizon temporel

L'horizon temporel doit être suffisamment long pour capter toutes les différences pertinentes de coûts et de résultats entre les interventions comparées.

L'horizon temporel doit être défini en fonction de l'histoire naturelle de la maladie ou de la condition traitée, ainsi que des effets attendus de l'intervention. Un horizon temporel à vie est généralement retenu pour capter pleinement l'évolution des coûts et des résultats. Un horizon temporel plus court peut être retenu si les coûts et les effets attendus de l'intervention le motivent. Le choix de l'horizon temporel doit être justifié.

Pour garantir la cohérence analytique, le même horizon temporel est employé à la fois pour les coûts et les résultats.

3.6 Taux d'actualisation

Pour une demande d'inscription à des fins de remboursement public, le taux proposé pour actualiser les coûts et les résultats des interventions au-delà de la première année est de 1,5 % afin d'assurer une comparabilité nationale avec le CDA-AMC [2017].

En complément et pour les autres interventions évaluées par l'INESSS, il est proposé d'employer le taux de référence de 3 % du ministère de l'Économie, de l'Innovation et de l'Énergie du gouvernement du Québec selon la méthode [Montmarquette et Scott, 2007]. Au besoin, ce taux pourra être révisé par l'INESSS en fonction du rendement obligatoire provincial du Québec.

Il est recommandé d'employer le même taux d'actualisation pour les coûts et les résultats.

3.7 Type d'analyse

L'analyse coût-utilité (ACU), dont les résultats sont obtenus sous la forme d'un rapport coût-utilité différentiel (RCUD) est recommandée pour l'évaluation économique. Elle fait appel aux années de vie ajustées en fonction de la qualité (AVAQ), exprimées à l'aide d'une mesure de résultat générique (utilité) qui permet la comparaison des coûts et des résultats (effets) de différentes options. L'ACU permet au décideur d'élargir les comparaisons parmi diverses interventions et informe sur l'allocation de ressources fondée sur la maximisation des gains en santé et en services sociaux dans un contexte de ressources publiques limitées.

Le recours à d'autres types d'analyses telles que l'analyse coût-efficacité (ACE), l'analyse de minimisation des coûts (AMC), l'analyse coût-conséquence (ACC) ou l'analyse coût-bénéfice (ACB), doit être justifié clairement.

3.8 Efficacité

L'efficacité d'une intervention en santé et en services sociaux est la mesure dans laquelle cette intervention donne le résultat attendu chez une population donnée. L'évaluation de l'efficacité nécessite que l'intervention d'intérêt soit comparée à une autre, un placebo ou l'absence d'intervention. Deux types d'efficacité sont distingués : l'efficacité explicative ou pratique. L'efficacité explicative est obtenue à partir d'un essai réalisé dans des conditions idéales et contrôlées (recherche de validité interne). L'efficacité pratique est obtenue à partir d'un essai réalisé dans des conditions usuelles en soins ou en services sociaux (recherche de validité externe).

Il est important de savoir si les données sur l'efficacité sont généralisables au contexte réel de soins et de services sociaux au Québec et si une différence cliniquement significative du résultat d'intérêt est observée ou non.

Le devis d'étude de référence pour l'efficacité explicative est l'essai clinique à répartition aléatoire (ECRA). Les ECRA peuvent également être employés pour l'évaluation de l'efficacité pratique, à la différence que la population d'étude est moins homogène avec une plus grande taille d'échantillon, le comparateur est défini par des soins ou services usuels, et la durée du suivi est plus longue.

De façon générale, l'efficacité basée sur des données de comparaison directe de deux ou plusieurs interventions peut être évaluée par des devis d'étude primaire (p. ex. les ECRA, les essais cliniques à répartition non aléatoire, les essais avant-après contrôlés, etc.) et des revues de littérature (p. ex. les revues systématiques avec ou sans méta-analyse). Des études observationnelles peuvent être pertinentes pour certains effets secondaires nécessitant une évaluation en contexte réel ou sur un long suivi (p. ex. les études de cohortes) ou des résultats d'intérêt rares (p. ex. les études cas-témoins).

En l'absence de comparaison directe de deux ou plusieurs interventions, l'efficacité peut être évaluée par des comparaisons indirectes simples basées sur les méthodes de Bucher [Bucher *et al.*, 1997], d'ajustement par appariement (MAIC) [Signorovitch *et al.*, 2012] ou des interventions simulées (STC) [Ishak *et al.*, 2015]. Dans le cas de plusieurs interventions, les méthodes comme la méta-analyse en réseau (fréquentistes ou bayésiennes) peuvent être employées pour évaluer l'efficacité des interventions et leur classement.

Quelle que soit la source des données sur l'efficacité, le risque de biais dans l'estimation de l'efficacité devrait être évalué en employant un outil d'évaluation approprié. Lorsque les données sur l'efficacité sont issues d'une revue systématique avec ou sans méta-analyse en réseau, l'évaluation du niveau de preuve scientifique peut être faite avec l'outil GRADE qui tient compte du niveau de risque de biais, de l'hétérogénéité, du caractère indirect, de l'imprécision et du biais de publication.

Par ailleurs, les parties prenantes, dont les patients et leurs proches, peuvent être consultées en tenant compte de la gestion des conflits d'intérêts et de rôles et de leur diversification, et ce, en employant les meilleures pratiques en recherche qualitative ou quantitative :

- pour informer et valider la sélection et la pertinence des données, les hypothèses de leur extrapolation, le parcours de soins et de services sociaux, les résultats ou toute autre information nécessaire;
- pour pallier l'absence de données (p. ex. estimation d'un paramètre).

Lorsque pertinent, des analyses supplémentaires peuvent être réalisées comme :

- une analyse de la courbe d'apprentissage;
- une analyse de l'impact organisationnel en y incluant les éléments d'histoire naturelle de la maladie ou de la condition et de parcours de soins et de services sociaux.

3.9 Valorisation des résultats en santé et en services sociaux

Les indicateurs des effets de l'intervention sur la santé et le bien-être général du patient ou de l'utilisateur s'expriment différemment selon le type de l'analyse économique retenue.

Pour l'analyse coût-utilité (ACU) recommandée, l'indicateur de résultat en santé et en services sociaux approprié est mesuré en années de vie ajustées en fonction de la qualité (AVAQ). L'AVAQ permet de pondérer la durée de vie par la qualité de vie liée à la santé, qui est établie à partir des préférences pour des états de santé mesurées par des scores d'utilité. Dans une ACU, il est recommandé :

- de veiller à ce que les préférences en matière de santé (c.-à-d. les scores d'utilité) soient alignées avec les états de santé prévus dans le modèle et conceptualisées en fonction du problème décisionnel;

- d'incorporer des préférences en matière de santé obtenues par une méthode de mesure indirecte à des fins de standardisation reposant sur un système de classification générique, p. ex. questionnaire *EuroQol 5-Dimensions* (EQ-5D), *Health Utilities Index* (HUI), *Short-Form 6-Dimensions* (SF-6D). Si une méthode indirecte n'est pas choisie, le justifier;
- de privilégier, lorsque cela est approprié et de qualité méthodologique reconnue, les préférences en matière de santé qui correspondent à celles des patients ou de la population générale québécoise ou canadienne;
- de justifier le choix des sources d'information des scores d'utilité associés aux états de santé ainsi que les compromis consentis, le cas échéant, entre leur disponibilité, leur pertinence et leur qualité méthodologique;
- à défaut de données issues d'un système de classification générique, de privilégier une approche par *mapping* élaborée selon les standards de qualité méthodologique et validée;
- d'identifier la valeur du changement minimalement important associée à l'instrument de mesure d'AVAQ retenu afin de permettre une interprétation adéquate des résultats sur l'efficacité et du RCUD qui en découle;
- de privilégier l'usage de sources de données primaires comme les ECRA. À défaut d'ECRA, faire une revue de la littérature spécifique à la maladie ou à la condition;
- dans le cas d'interventions en services sociaux ou en santé mentale, d'utiliser le *Adult Social Care Outcomes Toolkit* (ASCOT) pour l'AVAQ, le CORE-6D pour les interventions en santé mentale et *ICEpop CAPability measure* (ICECAP) pour la capacité [Weatherly *et al.*, 2017; Bulamu *et al.*, 2015; Mavranouzouli *et al.*, 2013].

3.10 Modélisation

3.10.1 Conceptualisation du modèle

Les modèles doivent suivre les guides de bonnes pratiques [Coyle *et al.*, 2023; Caro *et al.*, 2012; Roberts *et al.*, 2012]. Le modèle doit être élaboré en fonction du problème décisionnel. Le but est de construire un modèle crédible qui incorpore adéquatement la population cible, l'histoire naturelle de la maladie ou de la condition, et le parcours de soins et de services sociaux. Ce parcours tient compte de la prise en charge actuelle de la maladie ou de la condition ainsi que des principales modifications occasionnées par l'intervention évaluée. Il est recommandé de tenir compte de toutes les possibilités pertinentes, tout en évitant de compliquer la démarche de conception plus que nécessaire, afin de garder les éléments pertinents qui ont un impact sur les résultats.

3.10.2 Type de modèle

Il existe plusieurs types de modèle qui peuvent être employés dans le cadre de l'évaluation économique, dont l'arbre de décision, le modèle de Markov, le modèle de survie partitionné, le modèle de microsimulation et la simulation à événements discrets.

Le modèle choisi doit capter les différences importantes entre l'intervention évaluée et ses comparateurs, ainsi que répondre au problème décisionnel (question d'évaluation). Des références peuvent être consultées afin d'obtenir des recommandations sur le choix de modèle à sélectionner en fonction du contexte de l'évaluation [Caro *et al.*, 2012; Brennan *et al.*, 2006].

3.10.3 Validation

La validation des modèles doit suivre les guides de bonnes pratiques [Eddy *et al.*, 2012]. Il faut vérifier la validité de la structure, des hypothèses, des données et des résultats. Il est recommandé de s'assurer de la validité interne et externe du modèle et de rapporter ses limites.

3.10.4 Transparence

Le modèle, à savoir sa structure et tous ses éléments (justification des hypothèses, intrants, calculs employés et sources), devrait être illustré et décrit clairement afin qu'il soit reproductible.

3.11 Coûts et ressources

L'évaluation des coûts des ressources (intrants) nécessaires lors de la production et de l'utilisation des interventions ou qui sont susceptibles d'être modifiées par celles-ci est réalisée en trois étapes : l'identification des ressources concernées, leur quantification et mesure, et leur valorisation dans une unité monétaire appropriée.

3.11.1 Identification

Les ressources à identifier varient selon le type d'intervention évaluée, la perspective retenue et l'horizon temporel considéré.

L'ensemble des ressources requises lors de la réalisation et l'utilisation des interventions dans le contexte d'évaluation, ainsi que celles qui sont tributaires ou rendues indisponibles par ces interventions doivent être identifiées.

L'exclusion de toute ressource pertinente doit être justifiée.

L'identification des ressources s'appuie sur des sources d'information pertinentes, provenant notamment du contexte de l'évaluation : littérature scientifique et grise, banques de données clinico-administratives, avis d'experts, etc. Les sources de données doivent être clairement mentionnées et traçables.

3.11.2 Mesure et quantification

La mesure et la quantification des ressources identifiées doivent être réalisées de manière distincte pour chaque type de ressource. Les méthodes et données employées dépendent du degré de précision requis dans la quantification. Elles doivent être rapportées et justifiées. Le double comptage d'une ressource doit être évité. Il est possible d'exclure le type de ressources dont les quantités sont identiques à la fois pour les interventions évaluées et les comparateurs. Ce dernier cas échéant, il doit être justifié et mentionné.

L'information peut provenir du terrain par la méthode d'évaluation des coûts détaillés (*micro-costing*), de la littérature scientifique et grise, des banques de données clinico-administratives, des avis d'experts, etc. La sélection des meilleures données sur les ressources repose sur une évaluation de leur disponibilité, qualité méthodologique et pertinence au contexte d'évaluation. Elles sont clairement définies et justifiées.

À défaut de données sur une ressource, des hypothèses peuvent être formulées afin de la mesurer. Celles-ci doivent être détaillées, argumentées et testées dans des analyses de sensibilité univariée.

3.11.3 Valorisation des coûts

Les ressources sont valorisées en fonction de leur coût d'opportunité ou coût de renonciation (p. ex. le coût moyen ou le coût marginal à long terme de la ressource). Chaque ressource est valorisée pour le Québec, en dollars canadiens pour l'année en cours :

- en pratique, le coût d'opportunité d'une ressource peut aussi être estimé à partir des sommes versées ou des dépenses assumées par le payeur, selon la perspective adoptée;
- la sélection des meilleures données sur les coûts repose sur une évaluation de leur disponibilité, qualité méthodologique et pertinence en fonction du contexte de l'évaluation. Elles sont clairement définies et justifiées;
- l'approche employée pour valoriser les coûts des ressources doit être précisée (p. ex. approche comptable ou économique);
- il faut considérer tous les intervenants du secteur public qui allouent des ressources en soins et services sociaux et, si approprié selon la perspective choisie, ceux du secteur non public (p. ex. milieu communautaire, secteur privé) ainsi que les personnes proches aidantes.

Dans les cas où la perspective sociétale est retenue, il faut valoriser les gains et pertes de productivité par la méthode du coût de friction. Le coût de productivité relatif au travail non rémunéré est valorisé par la méthode du coût de renonciation. Le temps de loisir perdu ne devrait pas être inclus dans l'évaluation des coûts. Les limites associées à ces analyses doivent être précisées.

3.12 Exploration des incertitudes

Les incertitudes liées aux résultats de l'évaluation économique doivent être décelées et caractérisées, quantifiées et adéquatement communiquées [Briggs *et al.*, 2012].

3.12.1 Caractérisation

La caractérisation des incertitudes prend les formes suivantes :

- méthodologique : incertitudes liées au fait que les choix méthodologiques de l'évaluation ne correspondent pas aux meilleures pratiques établies;
- paramétrique : incertitudes liées à la correspondance entre la valeur estimée des paramètres et leur « vraie valeur » et au caractère approprié de la distribution statistique;
- structurelle : incertitudes liées à la capacité du modèle à capter judicieusement les spécificités de l'histoire naturelle de la maladie ou de la condition, du parcours de soins et de services sociaux, de l'intervention et du ou des comparateurs afin de bien extrapoler les bénéfices et les coûts des interventions comparées.

3.12.2 Quantification

Une fois les incertitudes décelées et caractérisées, des méthodologies doivent être définies pour les quantifier. Les méthodologies préconisées varient en fonction des types d'incertitudes :

- pour les incertitudes méthodologiques, l'analyse de sensibilité en scénario est privilégiée;
- pour les incertitudes paramétriques, l'analyse probabiliste est privilégiée;
- pour les incertitudes structurelles, la paramétrisation [Bilcke *et al.*, 2011; Jackson *et al.*, 2011] est privilégiée lorsque possible, sinon l'analyse de sensibilité en scénario. De façon plus spécifique et si cela est pertinent, l'analyse de sensibilité inclut :
 - pour l'extrapolation des données à long terme, l'analyse de sensibilité permet d'estimer les bénéfices en santé selon trois hypothèses : un effet traitement relatif nul après la période d'observation, un effet traitement relatif nul après la durée du traitement, et un effet traitement relatif décroissant avec le temps [HAS, 2020],
 - si pertinent (p. ex. pour certains instruments médicaux), les effets des courbes d'apprentissage, le changement éventuel des prix et des résultats futurs en raison des innovations incrémentales ainsi que l'impact organisationnel peuvent être inclus.

3.12.3 Présentation des incertitudes

Aux fins d'une meilleure communication des incertitudes aux décideurs, la présentation de l'incertitude paramétrique par un nuage de points et une courbe d'acceptabilité de coût-efficacité est privilégiée. Les résultats explorant l'incertitude dans un tableau sont également présentés, en précisant les paramètres qui ont un effet substantiel sur les résultats de la modélisation.

3.13 Seuil d'efficacité décisionnel

L'INESSS n'adhère à aucun seuil d'efficacité décisionnel pour émettre des recommandations.

Des repères d'efficacité de 50 000 \$ et de 100 000 \$ par AVAQ gagnée peuvent être employés pour l'interprétation des résultats de ses évaluations économiques.

La courbe d'acceptabilité peut renseigner sur la probabilité d'atteindre ces repères d'efficacité.

3.14 Équité en santé

L'équité en santé est perçue sous l'angle des effets sur la santé et de l'accès aux soins et services sociaux par la population. Les considérations d'équité ou d'iniquité peuvent relever, notamment, de la répartition inégale des résultats d'une intervention sur la santé ou encore des niveaux d'accès aux soins de santé et aux services sociaux.

Les résultats des analyses économiques sont pondérés également, sans égard aux caractéristiques des bénéficiaires ou des personnes concernées par l'intervention en santé ou en services sociaux.

Lorsque cela est approprié, notamment en présence de préoccupations notables et bien documentées ayant trait à l'équité en santé pour certains groupes de population, celles-ci devraient être énumérées. Aussi, il est recommandé que les résultats économiques pondérés également puissent être complétés par des analyses qualitatives et un processus délibératif portant sur des considérations d'équité en santé :

- réalisés à partir de l'information issue des différentes dimensions d'appréciation globale de la valeur des interventions en santé et en services sociaux;
- rigoureux et transparents.

3.15 Impacts environnementaux

À ce jour, les indicateurs sur les impacts environnementaux des interventions de santé et de services sociaux sont à l'étape de développement. La rigueur s'impose lorsqu'il s'agit de les intégrer dans les analyses d'évaluation économique.

Il est recommandé, lorsque cela est approprié au problème décisionnel, et que les données et l'information sur les impacts environnementaux des interventions de santé et de services sociaux sont notables, bien documentées et disponibles, de les présenter selon l'étape de leur cycle de vie, soit au cours des phases :

- de leur production;
- de leur distribution et entreposage;
- de leur utilisation;
- de leur élimination.

3.16 Présentation des résultats

Les résultats quantitatifs sont présentés sous forme de ratio coût-utilité différentiel (RCUD). En présence de plusieurs comparateurs, une analyse séquentielle est réalisée et les résultats sont présentés par la frontière d'efficacité. Les résultats sont présentés et interprétés en cohérence avec le problème décisionnel et ils sont pertinents pour éclairer la décision publique. L'analyse critique fait état des détails des composantes méthodologiques et des résultats de l'évaluation économique et elle précise les questions liées aux différentes incertitudes sur les résultats.

L'analyse est rédigée de manière compréhensible, dans un langage simple et accessible à tout lecteur non spécialisé. Elle détaille les résultats et les composantes méthodologiques de l'évaluation économique.

Pour les résultats de l'évaluation économique et les incertitudes qui y sont associées, il est suggéré :

- de les présenter et de les décrire clairement, de façon détaillée. Le niveau de détail fourni est cohérent avec le problème décisionnel et il doit permettre au lecteur de juger de leur validité;
- d'employer différentes formes de représentations des résultats (graphiques, tableaux, nuage de points) pour illustrer le positionnement de l'intervention par rapport à son comparateur. Des explications brèves accompagnent ces différentes formes de représentation des résultats.

CONCLUSION

Par ces lignes directrices, l'INESSS précise de manière synthétique les choix méthodologiques qui guident ses évaluations économiques des interventions en santé et en services sociaux. Il met ainsi en évidence les éléments qu'il est pertinent de considérer pour l'appréciation de la dimension économique, en cohérence avec son cadre d'appréciation de la valeur des interventions en santé et en services sociaux [INESSS, 2021].

Afin de maintenir des lignes directrices qui rendent compte des meilleures pratiques actuelles dans le champ de l'évaluation économique, les recommandations sur les choix méthodologiques évolueront en fonction des avancées scientifiques, dont les développements apportés par l'intelligence artificielle.

RÉFÉRENCES

- Bilcke J, Beutels P, Brisson M, Jit M. Accounting for methodological, structural, and parameter uncertainty in decision-analytic models: a practical guide. *Med Decis Making* 2011;31(4):675-92.
- Bluher M, Saunders SJ, Mittard V, Torrejon Torres R, Davis JA, Saunders R. Critical Review of European Health-Economic Guidelines for the Health Technology Assessment of Medical Devices. *Front Med (Lausanne)* 2019;6:278.
- Brennan A, Chick SE, Davies R. A taxonomy of model structures for economic evaluation of health technologies. *Health Econ* 2006;15(12):1295-310.
- Briggs AH, Weinstein MC, Fenwick EA, Karnon J, Sculpher MJ, Paltiel AD. Model parameter estimation and uncertainty analysis: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force Working Group-6. *Med Decis Making* 2012;32(5):722-32.
- Bucher HC, Guyatt GH, Griffith LE, Walter SD. The results of direct and indirect treatment comparisons in meta-analysis of randomized controlled trials. *J Clin Epidemiol* 1997;50(6):683-91.
- Bulamu NB, Kaambwa B, Ratcliffe J. A systematic review of instruments for measuring outcomes in economic evaluation within aged care. *Health and Quality of Life Outcomes* 2015;13(1):179.
- Caro JJ, Briggs AH, Siebert U, Kuntz KM. Modeling good research practices--overview: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force--1. *Value Health* 2012;15(6):796-803.
- CDA-AMC. Lignes directrices de l'évaluation économique des technologies de la santé au Canada. 4e édition éd. Ottawa : CDA-AMC; 2017. Disponible à : <https://www.cadth.ca/fr/lignes-directrices-de-levaluation-economique-des-technologies-de-la-sante-au-canada-4e-edition>.
- Coyle D, Haines A, Lee K. CADTH Methods and Guidelines. Extrapolating Clinical Evidence Within Economic Evaluations. *Canadian Journal of Health Technologies* 2023;3(5)
- Eddy DM, Hollingworth W, Caro JJ, Tsevat J, McDonald KM, Wong JB. Model transparency and validation: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force-7. *Med Decis Making* 2012;32(5):733-43.
- HAS. Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la Haute Autorité de Santé. France : Guide méthodologique 2020:118.
- ICER. Value Assessment Framework. 2023. Disponible à : https://icer.org/wp-content/uploads/2023/10/ICER_2023_VAF_For-Publication_101723.pdf.
- INAHTA-HTAi. HTAGlossary.net [site Web]. Disponible à : <https://htaglossary.net/Accueil> (consulté le Septembre 2024).

- INESSS. Énoncé de principes et fondements éthiques. Cadre d'appréciation de la valeur des interventions en santé et en services sociaux. Québec : INESSS; 2021.
- Ishak KJ, Proskorovsky I, Benedict A. Simulation and matching-based approaches for indirect comparison of treatments. *Pharmacoeconomics* 2015;33(6):537-49.
- Jackson CH, Bojke L, Thompson SG, Claxton K, Sharples LD. A framework for addressing structural uncertainty in decision models. *Med Decis Making* 2011;31(4):662-74.
- Khorasani E, Davari M, Kebriaeezadeh A, Fatemi F, Akbari Sari A, Varahrami V. A comprehensive review of official discount rates in guidelines of health economic evaluations over time: the trends and roots. *Eur J Health Econ* 2022;02:02.
- Mavranouzouli I, Brazier JE, Rowen D, Barkham M. Estimating a preference-based index from the Clinical Outcomes in Routine Evaluation-Outcome Measure (CORE-OM): valuation of CORE-6D. *Med Decis Making* 2013;33(3):381-95.
- Montmarquette C et Scott I. Taux d'actualisation pour l'évaluation des investissements publics au Québec. 2007. Disponible à : <https://cirano.qc.ca/index.php/fr/sommaires/2007RP-02>.
- NICE. NICE health technology evaluations: the manual. 2022. Disponible à : <https://www.nice.org.uk/process/pmg36>.
- OQLF. Vitrine linguistique [site Web]. Disponible à : <https://vitrinelinguistique.oqlf.gouv.qc.ca/> (consulté le Septembre 2024).
- Roberts M, Russell LB, Paltiel AD, Chambers M, McEwan P, Krahn M. Conceptualizing a model: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force-2. *Med Decis Making* 2012;32(5):678-89.
- Sharma D, Aggarwal AK, Downey LE, Prinja S. National Healthcare Economic Evaluation Guidelines: A Cross-Country Comparison. *Pharmacoeconom Open* 2021;5(3):349-64.
- Signorovitch JE, Sikirica V, Erder MH, Xie J, Lu M, Hodgkins PS, et al. Matching-adjusted indirect comparisons: a new tool for timely comparative effectiveness research. *Value Health* 2012;15(6):940-7.
- Weatherly HLA, Neves De Faria RI, Van den Berg B, Sculpher MJ, O'Neill P, Nolan K, et al. Scoping review on social care economic evaluation methods. CHE Research Paper Centre for Health Economics, University of York; 2017. Disponible à : https://www.york.ac.uk/media/che/documents/papers/researchpapers/CHERP150_social_care_evaluation_methods.pdf.
- YHEC. Glossary of Health Economic Terms [site Web]. 2016. Disponible à : <https://yhec.co.uk/resources/glossary/> (consulté le Septembre 2024).
- Zisis K, Naoum P, Athanasakis K. Qualitative comparative analysis of health economic evaluation guidelines for health technology assessment in European countries. *Int J Technol Assess Health Care* 2020;37:e2.

**Institut national
d'excellence en santé
et en services sociaux**

Québec



Siège social

2535, boulevard Laurier, 5^e étage
Québec (Québec) G1V 4M3
418 643-1339

Bureau de Montréal

2021, avenue Union, 12^e étage, bureau 1200
Montréal (Québec) H3A 2S9
514 873-2563

inesss.qc.ca

