

## Évaluation des technologies de santé au NICE\*: l'expérience d'une économiste de la santé française

\*The National Institute for Health and Clinical Excellence in the UK

Sandy Tubeuf, Research Fellow  
Academic Unit of Health Economics

### Plan de la présentation

- Présentation du NICE
- Évaluation des nouvelles technologies de santé
  - **Phase 1:**
    - Sélection de la technologie
  - **Phase 2:**
    - Rapport d'expertise (*ERG Report: Evidence Review Group Report*)
  - **Phase 3:**
    - Réunion du comité d'experts (*Committee Appraisal Meeting*)
    - Décision du comité (*Final Appraisal Determination*)
    - Formulation de la/des recommandations (*Guidance publication*)
- Influence des recommandations du NICE sur le NHS

Le tout assaisonné de quelques exemples éclairés

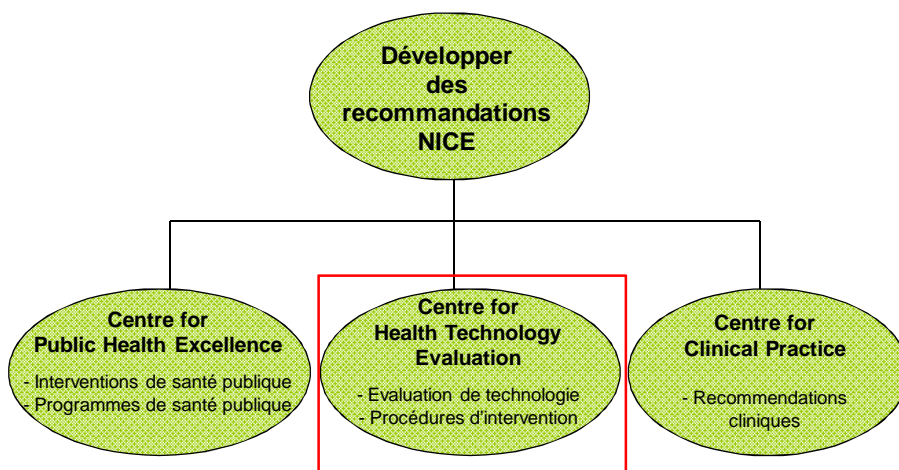
## Qu'est-ce que le NICE ?



Le National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)

- Créé en 1999 (Angleterre et Pays de Galle)
- Une entité du NHS mais une organisation indépendante chargée de fournir des recommandations nationales sur le traitement et le soin aux personnes qui font appel au NHS
- Nécessité de changer la "loterie des codes postaux" dans l'accès aux soins (disponibilité selon NHS *Primary Care Trust* area)
- Besoin de dépolitiser les décisions concernant les technologies devant être remboursées par le NHS (traitements, médicaments)
- Utilisation des meilleures méthodes disponibles pour répondre à des questions délicates
- Nombreuses activités ([www.nice.org.uk](http://www.nice.org.uk)) – Focus ici sur les rapports d'expertise des technologies de santé (*Single Technology Assessment*)

## Leeds Institute of Health Sciences



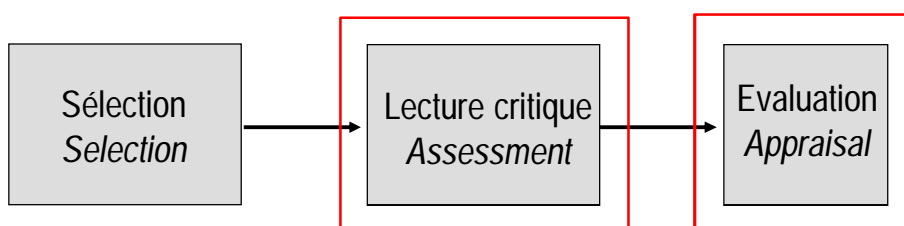
## Processus de décision pour l'évaluation des technologies de santé



UNIVERSITY OF LEEDS

*“Guidance on the clinical and cost-effectiveness of specific new or existing medicines and treatments leading to recommendations on the appropriate use of the technology on the NHS”*

*“The STA process will normally be used to ensure that NICE is able to issue guidance to the NHS in England and Wales on new technologies soon after their introduction into the UK market.”*



## De quelles technologies parle-t-on?



UNIVERSITY OF LEEDS

- Les technologies concernées:
  - Médicaments
  - Appareillage médicaux
  - Diagnostiques techniques
  - Techniques chirurgicales
  - Autres technologies thérapeutiques
  - Progrès technique
- Essentiellement des traitements médicamenteux mais pas exclusivement
- Toutes les nouvelles technologies ne sont pas sélectionnées

## Phase 1:

### Sélection (1)



UNIVERSITY OF LEEDS

- NICE évalue une technologie seulement si commissionné par le secrétaire d'Etat (*Department of Health*)
- Qui suggère des technologies?
  - La communauté clinique (type d'intervention chirurgicale, ...)
  - Patient « Safety First » Report
  - Quiconque via le site web
- Un *comité extérieur* identifie les priorités par rapport aux critères suivants:
  - Priorité du NHS (population concernée, maladie importante, traitement controversé ...)
  - Vrai besoin clinique
  - Gain en santé potentiellement significatif
  - Gain financier potentiellement significatif
  - Possibilité de dégager des moyens
- Technologies souvent évaluées par « vagues »
- Une fois NICE commissionné, le gouvernement ne peut influencer la/les recommandations

## Répartitions des technologies suggérées au DoH en 2006-2007



UNIVERSITY OF LEEDS

Catégories	Nombre reçus
Web	613
National Horizon Scanning Centre	107
Consultants liés aux « pratiques »	44
Santé publique	40
Experts	32
Personnel du NICE	15

## Phase 1:

### Sélection (2)



UNIVERSITY OF LEEDS

- NICE a des bureaux à Londres et à Manchester pour l'évaluation des technologies
- Composition d'une équipe NICE pour l'évaluation d'une technologie:
  - Un co-directeur
  - Un chef de projet
  - Un support administratif
  - Un expert technique
  - Un responsable technique
- NICE est informé que le fabricant souhaite soumettre une technologie

## Phase 1:

### Sélection (3)



UNIVERSITY OF LEEDS

- **Semaine 0 :**
  - NICE invite le fabricant à remplir un document standard pour soumettre la technologie
- **Semaine 2:**
  - Le fabricant fournit un document sur la problématique (*Decision Problem*):
 

- Population	- Comparateurs (autres technologies disponibles)
- Type d'intervention	- Autres aspects importants
- **Semaine 8 :**
  - Le fabricant envoie son dossier complet:
    - Résultats clinique et économique
    - Modèle économique qui fonctionne (Excel/ TreeAge/autres)

## Phase 1:

### Sélection (4)



UNIVERSITY OF LEEDS

- NICE informe de l'évaluation en cours:
  - Les organisation professionnelles associées
  - Les associations de patients, d'aidants
  - DoH, Welsh Assembly Government, PCT
- NICE consulte pour leur opinion sur la technologie:
  - Les agences du NHS (NHS Confederation, NHS Quality Improvement Scotland)
  - Centres Nationaux de Collaboration
  - Chercheurs
  - Fabricants des technologies comparatives
- NICE commissionne un comité et un président de comité
  - Membres du comité invités à commenter s'ils le souhaitent
  - Sélection de 2 experts cliniques et 2 experts représentant les patients
- NICE commissionne formellement les experts:
  - 6 "universités" actuellement sous contrat (*National Collaborating Centre for Health Technology Assessment*)

## Phase 2:

### Lecture critique (1)




UNIVERSITY OF LEEDS

- Rapport d'expertise indépendant réalisé par une équipe académique (*ERG=Evidence Review Group*) formellement commissionnée par NICE
- Étapes de la production du rapport de l'ERG:
  - **Semaine 0:**  
NICE envoie à l'ERG la soumission complète du fabricant (dossier + modèle d'évaluation économique en version électronique)
  - **Semaine 2:**  
L'ERG produit un ensemble de questions de clarifications
  - **Semaine 4:**  
Le fabricant renvoie les réponses à tous les points de clarifications
  - **Semaine 8:**  
L'ERG renvoie son rapport au NICE  
NICE fait suivre le rapport aux membres du comité de décision
  - **Semaine 11:**  
Réunion téléphonique (*Premeeting briefing*): ERG + NICE + Chair + rapporteurs aspects clinique et économique (*Lead team*)
  - **Semaine 12**  
Réunion des membres du comité de décision (*Committee Appraisal Meeting*)

## Phase 2:

Lecture critique (2)



UNIVERSITY OF LEEDS

Avant 2005:


- Contribution majeure de l'ERG:
  - Accès à des données non publiées
  - Développement d'un nouveau modèle
  - Comparaison multiple (*Multiple Technology Assessment*)
- Importance donnée aux différences existantes entre les résultats du fabricant et ceux des analyses faites par le ERG
- Débat dans la décision : centré sur le modèle

Nouvelle procédure:

- Gagner du temps (mise sur le marché, maladie (e.g. anticancéreux))
- Un seul fabricant (*Single Technologie Assessment*)
- Revue critique du dossier du fabricant: emphase sur les analyses fournies par le fabricant et moins d'analyses indépendantes supplémentaires

## Phase 2:

La méthode préférée par NICE - le cas de référence



UNIVERSITY OF LEEDS


3 éléments clefs dans le rapport:

1. Revue systématique des résultats cliniques et économique
  - Effets sur la santé: amélioration et effets secondaires, qualité de vie (limitations, douleurs)
  - Coûts: direct et associés, coûts supportés par le NHS et les services sociaux a la personne
2. Analyse coût-efficacité / coût-utilité
3. Rapport critique du dossier soumis par le fabricant

Rapport préparé en accord avec les critères de qualité établis par le HTA programme

Element of health technology assessment	Reference case	Section providing details
Defining the decision problem	The scope developed by the Institute	5.3.2
Comparator	Alternative therapies routinely used in the NHS	5.3.2
Perspective on costs	NHS and PSS	5.3.3
Perspective on outcomes	All health effects on individuals	5.3.3
Type of economic evaluation	Cost-effectiveness analysis	5.3.4
Synthesis of evidence on outcomes	Based on a systematic review	5.4.1
Measure of health benefits	Quality-adjusted life years (QALYs)	5.5
Description of health states for calculation of QALYs	Health states described using a standardised and validated generic instrument	5.5
Method of preference elicitation for health state valuation	Choice-based method, for example, time trade-off, standard gamble (not rating scale)	5.5
Source of preference data	Representative sample of the public	5.5
Discount rate	An annual rate of 3.5% on both costs and health effects	5.7.2
Equity position	An additional QALY has the same weight regardless of the other characteristics of the individuals receiving the health benefit	5.9.7

Source: National Institute for Clinical Excellence (NICE). *Guide to the Methods of Technology Appraisal*. London: NICE, 2004.

**Phase 3:**  
*Evaluation (1)*

**UNIVERSITY OF LEEDS**


- Réunion du comité (*Committee Appraisal Meeting*)

**Quoi ?**

- Évidences écrites
  - Dossier du fabricant
  - Rapports des experts extérieurs
  - Rapport de l'ERG
  - Résumé du NICE produit suite à la réunion téléphonique
- Évidences orales
  - Spécialistes cliniques
  - Patients et représentants des patients
  - Membres de l'ERG

**Qui ?**

- Plein de monde...

**Phase 3:**  
*Evaluation (2)*

**UNIVERSITY OF LEEDS**


- Les membres du comité
 

*“The membership will be drawn from the NHS, the voluntary sector, other relevant representatives and community members and shall reflect the spread of interests and expertise required for the business of the Committee.”*

*“The Committee will normally have 33 voting members including the Chair which may vary in accordance with the needs of the Committee.”*
- Équipe du NICE
 

- ERG
  - 2 spécialistes cliniques
  - 2 patients ou représentants des patients

*“Expert advisors will be invited to attend and address the Committee to provide expert testimony to Committee members to assist in the consideration and interpretation of evidence. They will not engage with formulating recommendations, will not have voting rights and will not count towards the quorum.”*

Phase 3:
UNIVERSITY OF LEEDS 

*Evaluation (3)*

- Les membres du comité
- Equipe technique NICE
- ERG

Parties 1 et 2 de la réunion mais ne participent pas à la décision

- 2 spécialistes cliniques
- 2 patients ou représentants des patients


Partie 1 de la réunion

• **D'autres personnes présentes?**

- Membres dans le public
  - Représentants du fabricant
  - Presse, Citoyens

*"The public and representatives of the press shall be afforded facilities to observe all formal meetings of the Committee for part 1 of the agenda but shall not be entitled to ask questions or otherwise engage in the business of the Committee"*

- Membres du NICE
  - Se présentent au début de la réunion
  - Sont autorisés à rester en partie 2
  - Ne prennent pas la parole

Phase 3:
UNIVERSITY OF LEEDS 

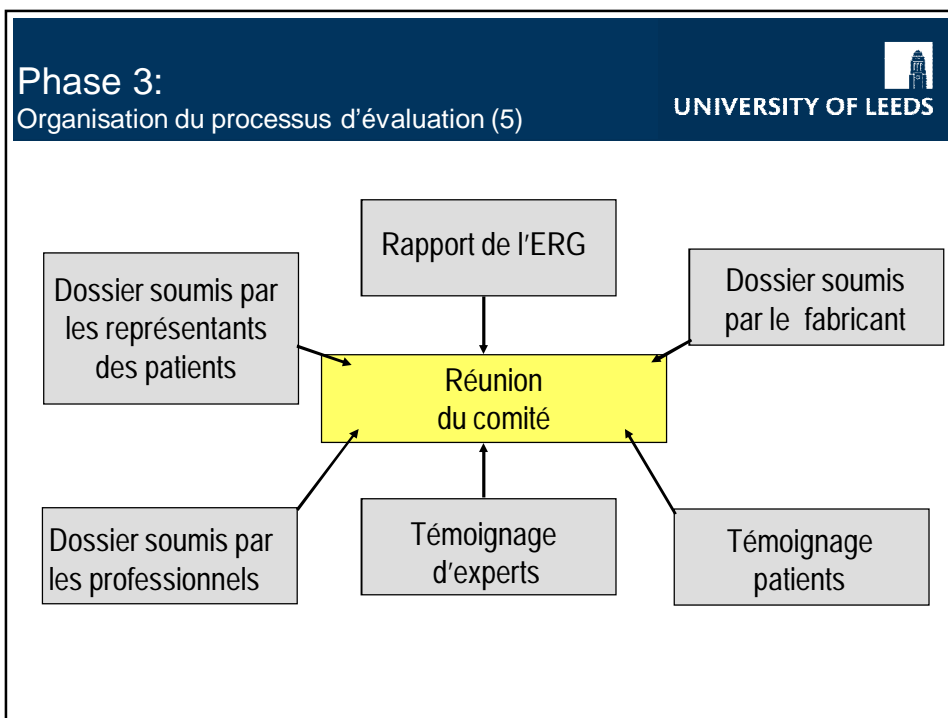
*Evaluation (4)*

- "Members of the Committee will be expected to abide by the seven principles for the conduct of public life as recommended by the Nolan Committee which are:
  - selflessness
  - integrity
  - objectivity
  - accountability
  - openness
  - honesty
  - leadership
- "The Chair and members of the Committee will be appointed for a period of 3 years. This may be extended by mutual agreement to a further term of 3 years and up to a maximum term of office of 10 years."

Dr Jane Adam MB BS, MRCP, FRCR <i>Chairman, Consultant Radiologist, London</i>	Professor Philip Home <i>Professor of Diabetes Medicine, University of Newcastle</i>
Professor A E Ades BSc PhD MSc <i>Senior Scientist, University of Bristol</i>	Dr Terry John <i>General Practitioner, London</i>
Dr Amanda Adler MD, PhD, FRCP <i>Consultant physician, Cambridge</i>	Dr Vincent Kirkbride MB BS MRCP MSc MBA MA <i>Consultant Neonatologist, Regional Neonatal Intensive Care Unit, Royal Hallamshire Hospital, Sheffield</i>
Dr Tom Aslan <i>General Practitioner, London</i>	Dr Ian Lewin, BSc MD FRCP(Lond) FRCP(Edin) <i>Consultant Physician and Endocrinologist</i>
Dr Matt Bradley BSc PhD <i>AstraZeneca Global Research and Development.</i>	Dr Alec Miners <i>Health Economics Lecturer, London</i>
Mrs Elizabeth Brain <i>Lay Representative</i>	Dr James Moon, BA MB BCh MRCP MD <i>Senior Lecturer and consultant Cardiologist</i>
Dr Robin Carlisle DM MFPH <i>Deputy Director of Public Health at Rotherham PCT</i>	Dr David Newsham DBO MSc PhD <i>Lecturer in Orthoptics</i>
Professor Karl Claxton <i>Senior lecturer, University of York</i>	Dr Ann Richardson PhD <i>Lay Representative</i>
Dr Simon Dixon <i>Senior Research Fellow, University of Sheffield.</i>	Ms Angela Schofield <i>Chairman of Bournemouth and Poole Teaching PCT</i>
Dr Fiona Duncan RN BSc MSc, PhD <i>Clinical Nurse Specialist in Acute Pain Management</i>	Mike Spencer M Pharm. MRPharmS. DMS <i>General Manager, Cardiff and Vale NHS Trust</i>
Dr Paul Ewings PhD <i>Director of Peninsula and Somerset R&amp;D Support Units</i>	Professor Iain Squire <i>Senior Lecturer in Clinical Pharmacology</i>
Professor John Geddes M.D. <i>Professor of Epidemiological Psychiatry, Oxford, UK</i>	Mr. David Thomson <i>Lay Representative</i>
Mr John Goulston BSc (Econ) Hons, CPFA <i>Director of Finance, Barts and The London NHS Trust</i>	Dr Luke Twelves <i>General Practitioner, North Huntingdon</i>
Adrian Griffin MSc, BSc <i>Director of Health Outcomes, Johnson &amp; Johnson Medical Ltd</i>	Dr Paul Watson MA MB BChir MPH DCH FFPH <i>Director of Commissioning, East of England SHA</i>
Dr Richard Harling MBBS MSc FFPH <i>Director of Public Health, Worcestershire</i>	



UNIVERSITY OF LEEDS



## Phase 3:

*Evaluation (6)*



UNIVERSITY OF LEEDS

### Comment ?

#### Partie 1 (1h30/2h environ)

- Présentation de la problématique (Chair)
- Présentation clinique:
  - Conditions de santé dans lesquelles la technologie est indiquée
  - Place de la technologie dans le parcours de soins
  - Comparateurs
  - Efficacité clinique
- Présentation économique:
  - Caractéristiques du modèle
  - Résultats de l'analyse coût/efficacité
- Problèmes majeurs soulevés par l'ERG
- Identification des problèmes que le comité doit considérer
- Questions de clarifications à l'ERG si besoin
- Spécialistes cliniques invités à prendre la parole
- Patients et représentants des patients invités à prendre la parole

## Phase 3:

*Evaluation (7)*



UNIVERSITY OF LEEDS

#### Partie 2 (30 minutes environ)

- Prise de paroles des membres du comité
- Discussion des problèmes et des faits
- Rappel des éléments pointés par les patients et experts cliniques
- Questions de clarifications à l'ERG (pointues et précises)
- Au bout de 20 minutes, le Chair commence à récapituler les éléments de discussion et à orienter la décision

#### Points de discussion :

- Est-ce coût-efficace ? Coût-efficacité entre £20,000 et £30,000/QALY
- Est-ce que le médicament entre dans les soins de fin de vie (*End of Life Care*) ? peut aller jusque £50,000/QALY maximum
- Est-ce que le comité veut faire une recommandation pour un sous-groupe de patients en particulier?
- Est-ce qu'il y a trop d'incertitude pour prendre une décision ?

### Phase 3:

*Evaluation (7)*

UNIVERSITY OF LEEDS



- Les différentes décisions possibles:

#### YES

- Remboursement sans condition (technologie coût-efficace)
- Remboursement conditionnel à des recherches plus avancées ou poursuivies
- Remboursement recommandé sur un certain type de patients

#### NO

- Refus de la technologie

#### MINDED NO

- Document de clarification pour le fabricant (Exceptionnel)

### Phase 3:

*Evaluation (8)*

UNIVERSITY OF LEEDS



A l'issue de la réunion:

- Recommandation finale (*Final Appraisal Determination*)  
ou
- Consultation supplémentaire (*Appraisal Consultation Document*)

Si ACD:

- Préparation et consultation sur l'ACD
- Revue de l'ACD
- 2eme Réunion d'Experts
- Production d'un FAD
- Préparation de la recommandation finale (FAD):
  - Description de la technologie
  - Éléments principaux du dossier du fabricant
  - Points critiques majeurs de l'ERG
  - Points discutés par le comité
  - Éléments pris en compte par le comité pour interpréter les résultats

### Phase 3:

*Evaluation (9)*



UNIVERSITY OF LEEDS

*The Committee will submit its recommendations to the Institute's Guidance Executive which will act under delegated powers of the Board in considering and approving the guidance for publication."*

- Si approuvé : NICE site web + information transférée aux différents représentants
- Dans tous les cas
  - Opportunité de faire appel
    - Fabricant
    - Les organisation professionnelles associées
    - Les associations de patients, d'aidants
  - Motivations
    - Erreur dans le processus
    - Contradiction délibérée
    - Abus de pouvoir du NICE
  - Appels en audition publique
  - Révision de la décision par la suite

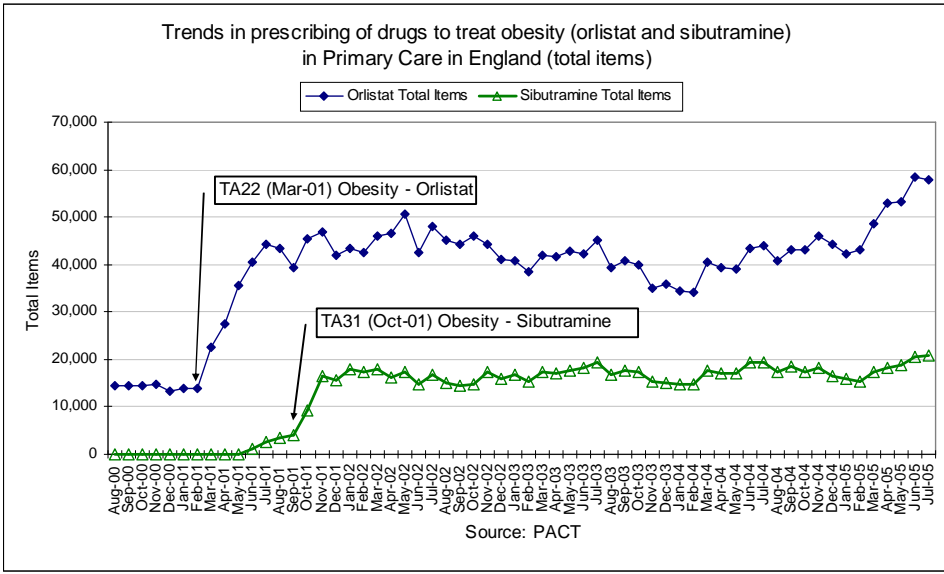
### Est-ce que ça sert à quelque chose?



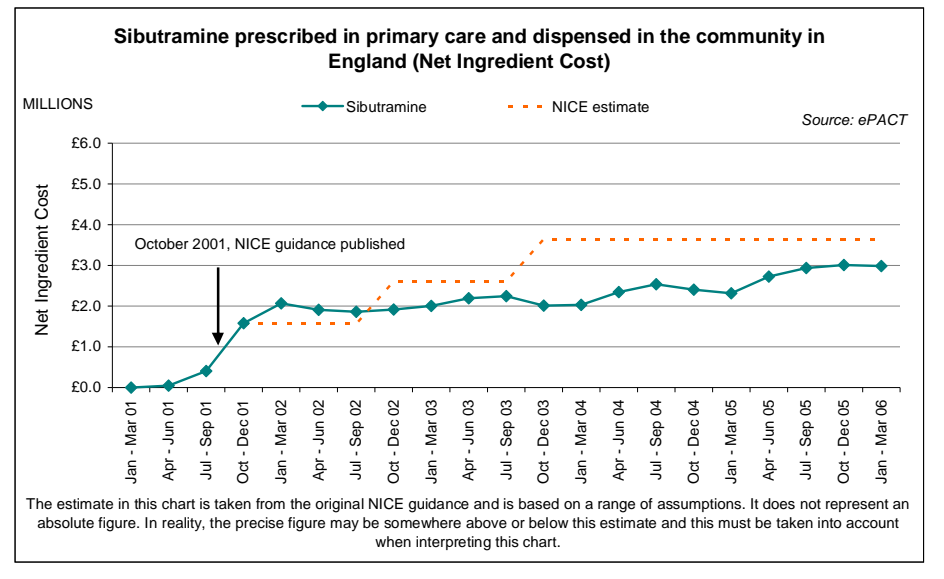
UNIVERSITY OF LEEDS

- Est-ce que les recommandations du NICE sont prises en compte par le NHS ?

# Prescriptions de médicaments contre l'obésité : Orlistat et Sibutramine



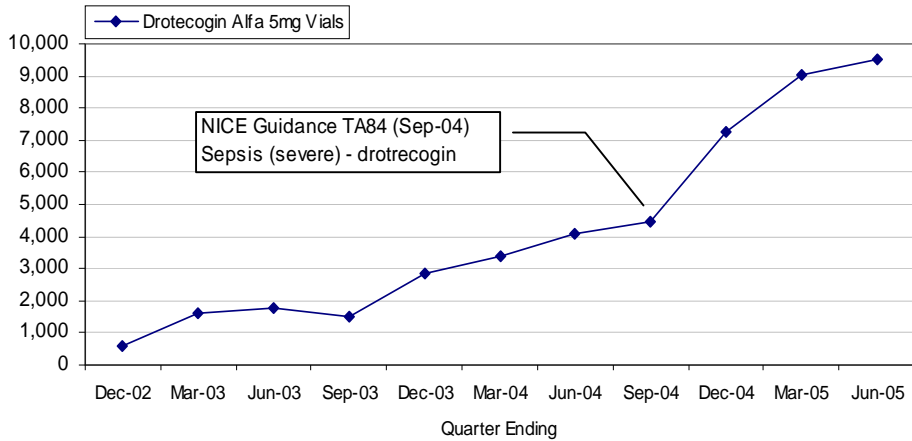
# Coût d'Orlistat: estimation du NICE et coût réel



## Prescription de Drotrecogin alfa pour traiter les infections à l'hôpital



Trends in prescribing of drotrecogin alfa (activated) to treat severe sepsis in Hospitals in England to June 2005

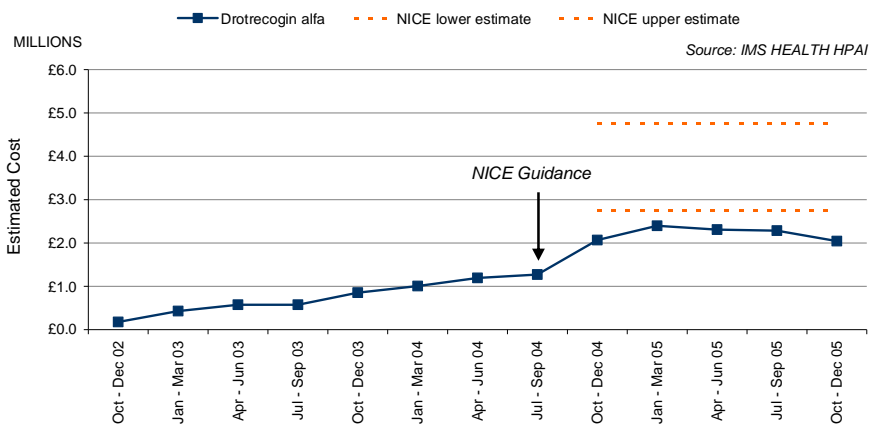


Source: IMS HPAI

## Coût de Drotrecogin: estimation du NICE et coût réel



Drotrecogin alfa (activated) issued in hospitals in England

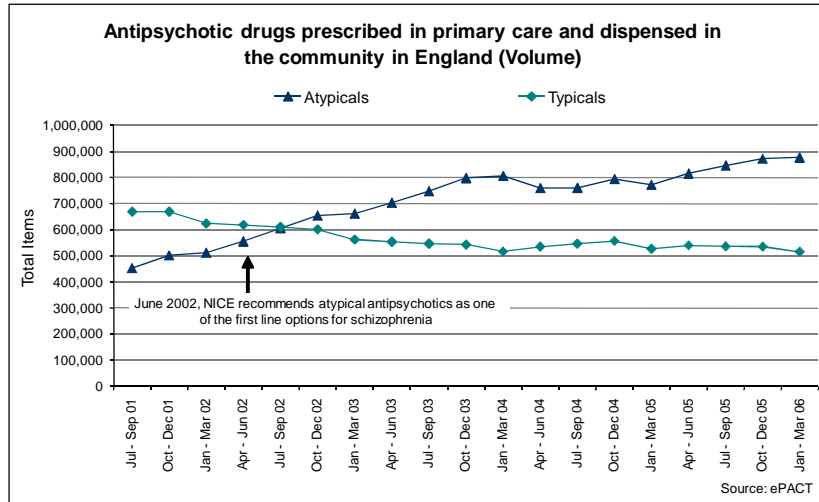


Source: IMS HEALTH HPAI

The estimate in this chart is taken from the original NICE guidance and is based on a range of assumptions. It does not represent an absolute figure. In reality, the precise figure may be somewhere above or below this estimate and this must be taken into account when interpreting this chart.

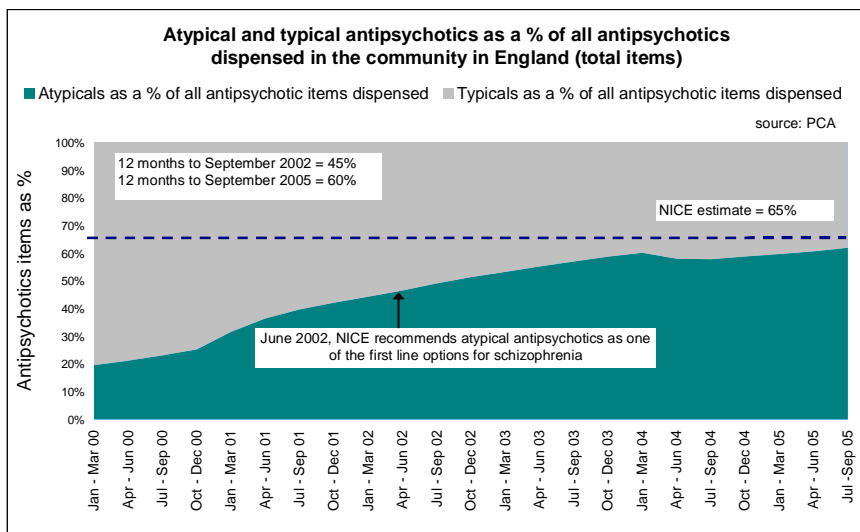
## Prescription d'anti-psychotiques

UNIVERSITY OF LEEDS



## Part de la technologie parmi les anti-psychotiques prescrits

UNIVERSITY OF LEEDS



## Est-ce que ça sert à quelque chose?



UNIVERSITY OF LEEDS

- Variable selon la technologie et les caractéristiques locales (hôpitaux, PCT, professionnels, etc)
- Mise en place de la recommandation requise dans les 3 mois
- Le plus gros problème est le financement : *resource-constrained system*
- NICE perçu par les GPs comme indépendant de l'industrie mais pas du gouvernement
- La moitié des GPs sont satisfaits du NICE

## Conclusion (1):

*Les aspects positifs*



UNIVERSITY OF LEEDS

- NICE est « prescriptif » en ce qui concerne les méthodes
- Véritable effort du NICE pour utiliser l'économie dans la prise de décision
- NICE tient à faire appel aux académiques pour une évaluation indépendante
- Les HTA ont favorisé de nouveaux développements méthodologiques: e.g.: *mixed treatment comparisons; probabilistic models*
- Incitations professionnelles: besoin de personnel qualifié pour ce type de méthodes et de recherche (important recrutements dans unités académiques)
- Le fonctionnement du NICE est transparent
- NICE a des caractéristiques particulières qui ne rencontrent pas toutes le même succès

## Conclusion (2)

*Les aspects critiquables*



UNIVERSITY OF LEEDS

- Méthode appropriée seulement si le nombre de technologies comparatives reste limité
- Que faire si l'on ne peut pas mesurer certains éléments primordiaux à la décision (utilité, ...) ?
- A quoi donner la priorité (technologie, méthode, données, résultats) ?
- Recommandation basée quelquefois sur des résultats incertains

### Quoi d'autre?

- Procéder au cas par cas
- Produire des avis sur les traitements qui doivent être proscrits
- Augmenter le suivi de l'adoption des recommandations



UNIVERSITY OF LEEDS

Sandy Tubeuf  
Academic Unit of Health Economics  
[s.tubeuf@leeds.ac.uk](mailto:s.tubeuf@leeds.ac.uk)