

2m 11. 26 30. 10

UNIVERSITÉ DE MONTRÉAL

LA PROPENSION À PAYER POUR UN MÉDICAMENT HYPOTHÉTIQUE DU CANCER DU  
SEIN MÉTASTATIQUE

PAR  
JULIE PICHÉ

DÉPARTEMENT PHARMACOLOGIE  
FACULTÉ DE MÉDECINE

MAÎTRE ÈS SCIENCES (M.Sc.)  
EN PHARMACOLOGIE

AVRIL, 98

©JULIE PICHÉ , 30 AVRIL 98



01 02 25 1198

W

4

U58

1998

V.078

DEPARTMENT OF NEUROLOGY

THE UNIVERSITY OF MICHIGAN MEDICAL CENTER

ANN ARBOR, MICHIGAN

1998

11/11/98

DEPARTMENT OF NEUROLOGY

ANN ARBOR, MICHIGAN

DEPARTMENT OF NEUROLOGY

ANN ARBOR, MICHIGAN

1998

DEPARTMENT OF NEUROLOGY



UNIVERSITÉ DE MONTRÉAL  
Faculté des études supérieures

Ce mémoire intitulé:

**LA PROPENSION À PAYER POUR UN MÉDICAMENT HYPOTHÉTIQUE DU CANCER DU  
SEIN MÉTASTATIQUE**

**PRÉSENTÉ PAR**

**JULIE PICHÉ**

a été évalué par le jury composé des personnes suivantes:

\_\_\_\_\_ : Directeur  
Dr. Jacques LeLorier

\_\_\_\_\_ : Président-rapporteur  
Dr. Pierre Biron

\_\_\_\_\_ : Membre du jury  
Dr. Jean Cusson

Mémoire accepté le: 02.06.1998

## SOMMAIRE

Ce mémoire présente le développement d'une méthodologie, et les résultats d'une étude réalisée dans le but de mesurer et valider la valeur économique apportée par un traitement fictif et hypothétique du cancer du sein métastatique, lui-même destiné à améliorer la qualité de vie. Le coût élevé des nouveaux traitements du cancer du sein est tel que le choix de la thérapie présente des défis du point de vue éthique, clinique et économique et nous incite à faire de telles études. Dans cette étude, la propension à payer (PAP) a été utilisée comme unité de mesure de la valeur économique. La PAP représentait le montant maximum que l'individu n'a pas eu à payer, mais qu'il aurait payé, pour améliorer la qualité de vie offerte par le traitement chimiothérapeutique, tenant ainsi compte du degré de satisfaction du consommateur.

Dans un marché compétitif, il est possible de mesurer la PAP à partir de la valeur au marché. Mais le marché des médicaments présente des distorsions qui font en sorte que la valeur au marché des médicaments ne reflète pas la PAP réelle. Dans ce contexte, la PAP doit être mesurée à l'aide de la méthode de détermination hypothétique. La méthode de détermination hypothétique de la PAP est sujette à de nombreux biais. Les valeurs de la PAP obtenues à l'aide de cette méthode doivent donc être obtenues à partir d'un instrument valide et standardisé.

L'étude pilote a permis de standardiser et valider un instrument de mesure de la PAP dans un groupe de 25 infirmières travaillant dans l'une des deux unités de l'hôpital Hôtel-Dieu de Montréal: l'unité médicale et l'unité chirurgicale. Un intervieweur a présenté à chacune des infirmières un scénario comprenant deux parties. La première partie était constituée d'un scénario hypothétique, dans lequel les infirmières devaient s'imaginer qu'elles avaient la maladie puis révéler le montant maximum qu'elles étaient prêtes à payer pour recevoir le traitement de leur choix (traitement hypothétique). Cette partie avait pour but de mesurer la PAP. Dans la deuxième partie, les infirmières devaient répondre dans un

contexte d'assurance et révéler le montant mensuel qu'elles étaient prêtes à payer pour recevoir le traitement de leur choix s'il s'avérait nécessaire. Cette partie permettait de mesurer le PO.

Pour valider les valeurs de la PAP et de la PO, nous avons utilisé la validité de construit. La validité de construit consiste à vérifier si des facteurs tels que les caractéristiques démographiques, susceptibles d'influencer la demande pour les services de santé, sont aussi associées à une variation de la PAP et du PO. Cette méthode de validation est basée sur l'hypothèse que les mêmes facteurs responsables de la variation de la demande causent une variation de la PAP et du PO. Les liens de corrélations entre les variables socio-économiques et la PAP/ PO ont été analysés à l'aide de la méthode de régression linéaire appliquée à des données organisées en rangs.

Les résultats révèlent des valeurs significativement plus élevées de la PAP/PO chez les infirmières travaillant dans l'unité de chirurgie, en tenant compte des facteurs qui ont à priori un impact important sur la PAP/PO (salaire et/ou âge). La variable salaire n'est significative que dans les modèles de prédiction du PO. Ce résultat constitue une preuve de validation des valeurs du PO contrairement aux valeurs de la PAP. Ceci pourrait être attribué au fait que la question posée dans un contexte d'assurance reflète mieux la réalité du marché que vivent les Canadiens, par rapport à la PAP, question à laquelle les individus ne sont pas confrontés au moment de recevoir un médicament en milieu hospitalier. La qualité du scénario est aussi un facteur déterminant de la validité des valeurs dérivées.

Les auteurs concluent qu'il serait pertinent de mesurer la PAP/PO à plus grande échelle chez des infirmières ayant une expérience en oncologie, en utilisant le même support visuel et un scénario similaire. Idéalement ce groupe devrait être constitué d'au moins 568 infirmières.

## TABLE DES MATIÈRES

SOMMAIRE.....	III
LISTE DES TABLEAUX.....	VIII
LISTE DES FIGURES.....	IX
LISTE DES ABRÉVIATIONS.....	X
REMERCIEMENTS.....	XI
AVANT-PROPOS.....	XII
<b>1.0 GÉNÉRALITÉS D'UNE ANALYSE COÛTS-AVANTAGES .....</b>	<b>1</b>
<b>2.0 FONDEMENTS MÉTHODOLOGIQUES .....</b>	<b>5</b>
2.1 ANALYSE DANS UN MARCHÉ COMPÉTITIF: NOTIONS DE MICRO-ÉCONOMIE .....	5
2.1.1 Définition d'un marché compétitif .....	5
2.1.2 Description des courbes de la demande et de l'offre pour un médicament tel que le Seldane .....	7
2.1.3 Exemple d'utilisation des courbes d'offre et de demande pour évaluer l'impact d'un projet .....	13
2.1.4 Calcul de la PAP pour un ensemble d'individus (une population) .....	18
<b>3.0 ANALYSE EN PRÉSENCE DE DISTORSIONS OU EN L'ABSENCE DE MARCHÉ .....</b>	<b>19</b>
3.1 PROBLÉMATIQUE DES DISTORSIONS .....	19
3.2 DÉTERMINATION HYPOTHÉTIQUE DE LA PAP .....	23
3.2.1 Le scénario .....	24
3.2.2 La question .....	26
3.2.3 Mesure de la validité .....	29

<b>4.0</b>	<b>PROPENSION À PAYER EN SITUATION D'ASSURANCE -PRIX D'OPTION-</b>	<b>39</b>
<b>5.0</b>	<b>REVUE DE LA LITTÉRATURE</b>	<b>43</b>
<b>6.0</b>	<b>ASPECTS CONCEPTUELS</b>	<b>52</b>
6.1	NOTIONS D'UTILITÉ	52
6.2	POSTULATS DE BASE ET CONSIDÉRATIONS ÉTHIQUES	55
6.3	COMPARAISON DE LA QUALITÉ DE VIE AVEC LA PROPENSION À PAYER	59

<b>PARTIE II: ÉTUDE DE FAISABILITÉ DE LA MÉTHODE DE DÉTERMINATION HYPOTHÉTIQUE DE LA PROPENSION À PAYER POUR UN TRAITEMENT LE CANCER DU SEIN MÉTASTATIQUE</b> .....	65
<b>1- INTRODUCTION</b> .....	65
<b>2. MÉTHODOLOGIE:</b> .....	68
2.1 ÉCHANTILLON .....	68
2.2 SCÉNARIO .....	69
2.3 VALIDATION .....	71
<b>3. RÉSULTATS</b> .....	73
<b>4. DISCUSSION</b> .....	79
<b>5. CONCLUSION</b> .....	85
<b>BIBLIOGRAPHIE</b> .....	88
<b>APPENDICE I</b>	
TABLEAUX ISSUS DE LA REVUE DE LA LITTÉRATURE .....	I
<b>APPENDICE II</b>	
INSTRUMENT .....	II
<b>APPENDICE III</b>	
SCÉNARIO .....	III
<b>APPENDICE IV</b>	
CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ .....	IV

## *LISTE DES TABLEAUX*

I-	DIAGRAMME DE PARETO: EFFET DE LA RÉDUCTION DU PRIX DU SELDANE.....	17
II-	TYPES DE BIAIS.....	32
III-	CARACTÉRISTIQUES DES ÉTUDES.....	47
1V-	NOMBRE D'ÉTUDES (%) DONT LES VARIABLES ÉTAIENT SIGNIFICATIVES.....	49
V-	NOMBRES D'ÉTUDES (%) DONT LES VARIABLES ÉTAIENT SIGNIFICATIVES EN FONCTION DES DIFFÉRENTS TYPES DE QUESTIONS.....	50
VI-	PROPENSION À PAYER VS QUALITÉ DE VIE.....	64
VII-	CARACTÉRISTIQUES DE L'ÉCHANTILLON.....	74
VIII-	CORRÉLATIONS DE SPEARMAN.....	75
IX-	MODÈLES DE RÉGRESSION.....	77
X-	VALEURS D'OPTION.....	78
XI-	DESCRIPTIONS DES ÉTUDES ISSUES DE LA REVUE DE LITTÉRATURE.....	APPENDICE I

*LISTE DES FIGURES*

1. COURBE HYPOTHÉTIQUE DE LA DEMANDE/OFFRE  
DU SELDANE PENDANT UNE ANNÉE POUR UN  
CONSOMMATEUR.....12
2. COURBES DE DEMANDE DU SELDANE.....13
3. NOUVELLE COURBE HYPOTHÉTIQUE DE LA DEMANDE/OFFRE DU  
SELDANE PENDANT UNE ANNÉE POUR UN  
CONSOMMATEUR.....16
4. INSTRUMENT.....APPENDICE II

*LISTE DES ABRÉVIATIONS*

<b>AN</b>	Avantage net
<b>CA</b>	Coûts-Avantages
<b>CI</b>	Intervalle de confiance
<b>CO</b>	Coût d'opportunité
<b>D</b>	Courbe de la demande
<b>EXP</b>	Nombre d'années d'expérience de travail
<b>MSSS</b>	Ministère de la Santé et des Services Sociaux
<b>O</b>	Courbe de l'offre
<b>PAP</b>	Propension à payer
<b>PO</b>	Prix d'option
<b>QDV</b>	Qualité de vie
<b>VAN</b>	Valeur actuelle nette
<b>WTP</b>	"Willingness to pay"
<b>"R<sup>2</sup>"</b>	Coefficient de détermination
<b>"r"</b>	Coefficient de corrélation

**REMERCIEMENTS**

**À MES PROFESSEURS**

STATISTIQUES: DR. MICHAEL ABRAHAMOWICZ, McGill  
 DR. CLÉMENT DASSA, U. Montréal  
 DR. JEAN LAMBERT, U. Montréal  
 ÉPIDÉMIOLOGIE: DR. JEAN-PAUL COLLET, U. McGill  
 DR. JACQUES LELORIER, U. Montréal  
 DR. GILLES PARADIS, U. McGill  
 ÉCONOMIE: DR. GILLES GAUTHIER, HEC

**AU CLINICIEN ONCOLOGUE**

DR. JEAN LATREILLE, Hôtel-Dieu de Montréal

**POUR M'AVOIR PERMIS D'ACQUÉRIR UNE EXPÉRIENCE PRATIQUE**

Dr. Jean Cusson m'a autorisé à assister au conseil consultatif de pharmacologie de l'Hôtel-Dieu.

M. Robert Grignon (Eckler-Santé), mon employeur actuel, m'a permis d'intégrer les notions d'économie, de statistique et d'épidémiologie dans la pratique de l'économie de santé, tout en me permettant de poursuivre mes études.

**SOUTIEN FINANCIER**

RHÔNE-POULENC-RORER: Dr. Anh Ngo Hô

BRISTOL-MYERS SQUIBB:

Martine Drolet et Dr. Bruno Jolain

**POUR LEUR SOUTIEN MORAL ET LEUR ENCOURAGEMENT**

Mr. JEAN CLAVET

DR. JACQUES LELORIER

DR. ANH NGO HÔ

Mme FRANÇOISE PICHÉ

## AVANT-PROPOS

Le traitement du cancer métastatique du sein a pour objectifs principaux de soulager les symptômes, de préserver ou améliorer la qualité de vie et si possible de prolonger la survie (Osoba D). Les résultats d'études récentes indiquent que les nouvelles thérapies d'introduction récente utilisées pour traiter le cancer métastatique du sein (les taxanes) semblent améliorer la qualité de vie (QDV) par rapport aux traitements standards (Osoba D), sans toutefois prolonger la survie de façon significative. Dans ce contexte, l'amélioration de la qualité de vie représente un critère majeur qui détermine le choix de la chimiothérapie chez des patients atteints de cancer métastatique (Seidman AD). Des études mesurant le degré d'amélioration de la QDV par ces nouveaux agents sont en cours.

Bien que la nouvelle classe thérapeutique des taxanes puisse apporter des bénéfices au niveau de la qualité de vie, le coût élevé des médicaments de cette classe est tel que le choix de la thérapie présente des défis du point de vue éthique, clinique et économique. En effet le coût moyen additionnel d'acquisition des nouveaux traitements alternatifs au Canada représente un montant de 1 à 2 milliards de dollars par année\*. Ce calcul tient compte du coût additionnel des nouvelles thérapies médicamenteuses par rapport aux traitements standards (2 à 3 fois plus élevé), de la prévalence du cancer métastatique du sein dans l'ensemble de la population au Canada (4%) et de la population de femmes au Canada âgées entre 40 et 90 ans en 1996 (6 196 000).

\* Données issues des projections de Statistiques Canada 1997: Coût moyen total additionnel d'acquisition =  
Prévalence (4%) x Population (6,196,000) x Coût additionnel ( 6,000 \$ à 8,000 \$) =  
1 à 2 milliards \$

Les patients, les gestionnaires des hôpitaux, les assureurs, les médecins et la société sont donc confrontés au problème du coût associé aux bénéfices apportés par ces nouvelles thérapies. Les enjeux diffèrent en fonction des principaux intéressés. Ces considérations économiques deviennent d'autant plus importantes dans le cadre du régime d'assurance maladie existant au Canada où tous les individus de la collectivité participent au financement. Dans le contexte où les ressources financières sont de plus en plus rares, les décisions d'inclure ou exclure un médicament du formulaire (par exemple le Taxol ou le Taxotère) ont un impact sur le bien-être de toute la population et non seulement des individus affectés par la maladie concernée (par exemple le cancer du sein métastatique). Le virage ambulatoire constitue aussi un contexte qui justifie le rôle de la société dans la prise de décisions. Par exemple, l'amélioration de la qualité de vie chez les patientes atteintes de cancer métastatique du sein a un impact important sur les proches parents qui sont appelés à prodiguer des soins à domicile. Afin de rationaliser le financement collectif d'un médicament comme celui utilisé pour traiter le cancer métastatique du sein, les décisions prises à l'échelle de la population doivent donc s'appuyer sur des analyses économiques scientifiques tenant compte des préférences individuelles.

Malgré l'importance du problème, il existe peu d'études centrées sur l'aspect économique dans le cadre du traitement du cancer métastatique du sein qui intègrent les coûts et les bénéfices associés à l'utilisation de ces de ces nouveaux traitements, et aucune étude qui mesure la valeur d'achat en situation d'assurance. Les études réalisées jusqu'à présent portent essentiellement sur l'évaluation du rapport coût/efficacité en tenant compte des traitements adjuvants et de la toxicité. Deux études seulement ont évalué le rapport coût-utilité (coûts-QALY) des traitements de cette nouvelle classe. L'une d'elle (Launois RJ et al.) a indiqué un gain en QALY apporté par le Taxotère, équivalent à une durée additionnelle de 57 jours en parfaite santé, par rapport au traitement standard (vinorelbine). L'autre (Yee GC) a indiqué un

gain en QALY apporté par le Taxotère, équivalent à 33 jours en parfaite santé, par rapport au Taxol. Cette même étude a estimé un coût supplémentaire équivalent à 4011 \$ par QALY additionnel pour l'utilisation du Taxotère par rapport au Taxol. Ce résultat peut conduire à la substitution du Taxol par le Taxotère, en admettant que le prix à payer par QALY additionnel (4011 \$) est raisonnable. Bien qu'il reflète les préférences individuelles, ce résultat aboutit à une zone grise du point de vue décisionnel: quel doit être le prix à payer pour un QALY additionnel ? De plus, la méthode de mesure de la QDV varie d'une aire thérapeutique à l'autre, limitant ainsi les comparaisons et la possibilité de porter un jugement sur le coût d'opportunité, c'est-à-dire la valeur perdue en excluant un médicament du formulaire, tel que le Betaseron au profit du Taxotère par exemple.

Contrairement aux QALY ou à la QDV, la PAP (de même que le bénéfice net résultant de la différence entre la PAP et le coût) est une mesure quantitative objective du degré de satisfaction qui peut être utilisée pour comparer la valeur des médicaments appartenant à différentes classes thérapeutiques. La PAP permet de déterminer le prix à payer pour une amélioration de la QDV, et autorise la comparaison de médicaments offrant de tels bénéfices à des coûts élevés, et représentant différentes classes thérapeutiques: par exemple QDV du Taxol vs QDV du Betaseron. De plus, la PAP est la seule méthode apte à mesurer les préférences des individus sains pour le traitement des patients et qui permette de mesurer la valeur d'un médicament en situation d'assurance. Or dans le contexte canadien, l'individu accorde une valeur non seulement au bien lui-même, mais aussi à l'opportunité de sa consommation. Il est d'autant plus important de tenir compte de cette valeur lorsque l'incertitude est présente et le traitement peu usuel comme dans le cas du cancer métastatique du sein par exemple. Pour ces raisons, il nous paraît pertinent de développer/standardiser un outil d'évaluation de la PAP qui mesure le degré de satisfaction apportée par la QDV offerte par des médicaments appartenant à plusieurs classes thérapeutiques coûteuses,

dont le cancer métastatique du sein.

La compréhension des bases théoriques relevant du domaine complexe de la micro-économie est une condition essentielle au développement d'un tel outil. En effet la validité de cette méthode d'analyse, en tant qu'approche économique, repose sur le fait qu'elle est cohérente avec la théorie économique de la demande et sur la théorie de l'utilité. La première partie de ce mémoire sera donc consacrée à la présentation des principes de la science de la micro-économie qui sous-tendent la mesure de la PAP. Cette partie permettra de comprendre comment et pourquoi la PAP constitue un critère valide du point de vue économique, en plus de fournir les composantes essentielles au développement d'un outil permettant de faire ce type d'analyse dans le domaine de la santé.

La deuxième partie de ce mémoire présentera les résultats d'une étude pilote réalisée dans le but de développer et d'évaluer la validité d'un instrument de mesure de la PAP dans le cadre d'une analyse coûts-avantages d'un traitement du cancer du sein métastatique. S'il est admis que la mesure de la PAP est une approche méthodologique valide du point de vue de la théorie économique, il devient en effet pertinent de développer un outil qui permette d'évaluer adéquatement et aussi précisément que possible les avantages qui entrent dans le calcul requis à ce type d'analyse. Gafni écrit à cet effet: "*the validity of the instrument stems from the validity of the theory from which the instrument is derived from*" (Gafni et Birch). Or étant données les distorsions causées par le système d'assurance médicaments au Canada, les avantages doivent être mesurés à l'aide de la méthode de détermination hypothétique de la PAP. Dans un tel contexte, un scénario hypothétique doit être utilisé et conséquemment l'étape de validation d'un instrument de mesure des valeurs de la PAP s'impose.

## 1.0 GÉNÉRALITÉS D'UNE ANALYSE COÛTS-AVANTAGES

Une analyse CA repose sur la confrontation des coûts aux avantages, tous deux associés à un même projet et assumés par la société. Plus précisément, une étude CA est "une méthode d'évaluation qui apprécie une décision en fonction de la somme de tous ses **effets monétarisés**" (B.Walliser dans Gauthier Gilles p.4). Les effets comprennent les **coûts et les avantages**. Tous les effets, c'est-à-dire tous les coûts et les avantages, doivent être évalués sur tous les individus concernés, c'est-à-dire tout ceux qui supportent les coûts et les avantages.

Les **avantages** correspondent au degré de satisfaction de la situation envisagée lui-même exprimé en terme de dollars, alors que les **coûts** mesurent le degré d'insatisfaction résultant des occasions auxquelles il faut renoncer. Les avantages sont issus de la satisfaction des besoins rendue possible grâce à un nouveau médicament par exemple. Les coûts représentent les **coûts d'opportunité (CO)** et mesurent la satisfaction des besoins qui étaient possibles avant l'adoption du projet. Le CO est aussi défini comme le coût de renoncement. Par exemple, le CO résultant de la substitution d'un médicament du formulaire par un autre serait mesuré par la valeur marchande du nouveau médicament en supposant que cet investissement représente la valeur renoncement et la valeur de l'ancien médicament qui représente le coût de renoncement des anciens utilisateurs.

Les avantages représentent la PAP qui est évaluée d'après ce que les consommateurs seraient prêts à payer, même si en réalité ils ne sont pas obligés de payer la totalité du montant révélé. Dans un marché compétitif, la satisfaction retirée à l'achat d'un bien est mesurée par la valeur marchande du bien. Dans un tel marché, la PAP, la satisfaction du consommateur et la valeur marchande du bien ont toutes la même valeur. C'est pourquoi dans un marché compétitif, le prix d'un bien (la valeur marchande) constitue une mesure de l'avantage (la PAP) et de la satisfaction du consommateur. La discipline de la micro-économie fournit un outil, la courbe de

demande permettant de monétariser les avantages (le degré de satisfaction) en terme de la PAP. Dans les cas où cette courbe n'est pas disponible et lorsque le marché n'est pas compétitif (présente des distorsions), les avantages peuvent être définis soit par les coûts évités ou épargnés, soit à l'aide de la méthode de détermination hypothétique de la PAP.

Le CO est difficile à évaluer (Gauthier). En effet, la question de savoir quelles occasions sont perdues n'est pas facile à résoudre. En assumant que le prix du marché de la nouvelle alternative correspond à la valeur de la ressource à laquelle nous devons renoncer, nous conviendrons d'utiliser la valeur au marché de la nouvelle alternative comme CO .

L'idée de base de l'analyse consiste à identifier l'alternative qui génère le bénéfice net ou l'avantage net (AN) le plus élevé. Le calcul consiste dans un premier temps à additionner les sommes correspondant aux coûts et aux avantages enregistrés par les répondants. Puis, les avantages et les coûts s'exprimant en dollars, l'avantage net est obtenu par la différence entre les avantages et les coûts selon l'équation: **Avantages - Coûts = Avantage Net**. Les gagnants sont ceux qui bénéficient des avantages et les perdants sont ceux qui assument les coûts. L'existence d'un avantage net positif est considéré comme preuve suffisante que l'alternative est économiquement efficace: l'option retenue est celle qui est la plus efficace, celle dont l'AN est la plus élevée.

Pour que la décision soit non seulement efficace mais aussi équitable, il faut que les gains qui composent l'AN soient redistribués. C'est-à-dire que ceux qui assument les coûts, les perdants, soient ceux qui bénéficient de l'AN et que les gagnants doivent compenser les perdants. Pour que la décision soit équitable, l'AN doit donc représenter la somme que les gagnants utiliseraient pour dédommager les perdants. En fait certains économistes affirment que le travail de l'analyste est terminé quand il a établi l'avantage net. Il n'a pas à se soucier de la redistribution du surplus (J. De V. Graff dans Gauthier

Gilles p.110).

Afin de mesurer l'AN directement attribuable à la nouvelle alternative, il importe de tenir compte de la **situation de référence** qui représente la situation avant l'adoption de la nouvelle alternative (Gittinger J.-P.). Pour ce faire, l'analyse CA doit mesurer et comparer l'AN induit sans le projet -par exemple avant l'ajout d'un nouveau médicament au formulaire tel que le Taxol- ainsi que l'AN obtenu avec le projet -par exemple après l'ajout d'un nouveau médicament au formulaire tel que le Taxol-. La différence entre les deux AN représente l'AN provenant de l'investissement fait -par exemple, en incluant le Taxol au formulaire-.

Il est possible que la valeur des coûts et des avantages dépende du moment auquel ils sont reçus ou payés -Secrétariat du Conseil du Trésor, Gouvernement du Canada-. Il faut donc trouver un dénominateur commun qui permette de comparer les avantages et les coûts sur une même période, tout comme le dénominateur commun permet de comparer des fractions par exemple. Ce dénominateur commun est la valeur "présente" des avantages et des coûts appelée valeur actualisée. Les coûts et les avantages de différentes périodes doivent être actualisés avant d'être additionnés ou comparés. L'avantage net ainsi obtenu est appelé valeur actuelle nette (VAN): **Avantages actualisés - Coûts actualisés = Valeur Actuelle Nette.**

La technique d'actualisation permet de tenir compte du fait que, par exemple, la prime d'assurance annuelle de 100 \$ payée par un individu depuis 15 ans n'a pas la même valeur au début en 1980 par rapport à la fin en 1995, même si le montant annuel versé demeure constant. Le fait d'actualiser permet par exemple de tenir compte de la durée de la survie, qui pourrait différer d'un traitement pharmacologique à l'autre (cancer du sein métastatique).

Le taux d'actualisation peut être déterminé en fonction de la valeur accordée à

l'investissement dans l'avenir ainsi que du risque que comporte l'investissement. Pour comprendre la relation entre le taux d'actualisation et ces deux facteurs, il suffit de retenir que pour une même durée d'utilisation, la valeur actualisée d'un investissement (l'achat d'un médicament) est d'autant plus faible (estimé plus conservateur) que le taux d'actualisation est élevé. D'où la VAN est un estimé d'autant plus conservateur que le taux d'actualisation est élevé. Pour une même durée de vie, plus le taux d'actualisation est élevé, moins le projet a de chances d'être considéré comme rentable, et donc d'être approuvé.

Pour un projet dont l'objectif principal est la rentabilité à court terme (par exemple dans un pays en voie de développement), le choix d'un taux d'actualisation plus élevé atténue la valeur accordée à l'investissement dans les années à venir.

Plus un projet a des rendements incertains, donc comporte des risques importants, plus le taux d'actualisation devra être élevé (Gauthier p.202). Face au développement rapide de nouvelles technologies médicales (tels la biotechnologie), l'expectative de médicaments plus puissants fait en sorte que la valeur accordée aux nouveaux médicaments (Taxol et Taxotère) développés selon des méthodes moins sophistiquées est moins élevée qu'elle le devrait. Il est possible de tenir compte de l'apparition probable de médicaments plus puissants en optant pour Le choix d'un taux d'actualisation plus élevé permet de tenir compte des nouvelles technologies utilisées pour la mise au point de médicaments plus puissants.

## 2.0 FONDEMENTS MÉTHODOLOGIQUES

### 2.1 ANALYSE DANS UN MARCHÉ COMPÉTITIF: NOTIONS DE MICRO-ÉCONOMIE (Townley p.68 et 69)

Les études CA reposent sur des principes de la discipline de la micro-économie car elle fournit des outils qui permettent de calculer les coûts et les bénéfices. Lorsque le marché est parfaitement compétitif, les outils de base pour mesurer la PAP sont la courbe de demande et de l'offre (Gauthier G). Ces courbes sont des représentations graphiques du critère décisionnel dans les études CA: le critère d'amélioration potentielle de Pareto.

Le but de cette section est de décrire les courbes de l'offre et la demande et de démontrer à l'aide de ces courbes la validité du critère d'amélioration de Pareto mesuré par l'AN dans le contexte d'un marché parfaitement compétitif. Nous définirons d'abord ce qu'est un marché compétitif, puis nous définirons les termes économiques et les calculs associés aux courbes de l'offre et de la demande, et finalement, à titre d'exemple nous évaluerons l'impact d'une baisse du prix d'achat du Seldane, en utilisant les courbes de l'offre et de la demande comme outils d'une analyse CA. Le Seldane est le nom commercial du produit générique, la terfénadine, qui est utilisé pour traiter les allergies saisonnières.

#### 2.1.1 Définition d'un marché compétitif (Tolley page 59):

Les conditions nécessaires à un marché parfaitement compétitif sont

- 1) Le bien est un bien privé et non un bien public (voir définition ci-dessous \*).
- 2) Plusieurs industries peuvent produire le bien en question si bien que

celles-ci n'ont pas de contrôle sur la valeur au marché du bien en question. Les industries se comportent comme des "price-takers".

- 3) Plusieurs consommateurs peuvent se procurer le bien en question si bien qu'il n'existe aucun d'entre-eux qui puisse exercer un contrôle sur la valeur au marché du bien en question. Les consommateurs se comportent comme des "price-takers".
- 4) Les industries sont libres de pénétrer le marché ou de sortir du marché.

\* *Un bien privé répond à deux caractéristiques:*

*(Townley p.85, Gauthier p.297-9)*

- 1) *La mise en marché du bien doit produire une rivalité entre les consommateurs. Cette rivalité vient du fait que la consommation du bien est exclusive, en ce sens qu'une fois consommé, le bien ne peut plus l'être par une autre personne. Le bien est "divisible".*
- 2) *Il existe une possibilité d'exclusion d'un consommateur qui n'a pas la capacité de payer. Un mécanisme de prix qui fait en sorte que certains consommateurs ne peuvent tirer avantage du bien.*

Les lumières de la rue sont un exemple de bien public. Tous les citoyens bénéficient des lumières dans la rue et l'utilisation de la lumière par l'un d'entre-eux n'entraîne aucune diminution de la consommation de lumière par les autres citoyens. La lumière est un bien "indivisible" car tous les citoyens peuvent la consommer en entier. Aussi, il est impossible de forcer un individu à payer pour la lumière en fonction de l'avantage qu'il en retire car il n'existe pas de marché

pour ce bien.

Le marché des médicaments, dont ceux utilisés pour traiter le cancer du sein métastatique, répond à la première condition. De plus, les compressions budgétaires des hôpitaux font en sorte que les médecins deviennent plus limités au niveau du choix de la thérapie et doivent restreindre l'usage d'un type de thérapie à un groupe de patients répondant à des critères de plus en plus spécifiques. Il s'installe une compétition qui fait en sorte que certains patients doivent être exclus du protocole thérapeutique dû aux compressions budgétaires. Nous comprenons ainsi que les médicaments peuvent être considérés comme des biens privés. Certains diront cependant que les critères de sélection des patients sont tels que la qualité du traitement thérapeutique n'est pas compromise et que tous les patients nécessitant des traitements recevront ceux qui sont les plus appropriés. En ce sens, les médicaments pourraient être considérés comme un bien semi-public.

### 2.1.2 Description des courbes de la demande et de l'offre pour un médicament tel que le Seldane

Les courbes de l'offre et de la demande (figure 1) sont décrites en utilisant un exemple hypothétique, celui du Seldane. L'exemple du Seldane est adéquat puisqu'il qui répond relativement bien aux conditions de marché compétitif. En effet plusieurs industries sont libres de produire la copie (le générique), et il y a d'autres produits disponibles à l'intérieur de la classe des anti-histaminiques tels que le Claritin et l'Hismanal. De plus c'est un médicament en vente libre qui peut être acheté en tout temps avec ou sans ordonnance.

Les courbes hypothétiques de l'offre (O) et de la demande (D) pour le Seldane représentées sur la figure I représentent des fonctions hypothétiques de la demande et

de l'offre pour un patient. L'axe vertical de la courbe D ( $Q$ ) représente le prix d'achat -coût de production appelé aussi coût d'opportunité- d'une boîte de Seldane, et l'axe horizontal représente la quantité achetée par le patient -produite par la compagnie pharmaceutique-.

La courbe D est une fonction de la demande de boîtes de Seldane déterminée à l'aide des différents prix d'achat pour une boîte de Seldane dans la province de Québec. La demande est une fonction inversement proportionnelle au prix. L'élasticité est un indice du degré de sensibilité de la demande au prix (p.26 Townley). L'indice d'élasticité pour un produit qui n'a aucun substitut, tel que le Betaseron, est faible contrairement à l'indice obtenu à partir de la demande pour le Seldane qui est un produit de vente libre pour lequel il y a des substituts tels que le Claritin ou l'Hismanal.

Le point "b" à la figure 1 montre qu'au prix de 9.00 \$ par boîte de 12 comprimés de Seldane, la quantité achetée par le patient est de 30 boîtes de Seldane par année. L'aire sous la courbe déterminée par les points "abcd" représente la PAP, soit le montant maximum que le patient est prêt à payer pour un total de 30 boîtes (495 \$). Ce montant comprend la dépense financière assumée par le patient (270 \$) représentée par l'aire "bcde", ainsi que le surplus du patient appelé "surplus du consommateur"(225 \$) et représenté par l'aire "abe".

Le surplus du consommateur représente le montant additionnel que **le patient est prêt à payer en plus de la dépense financière réellement payée**. Le surplus de consommateur représente le montant additionnel par boîte que le patient ne paie pas mais aurait payé s'il avait acheté une boîte en moins, ajouté au montant additionnel que le patient aurait payé par boîte s'il avait acheté deux boîtes en moins, ajouté au montant additionnel que le patient aurait payé par boîte s'il avait acheté trois boîtes en moins, etc..... s'il avait acheté une seule boîte. La somme totale est représentée par l'aire

sous la courbe, et tient compte des coûts additionnels (coûts marginaux) imputés au fait que moins de boîtes auraient été vendues au patient. Le surplus du consommateur représente ainsi une valeur économique et non une dépense financière, puisque le consommateur ne doit pas payer ce montant. La PAP représente une valeur économique du fait que le calcul de la PAP tient compte du surplus du consommateur qui est en soi une valeur économique. Certains auteurs (Tolley) suggèrent que le coût financier de la maladie (d'un médicament) constitue une borne inférieure de la PAP.

La courbe de l'offre (O) représente le coût de production ou coût d'opportunité par boîte de 12 comprimés de Seldane en fonction de la quantité totale produite. Le coût de production, sur l'axe des ordonnées, augmente avec la quantité totale produite représentée par l'axe des abscisses. Dans cet exemple, le coût de production total assumé par la compagnie pharmaceutique pour 30 boîtes de 12 comprimés de Seldane est déterminé par les points "bcd"(135 \$). Lorsque le prix d'achat d'une boîte est fixé à 9.00 \$, le producteur réalise un surplus, appelé surplus du producteur, qui résulte de la différence entre la dépense financière totale payée par le patient(270 \$) et le coût de production (135 \$). Ce surplus est représenté par l'aire "ebd" (135 \$).

Le surplus social est la valeur qui permet de mesurer les bénéfices globaux réalisés par l'ensemble des parties impliquées, soient le surplus du consommateur (225 \$) et le surplus du producteur (135 \$), pour un total de 360 \$. Le surplus social correspond à l'AN qui est représenté graphiquement par l'aire "abd" et qui résulte **de la différence (495 \$ - 135 \$) entre les aires correspondant aux avantages mesurés par la PAP (495 \$) et aux coûts de production ( 135 \$).**

Au point "b", le consommateur et le producteur réalisent donc des bénéfices. À ce point, le surplus social ou l'AN sont maximisés. En d'autres mots au point "b", l'aire représentant la différence entre la PAP et le coût de production total est maximale. Le

point où la demande est la même que l'offre constitue un critère d'efficacité de l'utilisation des ressources du fait que le surplus social est maximum. Ce critère est appelé **critère d'efficacité de Pareto**. Ce critère constitue un critère décisif permettant de déterminer à quel prix et pour quelle quantité est-ce que les bénéfices maximaux sont réalisés. **Ceci nous permet de comprendre que plus l'AN est élevé, plus les bénéfices globaux (surplus social) sont élevés et plus on se rapproche du critère d'efficacité de Pareto.**

Dans un marché compétitif, l'allocation des ressources est optimale et le critère d'efficacité de Pareto est atteint de façon naturelle. Le prix d'un produit est naturellement fixé au point de rencontre entre les deux courbes. Dans ces conditions, il existe un équilibre parfait entre l'offre et la demande qui fait en sorte qu'un excès de la demande entraîne une augmentation des prix et un excès de l'offre entraîne une diminution des prix, tel qu'illustré sur la figure 1. Au point de rencontre les forces de la demande et de l'offre ne peuvent plus agir pour faire varier les prix si bien que les ressources sont utilisées de façon optimale: les quantités produites et le prix d'achat répondent au critère d'efficacité de Pareto.

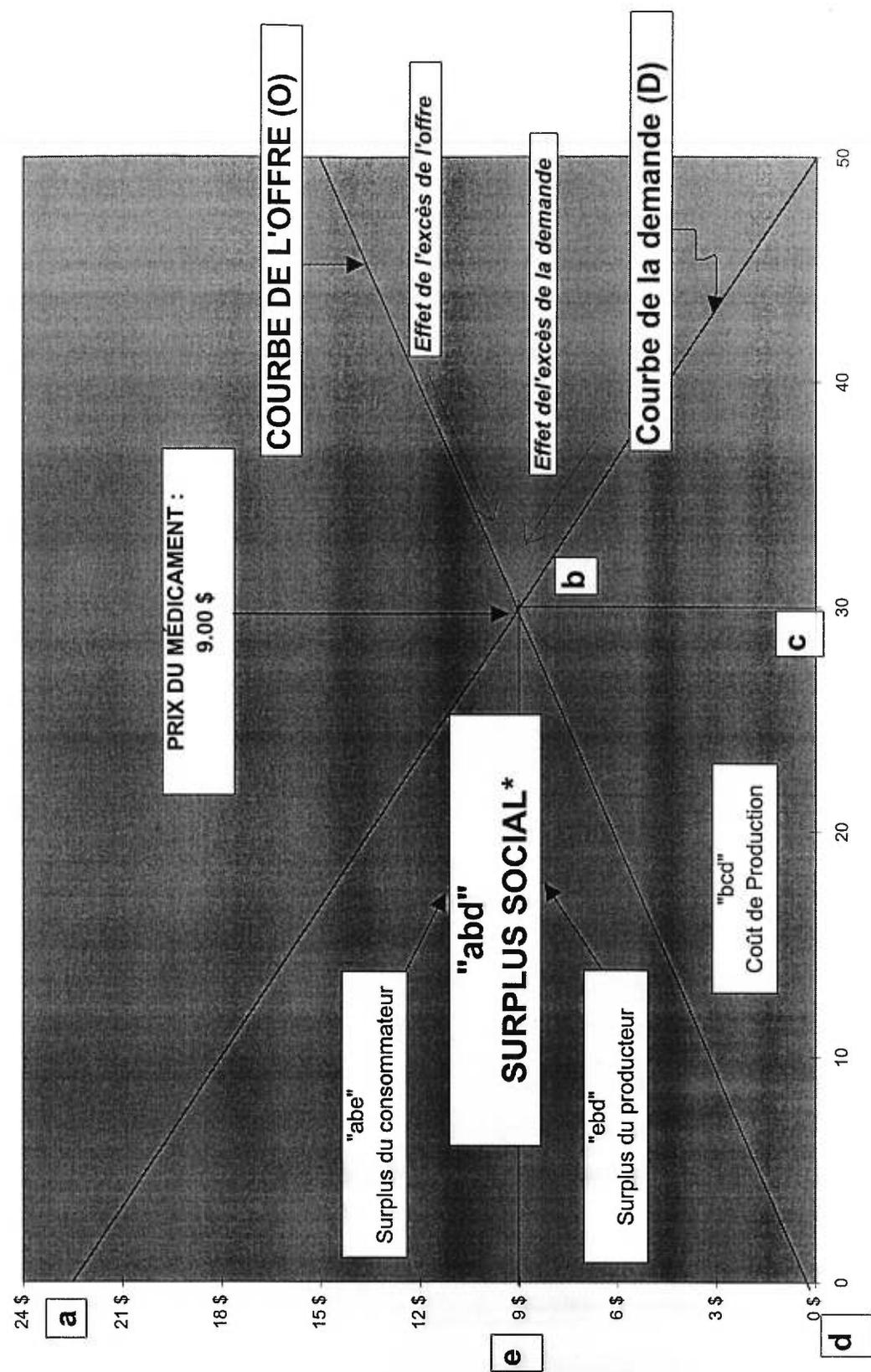
Dans le cas où le marché n'est pas parfaitement compétitif, le critère de Pareto ne peut être rencontré. Dans ces conditions, il faut faire une analyse CA afin de calculer l'AN qui constitue une mesure du critère d'efficacité de Pareto. Le critère décisionnel d'une analyse CA est basé sur la mesure de l'AN: l'alternative dont l'AN est le plus élevé est celle qui est retenue parce qu'une valeur positive élevée est un des pré-requis du critère d'efficacité de Pareto.

Cependant le critère de Pareto stipule aussi que tous les partis doivent être gagnants et cela n'est pas toujours possible dans la réalité. En effet il se peut que l'AN soit positif mais que certaines parties (ex. compagnie pharmaceutique) soient perdantes. C'est pourquoi l'analyse CA utilise le critère d'amélioration potentielle de Pareto, aussi

appelé critère de Hicks Kaldor. Ce critère fait en sorte qu'un projet peut être adopté même s'il existe des perdants. Le **critère d'amélioration potentielle** de Pareto suppose que les bénéfices réalisés seront redistribués de sorte que les gagnants compensent les perdants. Il est fondé sur le principe que le programme public aura pour effet de dédommager les perdants à cause des mesures de redistribution prises par l'État: les améliorations potentielles de Pareto deviendront éventuellement des améliorations réelles de Pareto (Gauthier G. p.129) et finalement personne n'aura une situation plus mauvaise qu'avant l'adoption du projet.

**FIGURE 1**  
**COURBE HYPOTHÉTIQUE DE LA DEMANDE/OFFRE DU SELDANE PENDANT UNE ANNÉE POUR UN CONSOMMATEUR**

Prix payé/ Coût de production (correspondant au Coût d'opportunité) pour une boîte de Seldane de 12 comprimés par le patient



Nombre de boîtes achetées/produites dans l'année

\* OU AVANTAGE NET

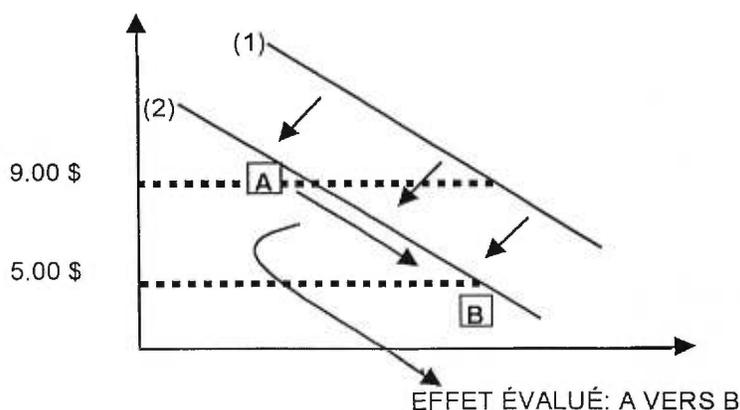
### 2.1.3 Exemple d'utilisation des courbes d'offre et de demande pour évaluer l'impact d'un projet

Pour les fins de cet exemple, nous supposons des nouvelles données quant au marché du Seldane (figures 2 et 3).

- 1- Le produit générique, terféfadine, a fait son entrée dans le marché au prix de \$4.50.
- 2- La courbe de demande du Seldane est déplacée vers la gauche suite à la mise en marché du générique tel que présenté à la figure 2 ci-dessous.
- 3- Le coût moyen de production du Seldane est fixé à \$3.00.
- 4- La compagnie a décidé d'intervenir rapidement et de diminuer le prix de vente du Seldane pour faire face à la nouvelle compétition avant même que le point d'équilibre soit atteint. Cela peut sembler aventureux mais la compagnie tient à faire face à la compétition promptement pour éviter de perdre son client.

L'exercice consiste à modéliser l'impact de la diminution du prix de vente du Seldane sur le patient, la compagnie pharmaceutique et la société à l'aide d'une analyse CA, **compte tenu du fait que le générique est sur le marché**. L'effet évalué (A vers B) est représenté graphiquement sur la courbe (2) de la figure 2: la **situation de référence ou le point de départ** (point A) et le **résultat** (point B). Nous avons choisi de ne pas évaluer l'impact de la mise en marché du terféfadine, pour fins de simplification. L'impact de la mise en marché du terféfadine est un problème beaucoup plus complexe.

Figure 2  
Courbes de demande du  
Seldane



Nous avons évalué le point de vue du patient, de la compagnie pharmaceutique et de la société. Cet exemple montre en effet que l'analyse CA permet de découvrir l'impact économique sur les partis impliqués, qui représentent la compagnie pharmaceutique et le patient. La représentation graphique (figure3) de l'analyse facilite la compréhension de chacun de ces points de vue. Le diagramme de Pareto (Tableau I) est une autre forme de représentation qui résume l'analyse (QCI International).

### Point de vue du patient

Dans cet exemple (figure 3), le prix du Seldane passe de 9.00 \$ à 5.25 \$ suite à l'introduction du produit générique dans le marché. Le consommateur qui payait 9.00 \$ réalise un bénéfice de  $((40 - 23) \text{ boîtes} \times 4.25 \text{ \$})$ , qui est représenté à l'aide de l'aire "abc". En d'autres mots le consommateur qui était prêt à payer 9.00 \$ réalise un surplus de 72.25 \$ appelé **surplus du consommateur**. La **PAP** pour les 17 boîtes additionnelles, représentée à l'aide de l'aire "abde"(161.50 \$), résulte de la somme du surplus du consommateur et de la dépense financière additionnelle représentée par l'aire "cbde"(89.25 \$). En revanche la dépense financière additionnelle résultant de la diminution de prix représente le coût d'opportunité pour le patient. L'AN pour le patient est positif (210.25 \$) signifiant ainsi que le patient est gagnant.

Nous pouvons observer à partir du diagramme de Pareto (Tableau I) que la dépense financière constitue à la fois un avantage et un coût car:

- 1) L'avantage (la satisfaction du consommateur) retiré à l'achat du Seldane l'individu est mesuré par la dépense financière soit la valeur au marché, tel que prévu par un marché compétitif.
- 2) La dépense financière constitue aussi un coût d'opportunité. consommateur ajoutée à la dépense épargnée.

### Point de vue de la compagnie pharmaceutique

Les coûts assumés par la compagnie résultent du coût de production additionnel (51.00\$) de même que des recettes qui auraient été collectées si le prix initial (9.00\$) avait été maintenu, c'est-à-dire  $((9.00-3.00) \$ \times 23 \text{ boîtes})$ . Le coût d'opportunité total s'élève donc à 189.00 \$. Les recettes additionnelles liés à l'achat des 17 boîtes s'élève à 89.25 \$. Notons que le **surplus du producteur** lié à la vente de ces 17 boîtes correspond à 38.25 \$  $(89.25-51.00) \$$ . Cependant l'AN pour la compagnie pharmaceutique est négatif (-99.75 \$) signifiant ainsi que la compagnie est perdante.

### Point de vue de la société

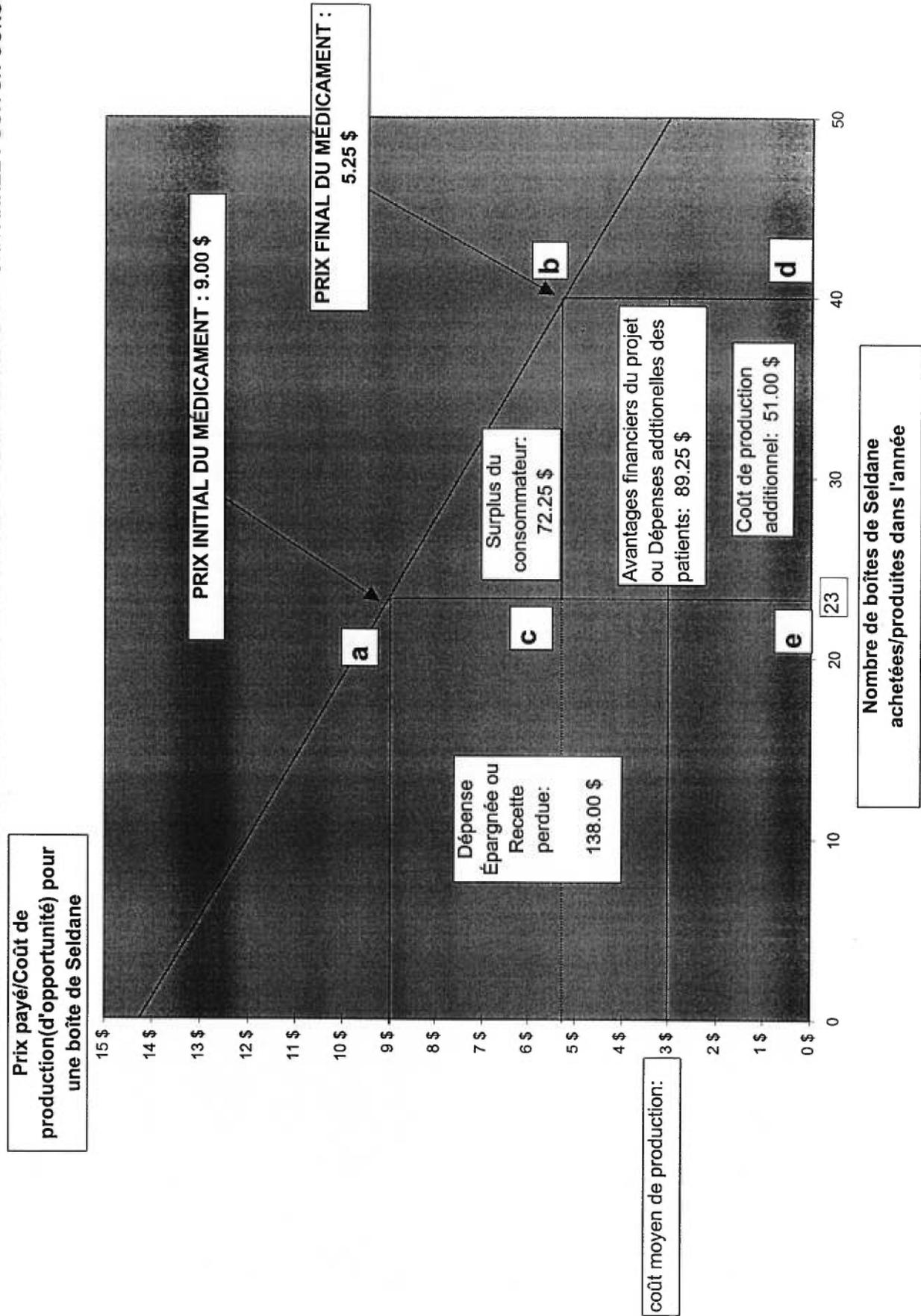
Les avantages globaux sont mesurés par la PAP, soit de 161.50 \$, et le CO est lié à la production additionnelle, soit de 51.00 \$. L'AN correspond à différence entre la PAP et le CO (110.50 \$). Notons que l'AN de la société correspond aussi à la somme des AN de tous les partis impliqués, soit l'AN du patient (210.25 \$) et l'AN de la compagnie pharmaceutique (-99.75 \$). En effet la somme de ces deux AN est de 110.50 \$.

### Décision

L'impact global de la diminution de prix est positif, tel que démontré par la valeur de l'AN (110.50 \$) et de ce fait la décision de diminuer le prix du Seldane est conforme au critère d'amélioration potentielle de Pareto. Le fait que la compagnie pharmaceutique soit perdante montre cependant que la décision n'est pas conforme au critère de Pareto. En effet selon ce dernier critère, toutes les parties doivent nécessairement être gagnantes.

FIGURE 3

COURBE HYPOTHÉTIQUE DE LA DEMANDE / DE L'OFFRE DU SELDANE PENDANT UNE ANNÉE POUR UN CONSOMMATEUR



**TABLEAU I: DIAGRAMME DE PARETO  
ÉVALUATION DE L'IMPACT DE LA RÉDUCTION DU PRIX DU SELDANE**

ENGENDRÉ PAR LE PROJET		POUR LE PATIENT		POUR LA COMPAGNIE PHARMACEUTIQUE	
Avantages	Coûts	Avantages	Coûts	Avantages	Coûts
Avantages financiers (recettes additionnelles) 89.25 \$ + Surplus des nouveaux consommateurs: 72.25 \$	Liés à la production additionnelle: 51.00 \$ (calcul basé sur le coût moyen de production)	Avantages financiers (recettes additionnelles) 89.25 \$ + Surplus des nouveaux consommateurs: 72.25 \$	Dépense financière additionnelle des patients 89.25 \$	Recette additionnelle provenant des patients qui ont été traités: 89.25 \$	Coût de production additionnel: 51.00 \$ Recettes perdue: 138.00 \$
<b>Disposition à payer totale:</b> 161.50 \$		<b>Disposition à payer totale:</b> 161.50 \$ Dépense épargnée: 138.00 \$			
<b>Total:</b> 161.50 \$ 110.50 \$	<b>Total</b> 51.00 \$	<b>Total:</b> 299.50 \$ 210.25 \$	<b>Total:</b> 89.25 \$	<b>Total:</b> 89.25 \$ - 99.75 \$	<b>Total:</b> 189.00 \$

**Description de la situation: La compagnie a décidé de diminuer le prix du Seldane suite à la mise en marché du produit générique par une compagnie compétitrice**

#### 2.1.4 Calcul de la PAP pour un ensemble d'individus (une population)

Comme l'analyse CA vise l'évaluation sociale et non l'évaluation individuelle (Gauthier p.58), il convient de préciser comment calculer la PAP de la population concernée à partir de l'évaluation individuelle. La règle d'agrégation employée pour dériver la PAP de la collectivité à partir des PAP individuelles diffère selon que le bien est privé ou public (Townley p.85-88).

L'agrégation consiste à reconstituer une courbe de demande de la collectivité à partir des courbes de demande individuelles. Pour un bien privé, cette courbe sera obtenue en additionnant le nombre d'unités demandées associé à chacune des valeurs au marché. L'aire de la courbe agrégée dans ce cas correspond à la somme des aires obtenues pour chacune des courbes individuelles. Autrement dit, la PAP de la collectivité résulte de la somme des PAP individuelles, pour un bien privé. Pour un bien public, cette courbe sera établie en additionnant les valeurs accordées à chaque unité additionnelle demandée.

L'agrégation des valeurs de la PAP est une étape qui est cruciale et constitue un sujet de discussion en soi, car le point de vue adopté par le décideur quant à la nature du marché des médicaments -bien privé vs bien public- détermine la règle d'agrégation. En admettant que les médicaments sont des biens privés, les PAP individuelles sont additives. La PAP de la collectivité sera dérivée par une addition simple des PAP individuelles. Dans le cas d'une inférence -le Québec par exemple-, la moyenne des PAP individuelles d'un sous-groupe représentatif de la province peut être inférée à l'ensemble de la population du Québec. Cette moyenne sera multipliée par le nombre de citoyens du Québec pour obtenir la PAP dans le Québec.

### 3.0 ANALYSE EN PRÉSENCE DE DISTORSIONS OU EN L'ABSENCE DE MARCHÉ

L'approche que nous venons de décrire, dite "approche du marché", est basée sur la valeur au marché des médicaments dans des situations réelles où les gens révèlent leur préférences. Cependant lorsque les marchés ne fonctionnent pas parfaitement, en présence de distorsions, il convient d'utiliser une autre approche, dite "évaluation de contingence" ou "méthode de détermination hypothétique de la PAP", basée sur la construction de marchés hypothétiques. Cette section a pour but de décrire les distorsions qui caractérisent le marché des médicaments ainsi que la méthode de détermination hypothétique de la PAP utilisée dans le contexte d'un marché présentant ces distorsions.

#### 3.1 PROBLÉMATIQUE DES DISTORSIONS

Les marchés en concurrence parfaite donnent naissance à des prix (ou valeurs marchandes) qui représentent à la fois la valeur que la société confère aux biens et services et les coûts d'opportunité (page 117 Gauthier). Les marchés parfaitement compétitifs permettent d'atteindre le point d'équilibre entre l'offre et la demande. Il font en sorte que le prix payé par le consommateur permet de mesurer à la fois le coût d'opportunité et le degré de satisfaction retiré par le consommateur (Townley p.64). Autrement dit, la valeur marchande du bien reflète la valeur que le consommateur accorde à ce bien. La PAP (ou le bénéfice marginal) est calculée à partir des courbes de prix (ou de la valeur marchande du bien) en fonction de la demande. Dans de tels marchés, l'AN est maximisée parce que ces marchés favorisent les transactions avantageuses pour les deux parties et défavorise les transactions non avantageuses. Le critère d'efficacité de Pareto est atteint.

Mais tous les médicaments sont-ils soumis aux forces du marché qui permettent d'atteindre cet équilibre au même titre que le Seldane par exemple ? Le marché du

médicament est-il suffisamment compétitif pour que nous puissions dériver la PAP à partir de la courbe de demande établie à partir de la valeur marchande des médicaments ?

En réalité, les situations où le marché n'est pas compétitif sont courantes dans le domaine pharmaceutique. Dans ce cas, le marché présente des distorsions. Les **externalités** constituent une des principales causes de distorsions dans un tel marché. Tel que défini ci-dessus, nous conviendrons que les médicaments sont des biens privés et donc que les distorsions de marché sont reliées à la présence d'externalité.

**Une externalité survient dans les situations où les coûts et les avantages sont supportés par des personnes qui ne sont pas directement impliquées dans le projet.** Une externalité survient dans les situations où le comportement du patient en achetant un médicament et celui de l'industrie en produisant un médicament **affecte des individus autres que les principaux intéressés**, c'est-à-dire autres que le patient ou l'industrie. Le problème des externalités vient du fait qu'il existe des facteurs, autres que les préférences des consommateurs (médecins qui prescrivent, patients) ou des producteurs, n'ayant pas une influence directe sur la valeur marchande du médicament mais qui affectent quand même les bénéfices procurés ou les coûts. Prenons l'exemple du tabac qui a fait l'objet de poursuites judiciaires aux États-Unis récemment. Les analyses CA (Doran CM, Sanson-Fisher RW) ont estimé les coûts du tabagisme non seulement à partir de son impact sur les coûts de la santé chez les fumeurs, mais aussi par l'effet qu'il produit chez les non fumeurs. La fumée de cigarette est dans ce cas une externalité négative parce qu'elle affecte des parties à priori non concernées, les non fumeurs, et contribue à augmenter le coût réel du tabagisme, sans que ce coût soit un facteur déterminant de la valeur marchande des cigarettes. La valeur de cette externalité, coût de la santé chez les non fumeurs, a pu avoir un impact sur la décision d'imposer une augmentation du prix des cigarettes et

constitue de ce fait une externalité négative parce que le coût réel est supérieur à la valeur marchande:

*“ The final cost component is concerned with externalities, and, in particular, the costs associated with **fire injuries and passive smoking.**”*Sanson-Fisher R (Doran CM W)

*“..we took the view that it is important to quantify passive smoking by some means and therefore used 10 per cent as an approximate interim measure only.”* Sanson-Fisher R (Doran CM W)

Il existe deux sources d'externalité dans le domaine de la santé: les interdépendances et la valeur d'option (ou l'incertitude) (Labelle et Hurley).

Les interdépendances viennent du fait que l'utilisation d'un médicament par un individu apporte une satisfaction à d'autres individus de la population qui ne requièrent pas le médicament. Par exemple (Labelle et Hurley), les médicaments utilisés pour combattre des infections sont utiles pour toute la population en générale et non seulement pour combattre l'infection du patient qui reçoit les anti-infectieux. Les interdépendances viennent aussi du fait que les individus sont sensibles à la condition physique de leur proche. Le traitement des malades mentaux ou de la maladie d'Alzheimer constitue un autre exemple de cette externalité.. L'Acte Canadien sur la Santé qui impose l'accessibilité et l'universalité est un autre exemple qui témoigne de cette externalité.

La satisfaction d'un individu qui n'est pas malade et qui ne reçoit pas le médicament est accrue lorsqu'il achète une assurance qui lui permettra de recevoir un médicament dans le cas où il serait malade. L'individu qui n'utilise pas le médicament accorde donc une valeur à ce médicament, appelé valeur d'option, selon le risque qu'il a ou perçoit

de contracter la maladie (risque du cancer du sein métastatique). "La valeur d'option représente la valeur que l'individu attache, non pas au bien lui-même, mais à l'opportunité de sa consommation" (Lily Moto). Cette externalité est d'autant plus présente lorsque l'usage de ce médicament est peu courant et l'incertitude est importante comme dans le cas du cancer du sein métastatique (Labelle et Hurley). Les femmes ressentent une grande inquiétude quant aux chances d'être atteintes du cancer du sein et à la nécessité de recevoir un médicament qui est peu usuel. La valeur est mesurée selon la méthode définie ci-dessous (Cf. 4.0).

L'incertitude constitue un incitatif pour l'achat d'assurances et explique le succès des marchés d'assurance. Or l'existence d'assurances induit une augmentation des quantités produites et consommées de soins, une diminution du prix payé par les consommateurs et une augmentation du prix reçu par les producteurs. Tous ces différents intérêts convergent vers une tendance générale à la surproduction et à la surconsommation des soins de santé (Duru p.48). En pratique, plusieurs consommateurs affirment que s'ils n'étaient pas assurés, ils ne pourraient se procurer des médicaments. Il s'ensuit que le prix des médicaments demeure élevé. S'il n'y avait pas d'assurance, les compagnies pharmaceutiques devraient ajuster les prix en fonction de la nouvelle demande. Le calcul de la PAP ou du bénéfice ne peut être basé sur la courbe du prix du médicament en fonction de la demande car les prix ne représentent pas le bénéfice réel que procure le médicament.

En présence de ces externalités (positives), la valeur marchande de biens peut être sous-estimée. La valeur nette devra tenir compte de la valeur de ces externalités en calculant un bénéfice et une PAP qui rendent compte de la valeur réelle du bien. En tenant compte de la valeur de ces externalités dans le calcul de la PAP, la valeur nette calculée représente un critère d'efficacité fiable. En d'autres mots, la validité du critère d'efficacité de Pareto est imputée à la validité des composantes qui entrent dans le calcul de la valeur nette, soient les bénéfices et les coûts.

La méthode de détermination hypothétique de la PAP est une technique qui permet d'évaluer les bénéfices qui entrent dans le calcul de la rentabilité économique et financière d'un projet dans le cas où le marché présente des distorsions.

### 3.2 DÉTERMINATION HYPOTHÉTIQUE DE LA PAP

En présence de distorsions, les valeurs au marché peuvent falsifier les valeurs humaines réelles accordées aux biens. La méthode de détermination hypothétique de la valeur (appelée aussi évaluation de contingence) permet de corriger ces fausses représentations (Gauthier). Cette méthode d'évaluation appelée aussi **évaluation contingente** permet d'estimer la valeur que les individus accordent aux biens médicaux dans le cadre d'une analyse CA, dans un domaine où l'on ne dispose pas de marché pour révéler ces préférences. La méthode de détermination hypothétique est appelée évaluation contingente parce qu'elle utilise des marchés hypothétiques, dits "contingents".

La méthode de détermination de la valeur hypothétique consiste à mesurer la PAP en créant un marché hypothétique à l'aide d'un questionnaire qui permet de découvrir la valeur maximale que les gens accordent au bien en question. Le chercheur présente un scénario au répondant en décrivant le bien en termes de quantité et de qualité et en représentant un marché. Il demande ensuite au répondant combien il serait prêt à payer pour consommer ce bien en utilisant un mode de paiement spécifique (voir ci-dessous). Le scénario présenté en situation de certitude amène le répondant à révéler la quantité d'argent qu'il est prêt à payer pour recevoir le médicament. Dans ce contexte, le scénario évalue la PAP dans la perspective "ex-post".

### 3.2.1 Le scénario

Le scénario utilisé dans le cadre de la méthode de détermination hypothétique doit répondre à plusieurs exigences. Premièrement il est essentiel que le scénario soit **crédible et réaliste** aux yeux des répondants afin qu'ils puissent faire des choix éclairés. Les répondants sont ainsi encouragés à répondre de façon rationnelle, comme s'ils se trouvaient confrontés à la situation réelle (Mitchell et Carson, p.95). Dans le cas d'évaluation de symptômes sérieux et sévères tels que ceux éprouvés lors d'un cancer, l'élaboration du scénario comporte des défis d'autant plus importants. Le défi consiste à amener les répondants à s'imaginer qu'ils éprouvent réellement la souffrance décrite dans le scénario.

Deuxièmement **l'information doit être complète, précise, claire et standardisée**. On ne peut pas simplement demander à des infirmières "combien seriez-vous prêtes à payer pour améliorer votre qualité de vie ?" Car chacune irait de son interprétation de la qualité de vie et de ce que signifie une amélioration. Chaque infirmière peut avoir une opinion différente à ce sujet donnant lieu à des variations très importantes d'une personne à l'autre. Si le concept d'amélioration de la qualité de vie est peu ou mal défini, il sera difficile par la suite de savoir ce qui a vraiment été mesuré. Il est donc important de s'assurer que tous les répondants comprennent le scénario de la même façon en utilisant des mots exacts dans un langage qui leur est familier et qui situe clairement et précisément la problématique. Des outils tels que des supports visuels favorisent la communication et encouragent les individus à répondre même s'ils étaient déjà familiers avec la situation décrite.

Troisièmement, le scénario doit **prendre en considération l'incertitude**. Selon Gafni, l'omniprésence de l'incertitude, tant au niveau de la survenue des événements morbides que de l'efficacité des thérapies, caractérise le domaine de la santé et doit donc faire partie du scénario. Gafni propose d'associer les probabilités avec la présentation des

effets d'un traitement pharmacologique (Gafni A. et O'brien B).

Quatrièmement, le scénario **doit intégrer la notion du CO**. Il doit faire en sorte que les individus réfléchissent sur ce à quoi ils doivent renoncer pour payer le bien car la PAP de tous les jours reflète le CO. En effet la considération du CO est un réflexe du consommateur au moment où il décide d'acheter un bien. Un bon scénario doit aider l'individu à considérer son coût d'opportunité afin de rendre compte de cette réalité:

*"The willingness to pay studies of the economic approach are grounded in the theory of demand, which recognizes that value is meaningful only if expressed relative to other things that must be given up, as accomplished in demand theory through explicit introduction of a budget constraint reflecting the fact that resources are limited."*(p.136 Tolley).

Cinquièmement, le scénario doit **intégrer les externalités** pour que la PAP rende compte de ces externalités. Car si cette méthode permet de découvrir la valeur des externalités (Gauthier, Gafni), il faut que le contexte de l'étude en tienne compte.

Enfin sixièmement, il faut apporter le plus de précisions possible de façon à **pouvoir produire une analyse quantitative**:

*"It is equally important, however, that the good be defined in a precise way that is amenable to quantitative analysis."*

### 3.2.2 La question

La question doit inciter le répondant à 1) révéler le montant réel qu'il est prêt à payer et 2) révéler le montant maximum qu'il est prêt à payer afin de mesurer le surplus du consommateur (Using surveys to value public goods p.99). En effet le surplus du consommateur étant le montant que l'individu est prêt à payer en supplément du montant qu'il paie réellement, ce montant reflète l'avantage économique qui n'est pas quantifiable autrement que par la mesure de la PAP. Il existe plusieurs modes de révélation de la PAP: le système d'enchères, les cartes de paiement, la question fermée et la question ouverte. Ces quatre modes de paiement diffèrent entre-eux en fonction des biais potentiels qu'ils entraînent et de la capacité de mesurer le surplus du consommateur. Notons que tous les modes de révélation peuvent donner lieu à des biais hypothétiques à différents degrés.

Le système d'enchères consiste à proposer à l'individu d'acheter un médicament à un prix donné. Une valeur est utilisée comme point de départ. Si l'individu accepte (refuse), on augmente (diminue) progressivement le prix jusqu'au moment où il renonce à (décide d') acquérir le médicament. Ce mode imite les conditions du marché et permet d'obtenir le surplus du consommateur (p.99). La valeur de départ utilisée aide le répondant à établir son prix. Ce système est un processus itératif, basé sur la répétition de questions, qui incite les répondants à réfléchir et à reconsidérer leur réponse et retient l'attention des répondants (p.143 Towley). Il peut cependant entraîner un biais de point de départ, un biais de fourchette et des biais compliance, car les répondants ressentent une pression qui les pousse à révéler des valeurs supérieures à la valeur réelle qu'ils auraient révélée autrement.

La carte de paiement consiste à proposer dans le questionnaire une échelle de valeurs raisonnables suffisamment large pour éviter le biais de point de départ. Il permet de limiter les biais hypothétiques et augmente le réalisme du scénario. Ce mode de

révélation peut entraîner des biais de fourchette dû au fait que le répondant doit se restreindre aux montants proposés.

La question fermée consiste à proposer un montant spécifique que l'individu accepte ou refuse. La question fermée mime la réalité du marché vécue quotidiennement et réduit ainsi les biais hypothétiques. Un biais de point de départ viendrait du fait que le répondant est influencé par la valeur proposée et accepte le montant proposé sans réfléchir au sens de la question. De plus certains auteurs (Tolley p.79) mettent en doute la capacité de ces modes de paiement à mesurer le surplus du consommateur, ou le montant maximum que l'individu est prêt à payer. En effet, il se peut que le répondant accepte le montant proposé simplement parce qu'il correspond à la borne inférieure du montant qu'il aurait autrement révélé, mettant ainsi fin au questionnaire. Le montant révélé dans ce cas ne mesure pas le surplus du consommateur.

La question ouverte consiste à demander le montant maximal que l'individu est prêt à payer et ce afin de mesurer le surplus du consommateur. Malgré la simplicité de cette question, elle demande un effort de réflexion plus exigeant pour les répondants. Compte-tenu de la difficulté de l'exercice, les réponses obtenues risquent d'être incohérentes et d'entraîner des biais hypothétiques. Ce problème peut résulter de nombreux refus de répondre et donner lieu à plusieurs valeurs nulles.

Les trois premiers types de question donnent lieu à des réponses "discrètes" -ex: oui, non, peut-être etc.-, contrairement aux réponses à une question ouverte qui sont exprimées en terme de dollars sur une échelle continue (ex: 2,000\$). Or, les techniques d'analyse statistique diffèrent selon la nature des réponses obtenues: les questions ouvertes ou les systèmes d'enchères font le plus souvent appel à des techniques paramétriques -régression linéaire-, alors que les questions fermées ou les cartes de paiement donnent lieu à des réponses discrètes et font appel à des méthodes non paramétriques -courbes de survie ou régression logistique-.

Un exemple de la méthode d'analyse non paramétrique est retrouvé dans une étude portant sur les hypolipémiants (Johannesson). Cette technique consiste à estimer la PAP en calculant l'aire sous la courbe du pourcentage de la population souhaitant acquérir le médicament à un prix donné en fonction du prix. Cette courbe est similaire à la fonction de la demande obtenue selon les méthodes traditionnelles de la micro-économie décrites ci-dessus, établie à partir de la valeur au marché des biens.

La technique paramétrique est de loin préférable à la méthode non paramétrique. En effet la technique d'analyse non paramétrique exige une taille d'échantillon plus élevée, car la courbe est d'autant plus précise que le nombre de points (de prix utilisés dans l'étude) est élevé. De plus cette technique nécessite que l'on assume un lien de continuité entre les points obtenus. De plus les intervalles de confiance pour la médiane ou la moyenne peuvent parfois être très grands rendant plus difficile l'inférence. En revanche, les techniques de régression sont plus robustes aux écarts de distribution de la normalité pour la variable dépendante (la PAP), contrairement aux techniques paramétriques de la régression linéaire utilisées pour les questions ouvertes, qui sont plus exigeantes au niveau de la distribution de la variable dépendante (PAP). Or la distribution de la PAP peut facilement s'éloigner de la normalité (Kristrom B).

Tous les types de questions comportent leurs avantages et inconvénients. Le choix de l'un d'entre-eux peut être difficile (Gauthier ). Certains auteurs suggèrent de choisir le mode de paiement qui semble le plus conforme à la réalité du marché. Ce qui est en accord avec les recommandations de Gafni selon lesquelles le scénario doit être le plus crédible possible. Par exemple, le mode de paiement sous forme d'assurance faisant intervenir la notion d'incertitude et de probabilité (Gafni) est un exercice plus réaliste dans le contexte du système de santé au Canada, étant donné que la population ne paie pas directement pour les services de santé. Des modes de paiement concrets tels que les cartes de paiement peuvent entraîner des biais stratégiques (Tolley p.74). Le

système d'enchères permet d'obtenir une valeur plus élevée qui capte donc le surplus du consommateur. Cette méthode n'est toutefois pas recommandée par certains auteurs à cause des nombreux biais qu'elle peut entraîner (Mitchell et Carson p.104).

### 3.2.3 Mesure de la validité

#### PROBLÉMATIQUE : LES BIAIS

Le principal problème qui affecte la validité vient du fait que la PAP révélée dans un contexte de questionnaire ou de marché hypothétique peut ne pas refléter la PAP réelle qui serait exprimée dans un contexte où l'individu doit payer lui-même son médicament (p.73 Tolley). Le caractère hypothétique que cette approche suscite des craintes et des doutes quant à la pertinence des résultats. Les réponses dans ce contexte peuvent être faussées volontairement ou involontairement par le répondant, donnant ainsi lieu à des biais.

Les principaux biais sont liés au répondant, à l'instrument et à l'intervieweur. Parmi les biais liés au répondant on retrouve les biais hypothétiques et les biais stratégiques. Les biais liés à l'instrument comprennent les biais d'information -ou du scénario-, les biais du point de départ et le biais de fourchette. Ces biais sont liés au contenu et à la structure du scénario élaboré ou du mode de paiement choisi. Les biais liés à l'intervieweur comprennent les biais de compliance.

### Biais liés au répondant:

Le biais hypothétique est lié au fait que devant une situation hypothétique, l'individu ne réagit pas de la même façon que s'il était confronté à la réalité. Plus spécifiquement, ce biais est lié à l'absence de crédibilité du scénario ainsi qu'à la difficulté de l'exercice résultant du manque d'expérience du répondant avec le marché proposé et du manque de familiarité avec le traitement pharmacologique évalué ou avec la maladie. Ce biais se traduit par la présence de valeurs extrêmes (faibles ou élevées) parmi les réponses. Ce biais est particulièrement présent dans le domaine de la santé où l'individu est peu familier avec le contexte qui lui est décrit, c'est-à-dire avec le fait qu'il doit payer pour obtenir des services. Cette situation entraîne une plus grande difficulté de communication et de compréhension que pour d'autres types d'évaluation. Ce biais peut être évité en faisant allusion à des biens familiers ou des situations qui soient réalistes. La présence d'un interviewer peut aussi limiter ce type de biais parce qu'il donne l'occasion au répondant de poser des questions, et parce que l'interviewer l'encourage à réfléchir à ses réponses.

Le biais stratégique dépend de la perception du répondant quant à la possibilité d'obtenir le bien et à son obligation de payer réellement pour le bien. Le répondant pourra par exemple se dire prêt à payer moins que sa véritable PAP et adopter un comportement stratégique pour se soustraire à une taxe éventuelle destinée à payer le médicament évalué. Il peut masquer ses véritables préférences en minorant sa PAP, pour profiter d'un bien public. Ce biais est principalement retrouvé lors de l'évaluation de biens produits par le secteur public, notamment les médicaments donnés pour traiter le cancer du sein métastatique. Toutefois plusieurs auteurs (Mitchell et Carson) croient que ce biais affecte peu la validité de l'étude. Le questionnaire par la poste donne plus souvent lieu à des biais stratégiques que des sondages en personne (Gauthier p.324).

### Biais de l'instrument:

Les biais d'information sont liés à la structure et au contenu du scénario. Ils viennent du fait que les individus peuvent être sensibles à la formulation de l'information fournie lors de l'entrevue. Le scénario peut entraîner des erreurs de mesure par les indices qu'il offre au répondant sur la valeur à accorder au bien. Par exemple, le bien peut être comparé à un autre bien et la comparaison fournit au répondant une indication de la valeur qu'il devrait donner. Il peut aussi exagérer l'importance du bien et par conséquent, donner l'impression au répondant qu'il devrait augmenter la valeur au-delà de ce qu'il est prêt à payer. Un scénario basé sur des informations précises et standardisées peut limiter ces biais. Le scénario doit fournir une information claire précise du concept (ex: qualité de vie) afin que tous les répondants aient une perception uniforme du bien évalué. Le cadre du scénario et du questionnaire doit maintenir une neutralité pour ne pas influencer les répondants.

Les biais de point de départ et de fourchette sont liés au mode de paiement. Ces biais sont liés au fait que les répondants sont influencés par le(s) montant(s) proposé(s). Dans le premier cas, une valeur utilisée comme point de départ pour aider le répondant à établir son prix peut influencer la valeur révélée par le répondant et entraîner un biais de point de départ. Ce biais est particulièrement présent lors de l'utilisation d'enchères. Les biais de fourchette sont le plus souvent retrouvés lors de l'utilisation des cartes de paiement. Les cartes de paiement indiquent une fourchette ou une échelle à l'intérieur de laquelle le répondant doit se restreindre, entraînant ainsi le biais de fourchette.

Biais de l'intervieweur:

Les biais de compliance sont liés à l'intervieweur. Le répondant est influencé positivement ou négativement par l'interviewer. Ce biais n'est pas systématique et dépend plutôt du répondant (Gauthier p.325). Il est fortement recommandé (Mitchell et Carson) de bien former les interviewers pour qu'ils comprennent l'importance de toujours poser les questions de la même façon, dans le même ordre, en utilisant les mots exacts du scénario. Les interviewers doivent aussi savoir comment procéder lorsque les répondants demandent des clarifications ou encore lorsqu'ils ne sont pas capables de répondre à la question. Car c'est dans ces situations que les erreurs de mesure surviennent le plus fréquemment (Gauthier). Pour éviter ces biais dûs à l'interviewer, le pré-test s'avère une fois de plus très utile. Le chercheur peut vérifier si le scénario et le questionnaire sont faciles à administrer par l'interviewer. Il peut aussi identifier le type de questions que les répondants risquent de poser et le genre de problème que l'interviewer peut rencontrer. Il est alors possible de prévenir ceux-ci et de les préparer adéquatement pour que chacun d'eux procède de façon uniforme et donne la même information.

Le tableau II résume les biais retrouvés en fonction des types de question:

Tableau II: Types de biais

BIAIS	TYPE DE QUESTION			
	OUVERTE	FERMÉE	CARTES DE PAIEMENT	ENCHÈRES
HYPOTHÉTIQUE	x	x	x	x
STRATÉGIQUE	x	x	x	x
PONT DE DÉPART		x		x
FOURCHETTE			x	
COMPLIANCE	x	x	x	x

## MODE DE VALIDATION

Les différentes sources de biais suscitent des doutes quant à la validité des résultats: les PAP révélées reflètent-elles les PAP qui seraient autrement obtenues si les individus questionnés se trouvaient réellement dans la situation ?

Des auteurs ont tenté de déterminer la validité des résultats en créant une situation réelle où l'individu doit payer pour le bien, et comparant les montants payés pour le bien avec ceux qui ont été dérivés à l'aide de la méthode de détermination hypothétique. Une étude portant sur les permis de chasse (Bishop et Heberlein) a comparé les valeurs moyennes de la PAP pour les permis de chasse dans un marché hypothétique (63 \$) à celles obtenues dans un marché réel et créé artificiellement (101 \$). Cette méthode de validation appelée validité de critère n'est pas réalisable dans le domaine de la santé, notamment dans le domaine de l'oncologie, à cause des problèmes d'éthique qu'elle soulèverait.

Comme il n'existe pas de critère (PAP dans la réalité) en vertu duquel les valeurs de PAP peuvent être validées dans le domaine de la santé, la validité de construit, dénommée validité théorique, est le mode de validation le plus souvent utilisé (Whitehead, Mitchell et Carson, Tolley, L. Moto): *"The most common form of validity test in the contingent valuation literature is construct validity"* (Whitehead).

La validité de construit est ainsi défini:

*"Construct validation is concerned with validity of inferences about unobserved variables (the construct) on the basis of observed variables (their presumed indicators)"*(Pedhazur).

Bien que la PAP représente un concept concret, cette mesure n'est pas directement observable dans un marché présentant des externalités, tel que le marché des médicaments. Dans ce contexte, la PAP est mesurée par la méthode de détermination hypothétique et constitue de ce fait une estimation de la PAP réelle dans une population. Cette inférence est validée par des mesures d'association de la PAP mesurée -observée- avec des variables qui sont présumées être déterminantes de la PAP réelle.

Des modèles de régression sont utilisés comme mesure d'association de la PAP observée avec les variables indépendantes qui sont, du point économique, susceptibles d'influencer la demande et donc la PAP. Ces modèles de régressions sont reconnus comme méthode standard de validation des études de contingence (Mitchell et Carson).

L'hypothèse que les facteurs contribuant à augmenter la demande ont aussi comme effet d'augmenter la PAP est basée sur le fait que la PAP est fonction de la demande tel qu'explicité par la théorie de l'économie: "*Benefit measurement is applied demand analysis*" (p.127 Tolley). Ainsi le choix des variables dans le modèle sera basé sur les déterminants de la demande (Feldstein). Il est intéressant de noter que le fait que les variables soient liées à la PAP constitue à la fois une preuve de validité et un biais pour lequel il faut contrôler afin de déterminer une valeur qui s'applique à l'ensemble de la population (Froberg DG et Lane RL).

La revue de la littérature (appendice 1) montre que les liens de corrélation attendus ne sont pas toujours observés. Toutefois quelques études ont démontré que les valeurs obtenues par la méthode de détermination hypothétique de la PAP étaient systématiquement reliées au revenu, et d'autres variables socio-économiques telles que l'âge.

## FACTEURS INFLUENÇANT LA PAP AU POINT DE CONSOMMATION

Les facteurs connus qui affectent la demande (Feldstein p.82) comprennent des facteurs socio-démographiques tels que le genre, l'âge, l'éducation, le statut marital et le nombre d'enfants dans la famille, et les facteurs économiques tels que le revenu et la valeur du temps.

### Facteurs socio-démographiques:

Les études tendent à confirmer que les **personnes célibataires** utilisent généralement plus souvent les services hospitaliers que les personnes mariées parce que les personnes célibataires n'ont pas de ressources autres que celles offertes en milieu hospitalier alors que les personnes mariées ou les conjoints de fait peuvent compter sur des ressources à la maison (Feldstein p.82). En se basant sur ce raisonnement on peut s'attendre à ce que la PAP soit plus élevée chez les personnes célibataires, notamment lorsqu'il s'agit d'une maladie en phase terminale qui requiert de soins à domicile.

Le **nombre d'enfants dans la famille** est un facteur qui affecte la demande. Le revenu disponible per capita est moins élevé pour une grande famille par rapport à une petite famille (Feldstein p.82). La PAP des parents de grande famille peut donc être plus faible que la PAP des parents de famille ayant moins d'enfants en raison du revenu per capita moins élevé dans une plus grande famille.

La demande pour des soins médicaux **augmente avec l'âge** (Feldstein p.83, Duru p.51). Cette forte demande s'explique par le fait que les personnes âgées souffrent d'un nombre d'affections croissant avec l'âge. La prise de conscience de la fragilité de l'état de santé au fur et à mesure du vieillissement peut aussi faire en sorte que la PAP et

l'âge soient liés. Cependant, pour un état de santé similaire les personnes âgées se soignent moins que les jeunes. Cet effet appelé "effet génération" est expliqué par le fait que de nombreuses maladies ne sont pas traitées chez les vieillards. Ces effets peuvent avoir une influence sur la PAP.

**L'éducation** aurait une influence positive sur la demande (Feldstein p.84). Le niveau d'éducation permet à l'individu de reconnaître rapidement les premiers signes d'un problème médical, augmentant ainsi la demande de services médicaux, notamment les services de prévention. Le nombre d'années scolaires serait un "proxy" du degré de conscience des besoins médicaux et donnerait lieu à une plus grande efficacité dans l'utilisation des ressources. Par extension, il est possible que la classe plus éduquée ait une PAP plus élevée pour l'achat d'assurances.

#### Les facteurs économiques:

La demande augmente avec le **salaire (revenu d'un individu)**. Plusieurs études ont démontré que les dépenses dans le domaine de la santé augmentent avec les revenus familiaux (Feldstein p.84). Aussi, un consommateur dont le salaire est élevé accorde une plus grande **valeur au temps** et sera porté à utiliser les ressources médicales pour éviter de perdre son temps à traîner son mal ou à se guérir soi-même (Feldstein p.82 et 86): *"Since time has an opportunity cost, it is also scarce and should be viewed as one of the resource constraints facing the consumer. People with higher earned incomes typically have a higher cost of time and will consequently have a higher demand ..."*. Les consternations évoquées dans l'actualité (Coude-Lord M) face aux longues listes d'attente révèlent l'importance que la société accorde à la valeur du temps, spécialement lorsque la souffrance est présente. Par extension, il est possible que les individus dont le revenu est plus élevé accordent une plus grande valeur au temps qu'il leur reste à vivre lorsqu'ils sont atteints d'un cancer en phase terminale par

exemple, et soient prêts à payer de plus gros montants pour améliorer la QDV du temps qu'il leur reste à vivre.

Cette hypothèse est supportée par d'autres auteurs (Duru p.52, 53) qui soulignent que dans les classes défavorisées, les difficultés de la vie quotidienne peuvent laisser apparaître comme mineures certaines affections médicales. "La maladie est considérée par cette catégorie de la population comme une altération franche et importante des facultés de l'individu susceptible de rendre impossible l'activité". Par extension, un cancer en phase terminale peut-être perçu comme une fatalité auquel l'individu de la classe défavorisée ne peut rien. Par contre, dans les classes favorisées, la maladie est souvent perçue comme une altération progressive de la santé qu'il est possible de prévenir ou de guérir **à tous les stades** (Duru p.52,53). Par extension, la classe sociale économiquement favorisée peut avoir une PAP plus élevée pour l'achat d'un traitement d'un cancer en phase terminale améliorant la QDV ou l'achat d'une assurance.

Autres facteurs:

Existence d'un troisième tiers:

L'incertitude est une source d'externalité qui fait intervenir le marché des assurances (ou le troisième tiers). En retour, le marché des assurances est une des principales raisons qui explique que la valeur au marché d'un médicament ne soit pas en relation avec la valeur que les consommateurs accordent au médicament (Tolley page 50). L'existence d'un troisième payeur peut faire en sorte que la valeur de la PAP accordée par le patient est très faible, cette valeur reflétant la proportion du montant payé par le consommateur pour l'achat d'assurance (Feldstein p.84-5). Notons cependant que la demande peut augmenter à cause de l'existence d'un troisième payeur. Ce phénomène appelé "demande induite" affecte la PAP indirectement, tel que justifié par le paragraphe ci-dessus.

Nature de la maladie:

La PAP pour une maladie mortelle telle que le cancer du sein métastatique peut varier en fonction de la perspective de l'individu devant les dettes qu'il laissera après sa mort. La PAP au point de consommation pour les individus qui n'ont pas de responsabilités familiales peut être plus élevée à l'approche de la mort parce que les frais encourus n'auront pas d'impact sur leur proche. Ce facteur, nature de la maladie, peut biaiser des associations telles que nombre d'enfants et PAP au point de consommation.

Remarques:

Notons que l'effet de ces facteurs sur la demande (et donc la PAP) varie selon le type de service (soins hospitaliers, soins à domicile, médicaments) (Feldstein p.83). De plus les relations décrites (positives ou négatives) ne sont pas nécessairement linéaires. Il faut prendre en considération que la nature (exponentielle, logarithmique ou autre) de ces relations pour des services pharmaceutiques est à l'heure actuelle inconnue.

Enfin il convient de souligner que les variables décrites ci-dessus peuvent interagir entre-elles et produire des effets confondants ou des interactions. C'est pourquoi il est important de mesurer les relations qu'elles ont avec la PAP dans un modèle qui comprend un ensemble de variables et non seulement à l'aide des corrélations simples.

Le choix du modèle et des intervalles de valeurs utilisés pour tester ces relations constituent donc des facteurs importants qui doivent être considérés pour juger de la validité des résultats.

#### 4.0 PAP EN SITUATION D'ASSURANCE OU PRIX D'OPTION

La PAP en situation d'assurance, appelée **prix d'option** (PO), consiste à interroger l'individu sur le montant monétaire maximal qu'il accepte de payer aujourd'hui pour profiter éventuellement du bien à l'avenir (L.Moto p.187). Le PO permet de calculer la **valeur d'option** qui représente la valeur accordée à l'opportunité de sa consommation en présence d'incertitude telle que définie ci-dessus. La valeur d'option, résulte de la différence entre le prix d'option et de la **PAP espérée** tel qu'indiqué par l'équation ci-dessous. La PAP espérée, ou l'espérance mathématique de la PAP, résulte du produit de la PAP (au point de consommation) par le risque -ou la probabilité de l'événement-, le risque étant lié à la probabilité d'être atteinte de la maladie -du cancer du sein métastatique-. La PAP espérée est une valeur de la PAP pondérée en fonction de la probabilité que la maladie survienne. Le PAP espérée ainsi calculée représente la valeur "actuarielle" de la perte ou la "valeur pure de la prime d'assurance" (Feldstein p.116-7). Cette valeur est aussi appelée en langage statistique la valeur attendue.

$$\text{Valeur d'option} = \text{Prix d'option} - [\text{PAP au point de consommation} \times \text{risque}]$$

La différence entre le PO et la valeur attendue représente la valeur d'option qui reflète la valeur des facteurs subjectifs dont l'individu tient compte lorsqu'il décide d'acheter une assurance ou du prix qu'il paiera pour acheter cette assurance. En effet le prix d'option ne dépend pas strictement de la **probabilité objective** et du **coût du médicament** comme c'est le cas pour la valeur attendue. Le critère décisionnel pour déterminer le PO tient aussi compte de la **perception du risque de la maladie** (le risque) ou du **comportement de l'individu face au risque**, de la "désutilité" de la maladie (ou **l'importance de la perte**), et du **revenu** de l'individu. Ces facteurs sont tous des déterminants de la demande d'assurance. Nous déduisons que le PO est validé en fonction des facteurs qui affectent la demande d'assurance tout comme la PAP est validée en fonction des facteurs qui affectent la demande tels qu'énumérés ci-dessus.

#### 4.1 FACTEURS AFFECTANT LA DEMANDE D'ASSURANCE

##### 1) La probabilité objective ou le risque de l'événement

Le modèle théorique (Feldstein p.122) prévoit une augmentation de la demande d'assurance avec le risque de l'événement. Cependant le modèle théorique prévoit une augmentation moins marquée pour des événements qui comportent des risques soient très élevés (ex: grippe) ou très faibles (ex: cancer métastatique du sein). Par extension, nous présumons que le PO augmente avec le risque de l'événement mais de façon moins marquée pour des événements dont le risque est plus marqué.

L'âge et l'incidence familiale d'une maladie sont par exemple des facteurs de risque qui peuvent être pris en considération par le consommateur lors de l'achat d'une assurance. Une assurance qui couvrirait un traitement du cancer du sein, par exemple, n'a pas la même valeur aux yeux d'une femme en santé âgée de 35 ans par rapport à une femme âgée de 55 ans étant donné le risque plus élevé du cancer du sein métastatique chez les femmes âgées. La satisfaction retirée à l'achat d'une assurance peut donc être plus grande pour une femme de 55 ans et en conséquence le PO sera plus élevé. De même une femme âgée de 35 ans mais dont les proches parentes atteintes de la maladie sont nombreuses peut accorder une plus grande valeur à une assurance.

##### 2) La perception subjective du risque et comportement de l'individu face au risque (Feldstein pp.121-122)

La probabilité subjective d'occurrence d'un événement tel que la maladie est basée sur un jugement personnel et exprime le degré de confiance en la réalisation d'un certain événement. La probabilité subjective étant un jugement personnel, elle pourra donc être différente d'un répondant à l'autre et faire en sorte que les valeurs révélées soient divergentes et ne tiennent pas compte de la probabilité objective utilisée dans le calcul

de la valeur espérée de la PAP.

Ainsi, pour une même probabilité d'un événement, le PO peut varier d'un individu à l'autre dépendant de son attitude face au risque d'investir dans un projet qui peut ne jamais lui être bénéfique. Pour deux individus ayant le même risque de contracter une maladie, l'un peut acheter une assurance parce qu'il est prêt à prendre le risque que cette assurance ne soit pas rentable, alors que l'autre refuse de prendre le risque d'investir parce qu'il considère que cette assurance ne lui sera jamais rentable.

### 3) L'importance de la perte (Feldstein pp.121-122)

La demande pour d'assurance est d'autant plus élevée que la perte occasionnée par la maladie est importante. L'importance de la perte est déterminée par des facteurs tels que la QDV dont jouissait le malade avant la maladie, le coût de la maladie et le nombre d'enfants dans la famille.

Une femme jouissant d'une excellente qualité de vie peut attribuer une valeur plus importante à l'amélioration de la QDV apportée par un médicament utilisé pour traiter le cancer métastatique du sein par rapport à une femme ayant une moins bonne QDV. Nous déduisons que les personnes dont le revenu est plus élevé (jouissant ainsi d'une meilleure QDV) pourraient attribuer un PO à un médicament qui offre une amélioration de la QDV.

L'importance de la perte est d'autant plus élevée que les coûts occasionnés par la maladie le sont, puisque ces coûts représentent les coûts d'opportunité des patients (ce à quoi les patients doivent renoncer pour assumer les coûts de la maladie). Dans cette perspective, le PO pour un traitement du cancer pourrait être plus élevé que le PO pour le traitement d'une infection telle que la pneumonie.

Le nombre d'enfants et le statut civil constituent aussi des facteurs déterminants de l'impact de la maladie. L'impact d'une maladie telle que le cancer est d'autant plus élevé si une femme a des enfants en bas âge. L'impact est aussi plus important chez une femme célibataire qui doit s'assumer elle-même. Ces deux facteurs peuvent faire en sorte que la demande pour l'assurance-santé, et conséquemment le PO, soient plus élevés pour un traitement du cancer du sein dans des foyers où le nombre d'enfants est plus élevé et pour des femmes célibataires.

#### 4) Le revenu de l'individu (Feldstein pp.121-122)

La théorie économique prévoit que la demande d'assurance (par extension, le PO) augmente proportionnellement avec le revenu. Cette relation viendrait du fait que la somme accordée à l'achat d'une assurance est déductible d'impôt. En effet, une augmentation de salaire sous forme d'achat d'assurance peut permettre à l'individu de retirer des bénéfices qui ne sont pas comptabilisés dans le calcul de l'impôt.

Cette relation entre la demande et le revenu semble moins importante pour des individus dont le revenu est soit très faible, soit très élevé. Pour des individus dont le revenu est faible, la somme accordée pour l'achat d'une assurance pourrait représenter un coût d'opportunité relativement plus élevé, ce qui dissuade les individus à acheter une assurance quelque soit leur revenu. Les individus dont le revenu est très élevé pourraient plus facilement assumer les coûts de la maladie au moment nécessaire, et ne sembleraient pas apprécier autant l'avantage retiré à l'achat d'une assurance.

## 5.0 REVUE DE LA LITTÉRATURE

La recherche de littérature a été faite à l'aide des bases de données "MedLine" (base de données dans le domaine de la santé) et "EconLit" (base de données dans le domaine de l'économie) dans le but de retrouver les études pratiques réalisées dans le domaine de la santé. Nous avons utilisé les mots clefs: *willingness to pay* ou *contingent valuation* et *health* ou *drug treatment*.

Il ressort de cette recherche peu d'applications de la méthode d'analyse CA, dans le domaine de la santé. D'autres auteurs (Gauthier G, Huppé F) ont éprouvé les mêmes difficultés à retracer des études pratiques dans des domaines variés, incluant le domaine de la santé. Les études ont été réalisées surtout aux États-Unis et avaient principalement trois objectifs: évaluer les programmes de santé (prévention de la maladie mentale ou des maladies infectieuses telles que la malaria, programmes de vaccination, services hospitaliers, services aux handicapés), les nouvelles technologies (monitoring foetal électronique, les implants orthopédiques), les services médicaux (médecins spécialistes, maisons de repos) et les méthodes diagnostiques. La littérature abonde en ce qui concerne l'attribution de la valeur de la vie. Miller Calhoun et Arthur (Tolley p.133) ont à cet effet répertorié un total de 25 études qui leur a permis de calculer une valeur de la vie (1.95 million).

Parmi les applications de l'analyse CA dans le domaine de la santé, peu d'études utilisaient la méthode de détermination hypothétique comme mode d'évaluation de traitements médicamenteux. Nous avons retenu un total de 13 études dont la méthodologie et les principaux résultats sont résumés dans le tableau à l'appendice 1.

L'appendice 1 résume la méthodologie utilisée en fonction de l'objectif poursuivi, du choix de la population interrogée, du type de question, du mode d'administration du questionnaire et des techniques d'analyse statistique. Les résultats qui apparaissent dans ces tableaux décrivent les mesures d'association de la PAP avec les variables

socio-économiques et avec d'autres variables telles que la sévérité et la durée des symptômes.

En plus des études répertoriées dans l'appendice I, plusieurs études ont été menées afin d'évaluer la PAP des individus pour réduire les risques d'une maladie ou pour éviter d'éprouver des symptômes précis associés à la pollution de l'air par exemple. Nous trouvons pertinent de décrire quelques observations des auteurs de ces études quant aux choix méthodologiques et aux résultats. Certains de ces auteurs recommandent d'éliminer les valeurs extrêmes obtenues sous prétexte que celles-ci ont une influence significative sur la valeur moyenne de la PAP. Des auteurs ont éliminé 5% à 10% des valeurs extrêmes (Dixie et al). Certaines valeurs ont été enlevées de l'analyse sur la base du revenu (si la PAP est supérieur au revenu mensuel) ou selon la cohérence entre les valeurs révélées et le jugement du répondant quant à la sévérité des symptômes évalués (Dixie et al, Tolley, Rowe and Chestnut). Ces procédures peuvent paraître subjectives et arbitraires, mais jusqu'à maintenant elles semblent être admises comme processus de validation permettant d'épurer les données recueillies. De plus, notons que ces études (Loehman et al., Tolley p.87-9) ont démontré une association entre la sévérité de même que la durée des symptômes et la PAP.

Les tableaux présentés dans les prochaines sections ont été construits à partir de l'appendice I.

## DESCRIPTIONS DES ÉTUDES:

### Objectif poursuivi

Le but des études consistait à évaluer des traitements antidépresseurs, antihypertenseurs, antihistaminiques, antiarthritiques ou pour promouvoir la fertilité. Les sujets comprenaient soit des patients atteints de la maladie traitée mais qui ne recevaient pas le traitement à l'étude, soit des patients recevant le médicament à l'évaluation. Une seule étude s'adressait (Neuman PJ et Johannesson M) à des individus non affectés par le problème, "ou la maladie", étudiée. Cette étude avait pour but d'évaluer la PAP et le PO pour traiter le problème d'infertilité et s'adressait autant à des couples fertiles qu'infertiles.

### Scénarios

Dans plusieurs études (neuf), les patients n'avaient jamais éprouvé l'effet prévu du médicament. Toutes ces études décrivaient des scénarios hypothétiques: deux de ces études décrivaient un traitement préventif, quatre faisaient intervenir la notion d'incertitude en décrivant la probabilité de succès ou des effets secondaires des traitements et deux décrivaient les effets du traitement comme étant certains (100%).

### Méthodes

Une seule étude (Johannesson M, Aberg H et al) n'a pas validé les résultats à l'aide des mesures de corrélation. Plusieurs études (six) ont analysé les résultats à l'aide des corrélations simples sans faire appel à des modèles de régression multiples. Ces études comprenaient pourtant plusieurs patients, allant de 95 à 249 patients.

Parmi les études utilisant une question fermée (trois), deux ont employé des modèles

de régression logistique. Parmi les études utilisant soit une question ouverte (cinq), un système d'enchères (deux) ou des cartes de paiement (deux), deux ont fait appel à des modèles de régression linéaires, une a utilisé la méthode non paramétrique de comparaison des moyennes (Kruskal-Wallis) et deux ont utilisé la méthode de régression logistique. Les deux études ayant construit des modèles linéaires ont transformé la variable dépendante (la PAP et/ou le PO) en expression logarithmique.

Le tableau ci-dessous résume les caractéristiques des études définies en fonction des types de question et des techniques d'analyse utilisées. Tel que prévu les questions fermées doivent faire appel à des procédures non paramétriques incluant les modèles logistiques. Aucune étude utilisant le système d'enchères a utilisé des modèles linéaires. Ceci est probablement lié à un manque de puissance. La question ouverte et les cartes de paiement permettent d'analyser les résultats à l'aide de modèles linéaires. Toutefois dans cinq études, les auteurs se sont limités aux corrélations indépendantes mais n'ont pas précisé pourquoi. Les auteurs ont apporté des commentaires en regard de la distribution de la PAP pour deux de ces études seulement. Dans l'une des deux études, la PAP était légèrement déplacée vers la droite (Reardon G), et dans l'autre, la distribution de fréquence de la PAP était bimodale et légèrement déplacée vers la droite (Appel JL).

Tableau III: Caractéristiques des études

Question	Modèles linéaires		Modèles logistiques	Kruskal- Wallis	Corrélations indépendantes
	Ex-Post (PAP)	Ex-ante (PO)			
<b>Ouverte</b>	0	0	0	0	3
<b>Enchères</b>	0	0	2	0	1
<b>Ouverte et enchères</b>	1	1	0	1	0
<b>Cartes de paiement</b>	1	0	0	0	1
<b>Fermée</b>	0	0	2	0	1

Une étude (Johannesson) a utilisé la méthode non paramétrique pour calculer la valeur moyenne de la PAP dont l'axe des ordonnées représente le pourcentage (%) de répondants étant prêts à payer des montants indiqués sur l'axe des abscisses. Cette méthode est conforme avec la théorie économique de la demande qui calcule la PAP à l'aide de l'aire sous la courbe de la demande, établie en fonction des différentes valeurs au marché.

Dans une étude seulement, les auteurs ont précisé avoir utilisé un consentement éclairé (Appel JL).

### Résultats

Les études ayant construit des modèles de régression linéaires comprenaient les variables âge, revenu, éducation et nombre d'enfants dans la famille (Johannesson, Neuman PJ). Le revenu était significatif dans deux modèles et n'était pas significatif dans le modèle de prédiction du PO. Dans une même étude, l'éducation et le nombre

d'enfants étaient significatifs dans le modèle de prédiction du PO, mais pas de la PAP pour les procédures de fertilisation (Neuman PJ).

Les variables éducation et revenu étaient significatives dans le modèle de régression logistique construits dans le cadre de l'étude portant sur les produits de contraste qui réduisent les effets secondaires (Appel JL). Cependant aucune des variables socio-démographiques n'était significative dans les deux modèles de régression de prédiction de la PAP pour un traitement préventif de l'hypertension (Johannesson M, Jonsson B et Johannesson PO), sauf pour le montant proposé qui était une des variables des deux modèles. Ces résultats ont démontré une relation significative inverse entre le pourcentage de répondants ayant accepté le montant proposé et le montant proposé lui-même. Plus le montant proposé était élevé, plus le pourcentage de répondants acceptant le montant proposé était faible. Cette observation est conforme avec la théorie économique de la demande qui prévoit une diminution de la demande avec l'augmentation de la valeur au marché des biens.

Les tableaux IV et V résument les résultats des études pour les différentes variables socio-démographiques compte-tenu des techniques d'analyse utilisées (modèles ou corrélations simples) et du type de question posée. La proportion du nombre d'études dont les variables socio-démographiques étaient significatives, était plus élevée lorsque des modèles de régression multiples ont été utilisés.

Aucun des modèles des trois études dont la question était fermée, n'était significatifs. La question fermée comporte des biais de point de départ dûs au fait que les répondants sont influencés par le montant proposé. Il semble que le fait de suggérer un seul montant entraîne des biais plus importants que lorsque plusieurs montants sont proposés (ex. système de cartes de paiement).

Un pourcentage élevé de variables significatives a été observé lorsque la question

ouverte et/ou le système d'enchères étaient utilisés. Ces types de question incitent les individus à réfléchir à leur réponse et à révéler des montants qui soient plus réalistes. Le fait d'utiliser un système de questions combinées (question ouverte et système d'enchères) a aussi incité les répondants à révéler les montant maximum qu'ils étaient prêts à payer.

Tableau IV : Nombre d'études (%) dont les variables étaient significatives

Variables	Modèles linéaires		Modèles logistiques	Kruskal -Wallis	Corrélations simples
	Ex-Post (PAP)	Ex-Ante (PO)			
<b>ÂGE</b>	0	0	2(50)	0	2(33)
<b>ÉDUCATION</b>	2(100)	1(100)	3(75)	0	1(17)
<b>NOMBRE D'ENFANTS</b>	0	1(100)	0	0	1(17)
<b>REVENU</b>	2(100)	0	3(75)	0	2(33)
<b>SEXE</b>	1(50)	NA	0	0	0

Tableau V: Nombre d'études (%) dont les variables étaient significatives en fonction des différents types de questions

Variables	Types de questions				
	Ouverte	Enchères	Ouverte et enchères	Cartes de paiement	Fermée
ÂGE	1(33)	1(33)	0	0	0
ÉDUCATION	2(66)	1(33)	1(50)	1(100)	0
NOMBRE D'ENFANTS	0	1(33)	1(50)	0	0
REVENU	2(66)	0	1(50)	1(100)	0
SEXE	1(33)	NA	NA	1(100)	0

Une étude utilisant des questionnaires envoyés par la poste (Johansson) suggère que les questions fermées donnent lieu à un plus haut taux de réponses, alors que les questions ouvertes résultent en de nombreuses données manquantes. Plusieurs répondants ont répondu à la question ouverte en indiquant qu'ils refusaient de répondre à la question de la PAP parce qu'ils ne devraient pas payer pour recevoir le médicament. Il semble que l'utilisation d'une question ouverte exige la présence d'un intervieweur.

Une étude a observé une relation significative entre la PAP et le nombre de symptômes et deux études ont observé une relation significative entre la PAP et la sévérité des symptômes. Ces résultats sont cohérents avec la théorie de la demande qui prévoit une augmentation de l'utilité (la PAP) avec l'augmentation des bénéfices marginaux (Tolley). Certains auteurs suggèrent d'utiliser la mesure du changement de la PAP en fonction de la variation des bénéfices marginaux comme mode de validation des valeurs de la PAP (Boyle K et al). Une étude faisant intervenir la notion de probabilité et d'incertitude a démontré une relation positive mais non significative entre la PAP et la probabilité de succès de la procédure et la PAP (Neuman PJ et Johannesson M).

## CONCLUSION:

La construction de modèles comprenant plusieurs variables est souhaitable afin de tenir compte des effets confondants et/ou des interactions semblent qui pourraient se produire. Pourtant, trois études à questions ouvertes étaient analysées à l'aide de corrélations simples seulement. Ce phénomène peut être attribué au fait que les modèles de régression linéaires, construits à partir des réponses révélées par des questions ouvertes et/ou des systèmes d'enchères sont des techniques précises, mais exigeantes au niveau des hypothèses de base, notamment la distribution de la PAP/PO et la nature des liens avec les variables indépendantes. Plusieurs auteurs optent pour la question fermée ou des cartes de paiements ou des systèmes d'enchères afin de faciliter la tâche aux répondants et d'utiliser des techniques d'analyse plus robustes aux déviations de la normalité (Kristrom B). Cependant les informations apportés par ces techniques sont moins précises et nécessitent une grande taille d'échantillon. Aucun modèle de la revue n'a donné lieu à des variables socio-économiques significatives, alors que plusieurs variables socio-économiques étaient significatives dans les modèles de régression linéaires.

Nous concluons les questions ouvertes et/ou les systèmes d'enchères sont souhaitables pour déterminer la PAP, étant donné que celles-ci incitent les individus à réfléchir et sont peu sujettes aux biais de point de départ, et que les techniques de régression linéaires utilisées sont plus précises. Le fait qu'un plus grand nombre de variables socio-économiques étaient significatives supporte l'hypothèse que la question ouverte, et le système d'enchères permettant d'obtenir des valeurs sur des échelles continues sont plus adéquats que la question unique fermée résultant en des valeurs discrètes.

## 6.0 ASPECTS CONCEPTUELS

### 6.1 NOTIONS D'UTILITÉ

**L'utilité est l'unité de la mesure quantitative du degré de satisfaction, lui-même exprimé pour un état de santé bien défini, par un individu malade ou en bonne santé.** Historiquement (Von Neumann et Morgenstern), l'utilité a été conçue comme une mesure quantitative du degré de satisfaction, tout comme l'échelle en degré de Celsius a été conçue afin de mesurer la sensation de chaleur.

Les valeurs quantitatives utilisées pour mesurer la température, la vitesse, le poids ou l'utilité sont reliées entre elles selon un système qui leur est propre et qui s'exprime à l'aide de plusieurs échelles: ordinale, intervalle ou ratio. Lorsque les fonctions d'utilité sont construites sur des échelles ordinales, celles-ci représentent les classements selon un ordre de préférence. C'est-à-dire qu'il est possible d'organiser les valeurs obtenues sur une **échelle ordinale** et d'établir un ordre de priorité entre les alternatives: par exemple la transplantation rénale est préférée à la dialyse. Ces échelles ne permettent pas d'attribuer une valeur numérique aux degrés de préférence ni de déterminer les intensités de préférence.

Des instruments de mesure tels que les jeux de loteries (Standard Gamble) ou le marchandage du temps (Time Trade Off) ont été développés afin de numériser le degré de satisfaction en terme d'utilité et d'observer les mesures d'utilité obtenues sur une échelle dite neumaniennes qui est construite sur une **échelle d'intervalle** (L.Moto p.96, 97). Le fait d'utiliser une loterie permet de chiffrer les préférences et de les représenter sur une échelle d'intervalle dite neumanienne. Von Neumann écrit à ce sujet: *"The introduction of numerical measures can be achieved even more directly if use is made of all possible probabilities"* (Von Neumann et Morgenstern p.18).

La température ( $^{\circ}\text{C}$  ou  $^{\circ}\text{F}$ ) est un exemple de mesure sur une échelle d'intervalle. Il n'existe pas de zéro absolu pour désigner l'absence de température, contrairement à l'échelle utilisée (ratio) pour mesurer le poids, la vitesse ou le prix d'un médicament. Ces échelles produisent des unités de mesure qui permettent de comparer les différences entre les valeurs obtenues (ex:  $60^{\circ}\text{C} - 40^{\circ}\text{C} = 30^{\circ}\text{C} - 10^{\circ}\text{C}$ ): il est possible d'affirmer que la différence est de  $20^{\circ}\text{C}$  dans les deux cas. Mais cette différence ne se traduit pas par une même sensation d'augmentation de la chaleur. L'échelle d'intervalle utilisée pour organiser les utilités neumanienne ne permet donc pas d'interpréter les rapports d'intensité au même titre que le poids (Kg) d'une personne ou le prix d'un médicament (\$). Ne serait-il pas pertinent de définir les intensités des préférences de telle façon que l'on puisse conclure qu'une transplantation rénale est deux fois plus appréciée que la dialyse et ainsi conclure qu'il est raisonnable de payer deux fois plus cher pour la transplantation rénale ? Seule une **échelle de ratio** permet de tirer une telle conclusion.

Idéalement il serait donc plus valable de construire des fonctions d'utilité sur une échelle de ratio plutôt que sur une échelle d'intervalle comme c'est le cas des valeurs des utilités obtenues à l'aide des approches de Standard Gamble et Time Trade Off. De plus les unités de mesure utilisées par ces deux approches ont l'inconvénient d'être conçues artificiellement, et doivent répondre à plusieurs exigences ou hypothèses qui sont dans la réalité difficilement observables (p.36 Fondements théoriques de l'..):

"Ces approches résistent difficilement à un examen sérieux des hypothèses et théories sur lesquelles elles se fondent." (Duru p.117).

*"This procedure for a numerical measurement of the utilities of the individual depends, of course, upon the hypothesis of completeness in the system of individual preferences" (p.19 Von Neumann).*

La PAP correspond au montant d'argent que le consommateur accepte de payer pour accéder à un niveau de satisfaction (utilité) plus élevé, et en ce sens la **PAP représente une approximation de l'utilité**. La PAP représente le montant d'argent que l'individu est prêt à payer pour un médicament qui lui permette, soit de revenir à son niveau de satisfaction avant la maladie, ou d'améliorer son état de bien-être. Le bénéfice offert par le traitement compense pour le montant d'argent investi. C'est le principe de variation compensatoire. Dans le cas d'un médicament utilisé à titre préventif (ex: les anti-hypertenseurs préviennent les maladies coronariennes), la PAP représente la variation équivalente. C'est ainsi que plusieurs auteurs définissent la PAP en terme d'utilité:

*"Expenditures necessary to maintain a specific utility level decrease with an increase in quality ( $Q_0$  to  $Q_1$ ) so that  $WTP > \text{or equal to } 0$ "(Whitehead et al.).*

"La PAP consiste à évaluer si le prix à payer d'un médicament destiné à améliorer le bien-être d'un individu est compensé par le gain de bien-être, défini en fonction des valeurs propres à chaque individu"(Gauthier G.).

Or le dollar est une unité naturellement située sur une échelle de ratio. En effet la valeur 0 \$ a une signification universelle, et on peut conclure qu'un bien d'une valeur de 50 \$ est deux fois plus cher qu'un bien dont le prix est 25 \$. Des économistes (Townley, p.95) affirment:

*"One way to proceed is to transform changes in utility into something which can be measured in meaningful units. That is, one would like to transform an ordinal measure into a cardinal one. Although one could use donkeys, apples or bales of hay -any numeraire would do- dollars are the most convenient yardstick. Economists use willingness-to-pay measures to accomplish this conversion."*

La PAP est donc une approximation de la valeur de l'utilité dont l'unité, le dollar, permet théoriquement de comparer la valeur des biens sur une échelle de ratio, contrairement à la valeur de l'utilité obtenu sur une échelle d'intervalle à l'aide d'instruments tels que le Standard Gamble, le Time Trade Off.

La méthode de la PAP est la seule méthode qui englobe les externalités **à la condition que l'échantillon soit représentatif de la population.**

## 6.2 POSTULATS DE BASE ET CONSIDÉRATIONS ÉTHIQUES

Le cadre conceptuel de l'analyse CA repose principalement sur 3 postulats ou jugements de valeur. La description des postulats qui sous-tendent l'analyse coûts-avantages nous permettra de soulever les questions d'éthique à la base des multiples contestations dans le domaine de la santé, et par le fait même de mieux comprendre le point de vue des opposants à l'utilisation de ce type d'analyse:

- 1- Les intensités des préférences de chacun doivent compter.

L'analyse tient compte des préférences de tous les individus qui composent la société sans aucune discrimination. Contrairement à l'entreprise privée dont le profit constitue l'intérêt majeur, la prise de décision dans une analyse CA ne tient pas uniquement compte des effets sur le décideur.

Ce type d'analyse peut contrarier ceux qui considèrent que l'on doit décider pour les autres. Par exemple, les mesures utilisées pour empêcher la consommation de la drogue: l'individu consommant de la drogue n'est pas disposé à prendre ce genre de décision. Ce jugement est sans doute à la base des objections émises par certains quant à l'analyse C/A auprès d'une population de mourants: "*Willingness to pay to prevent*

*imminent, painless death is an impossible contingent-valuation question.*”(Tolley p.125). Au moment de l'approche de la mort, l'individu étant dans un état émotif intense, il est en moins bonne position pour prendre des décisions rationnelles.

2- Les préférences de chacun sont pondérées par le revenu.

La valeur du bénéfice mesuré varie en fonction du revenu des individus. La PAP est d'autant plus élevée que le revenu de l'individu est important et inversement les bénéfices mesurés sont plus faibles pour un individu moins fortuné. Le revenu des individus est donc un facteur déterminant comme critère décisionnel pour déterminer le prix et les quantités produites.

Ce type d'analyse peut donc contrarier ceux qui prônent l'égalité. L'équité est le principe remis en question. Ce jugement va à l'encontre du code canadien de l'acte de la santé qui prône l'universalité et l'accessibilité. Certains diront que ce système de mesure est juste étant donné que les gens riches contribuent plus pour la société -leur salaire ou revenu est plus élevé parce qu'ils ont un rôle plus important-.

Ceux qui admettent que la répartition actuelle des revenus est juste estiment que la méthode est équitable (Gauthier p.128). Selon eux, les individus payés à la valeur de leur production, et donc à la valeur de leur contribution à la société, méritent des bénéfices qui soient à la hauteur de leur contribution.

À l'ère des compressions budgétaires, l'accessibilité est devenue si problématique qu'il est même possible qu'une contestation juridique des lois canadiennes restreignant le rôle des compagnies d'assurance privées puisse réussir. Plutôt que d'attendre, de plus en plus de personnes aisées se tournent vers le monde de l'assurance où il existe des produits permettant de contourner le problème d'attente

par exemple (Coude-Lord M). Les soins de santé deviendraient donc un marché dans lequel ceux qui ont des revenus plus élevés bénéficient d'une meilleure qualité de services.

- 3- L'unité de mesure des préférences est uniforme quelque soit le statut économique (individus riches ou pauvres)

L'avantage net résulte de l'agrégation des valeurs de la PAP pour tous les individus en considérant que la valeur d'un dollar est la même pour tous les individus qu'ils soient riches ou pauvres. Ce faisant, l'analyse CA considère que tous les individus doivent être traités également quelque soit leur revenu. Dans les faits, un dollar pour un individu riche vaut moins qu'un dollar pour un individu pauvre mais cela n'est pas pris en compte lors du calcul du bénéfice net de même que pour la redistribution du bénéfice. Ce postulat a un impact à la fois dans l'évaluation du bénéfice net -donc de la prise de décision- qu'au moment de la redistribution du bénéfice net.

Ce problème relève de la **redistribution**. Si des avantages sont octroyés aux plus favorisés, il faut que ces mêmes avantages puissent profiter aux plus démunis. Si quelqu'un a davantage qu'un autre, pour que cela soit juste, il est bon qu'il l'en fasse bénéficier. Rawls affirme à ce sujet:

*"Social resources must be released to the government so that it can provide for the public goods and make the transfer payments necessary to satisfy the difference principle"*(Rawls p.278).

Un argument en faveur de ce postulat est que le processus de taxation, pondéré en fonction du revenu, permet la redistribution des bénéfices nets encourageant ainsi le principe d'équité (Townley p.99). Le gouvernement par son pouvoir de taxation

assume le processus de transfert, ou la redistribution des bénéfices nets, dédommageant ainsi les perdants (Gauthier G p.128).

Dr Gafni reconnaît que cette méthode pose un problème d'éthique et des problèmes pratiques dans une société occidentale comme la nôtre où la répartition du revenu n'est pas uniforme:

*"But, because the current distribution of income is not equal, comparison of the dollar value for various persons is difficult and involves subscribing to equity statements which are felt to be too strong by some."*(Gafni A. Willingness-to-pay: a story about the baby and the bath-water).

Certains auteurs proposent aussi de pondérer le dollar en fonction du revenu de l'individu (Gauthier G, p.150). Mais là encore la décision de pondérer et le facteur de pondération doit faire appel à des jugements de valeurs qui sont souvent controversés.

### 6.3 COMPARAISON DE LA QUALITÉ DE VIE AVEC LA PROPENSION À PAYER

#### Mesure de la validité et Concept

Le problème de validité dans une étude coût-bénéfice est différent de celui d'une étude sur la qualité de vie. Le problème de validité dans une étude de QDV est lié au fait que la qualité de vie représente un concept abstrait, large et vague dont la définition varie selon le groupe de chercheurs ou la nature du problème de santé. Cette première étape de validation d'un instrument de mesure de la QDV, appelée validation du contenu, consiste à définir les variables ou les composantes du questionnaire qui seront considérées dans la mesure de la QDV. Les différentes définitions accordées à la QDV et la variété des instruments utilisés pour déterminer la QDV peuvent conduire à une ambiguïté, réduisant la possibilité de comparer les résultats d'une maladie ou d'un traitement à l'autre.

Contrairement à la qualité de vie, la PAP n'est pas un construit mais un concept concret qui est clairement défini et qui est en relation directe avec le bénéfice net du projet. Le problème de validation est lié à la création d'un marché hypothétique -évaluation contingente à un marché- qui ne reflète pas nécessairement la réalité.

#### Externalités

La QDV ignore le rôle des externalités (Gafni). Or les décisions qui ne tiennent pas compte des externalités peuvent poser des problèmes d'allocation des ressources. Il faut tenir compte des externalités possibles lorsqu'on tente d'évaluer la vie humaine. Un individu peut être prêt à payer une certaine somme pour améliorer sa sécurité, mais il sera peut-être également prêt à payer pour réduire le risque que subissent ses

proches (Gauthier G p.254, Gafni). Les externalités peuvent être intégrées dans une évaluation en tenant compte par exemple de la valeur d'option ou de la PAP des hommes lors d'une évaluation d'un traitement du cancer du sein métastatique.

#### Équité (Tolley p.124 et Rheault S pp.10-15)

La méthode de QDV considère la santé comme une condition de vie prédominante qui transcende tous les aspects économiques et sociaux au niveau individuel. Selon ce principe, une vie -une journée ou une année- en pleine santé possède la même valeur pour tous les individus quelque soit leur statut socio-économique. Les tenants de la méthode de la QDV (Torrance) soutiennent que la valeur d'un programme en santé (incluant médicament) doit être la même quelque soit le statut social ou le niveau socio-économique d'un individu (Tolley G.). En ce sens l'utilisation de la QDV est conforme au principe d'équité "horizontale" signifiant que "les individus ou les groupes présentant les mêmes caractéristiques socio-économiques (âge, sexe, revenu familial etc...) sont considérés de la même façon"(MSSS). Ceci est conforme au principe d'universalité selon le Code Canadien de la Santé qui assure que les individus moins fortunés doivent avoir le même poids dans les prises de décisions politiques que les individus mieux nantis. Gafni (Willingness-to-Pay...) admet que la QDV présente un attrait du point de vue de l'équité sociale.

Contrairement à la mesure de la QDV, la mesure de la PAP est confondue avec le niveau socio-économique (donc la capacité de payer des individus). La PAP est influencée par les revenus des individus: un individu plus riche est prêt à payer un plus gros montant qu'un individu moins fortuné. Les tenants de la méthode de la PAP soutiennent que les mesures des bénéfices doivent tenir compte de la réalité du marché qui fait en sorte que les gens valorisent les choix qui leur sont offerts différemment en fonction de leur statut socio-économique. L'utilisation de la PAP est conforme au

principe d'équité verticale signifiant que "les individus ou groupes ayant des caractéristiques socio-économiques différentes sont considérés de façon différente"(Rheault).

Le problème d'utilisation de la PAP comme critère décisionnel le contexte canadien vient du fait que cette mesure va à l'encontre du principe d'équité d'accès qui, tel que définie dans la loi canadienne, fait abstraction de la capacité de payer. En effet la Loi canadienne de la santé garantie l'équité d'accès sans égard à la capacité de payer par son principe de l'Universalité, signifiant que toutes les personnes ont droit au même traitement, sans égard à leur capacité de payer. Mais dans les faits, la contribution sous forme de taxe varie en fonction du revenu et fait en sorte que le système est financé en fonction de la capacité de payer (MSSS). Même à l'heure actuelle tout le monde n'est pas traité de manière identique: "Le système à deux vitesses existe même s'il n'est pas officiel" affirme le Dr.Carignan, Directeur de l'Institut de Cardiologie de Montréal (Thibodeau M.).

Nous comprenons ainsi que les jugements, portés à l'égard d'un système où toute la population participe au partage des ressources, sont relatifs à la définition accordée à la notion d'équité: équité verticale vs équité horizontale. Certains auteurs tel que Julian LeGrand (Rhéault S. pp.10-5) vont même jusqu'à définir l'équité comme une fonction de la capacité à payer et de la possibilité de choisir: une femme plus riche devrait donc pouvoir accéder à des soins plus rapidement dans une clinique privée.

Notre but n'est pas de trancher ces débats de fond, mais simplement de soulever les controverses qui animent les discussions quant à l'utilisation de la PAP comme critère décisionnel de l'allocation des ressources dans les système de la santé.

### Méthode d'agrégation et critère décisionnel

Les coûts mesurés dans les études utilisant des questionnaires de QDV (de même que toutes les études de QALY ou coûts-efficacité) sont exprimés indépendamment des bénéfices contrairement à la méthode de la PAP qui intègre les coûts dans une valeur nette. Les résultats sont exprimés en terme de coût par QDV par exemple. D'un point de vue pratique, les résultats des études de QDV peuvent aboutir à des zones grises qui confondent les décideurs. Par exemple, quelle décision prendre dans le cas où le médicament offre une meilleure QDV à un coût plus élevé par rapport à un traitement standard comme c'est le cas du Taxol ou du Taxotère. Les études coûts-QDV et coûts-efficacité se buttent donc un jour ou l'autre au problème de monétisation: à quel coût peut-on se permettre une amélioration de la QDV de "x" ? En d'autres mots combien vaut une augmentation de QDV de "x" ? La PAP représente la valeur monétaire de la QDV et répond à cette question, mais ne peut mesurer l'amélioration de la QDV en soit. C'est ainsi que les deux méthodes sont des outils complémentaires à la prise de décision (Tolley p.118 et 121).

### Pondération des préférences

La méthode PAP imite les marchés le plus conformément avec la réalité. Le contexte du questionnaire doit refléter aussi précisément que possible les conditions de marché auxquelles l'individu est régulièrement confronté. Dans ce contexte, l'individu répond en fonction de ses propres contraintes budgétaires et on dit que leurs préférences sont pondérées en fonction de leur capacité à payer.

Contrairement à la méthode de la PAP, la méthode de la QDV fait abstraction de toute contrainte et amène l'individu à se détacher de ses problèmes et de sa condition socio-économique. Les préférences révélées dans ce cas ne sont pas pondérées par la

capacité de payer. Ce contexte fait en sorte que les réponses ne correspondent pas aux réalités et aux choix que les individus doivent faire dans leur quotidien. Ceci est tellement vrai que certains auteurs introduisent des changements dans les scénarios (par exemple les probabilités) dans le but de retrouver des conditions qui ressemblent aux situations que les individus doivent affronter quotidiennement.

Dans un certain sens, les résultats obtenus à l'aide de la méthode de la PAP peuvent être d'une plus grande validité que les résultats de la QDV parce que les conditions d'administration correspondent à un monde qui se rapproche plus de la réalité. Cependant dans le domaine de la santé au Canada, les individus sont peu souvent confrontés avec la question monétaire, notamment pour recevoir un traitement du cancer du sein métastatique. Le contexte du système de santé au Canada peut donc justifier les doutes quant à la validité des réponses obtenues par la méthode de la PAP.

#### Jugements de valeur

La conversion des valeurs humaines en unités monétaires exige de faire appel à des jugements de valeur qui sont subjectifs. L'analyse CA adresse ce problème directement alors que la QDV évite ou contourne ce problème. Mais en fait tôt ou tard la conversion est nécessaire étant donné les compressions budgétaires.

#### Conclusion

Le tableau suivant résume les différences entre la QDV et la PAP. La PAP est une approche essentiellement économique qui diffère de la mesure de la QDV sous plusieurs aspects. Certains auteurs recommandent l'utilisation simultanée de ces deux approches considérées comme complémentaires (Tolley p.133). La PAP pourrait éventuellement être utilisée pour attribuer une valeur économique, en terme de dollars,

à l'amélioration de la QDV: "To be useful for our purposes, *QUALYs* must be expressed in terms of what people would be willing to pay to obtain them."(Tolley)

Tableau VI: Propension à Payer vs Qualité de Vie

CRITÈRES	APPROCHES UTILISÉES	
	PROPENSION À PAYER	QUALITÉ DE VIE
CONCEPT	Concret	Abstrait
ÉCHELLE DE LA MESURE	Ratio	Intervalle
ÉQUITÉ	Horizontale et Verticale	Horizontale
EXTERNALITÉS	Considérées	Non considérées
PONDÉRATION DES PRÉFÉRENCES	En fonction du statut socio-économique	Non pondérée en fonction du statut socio-économique
CRITÈRE DÉCISIONNEL	PARETO: Choix du projet en fonction de la VAN ou l'AN Valeur <u>précise</u>	Rapport QDV/Coût; Choix <u>arbitraire</u> du seuil de décision
MESURE DE LA VALIDITÉ	Régression linéaire ou logistique	Analyse factorielle
RÉPONDANTS	Familiers ou non avec le médicaments ou la maladie	

## **PARTIE II:ÉTUDE DE FAISABILITÉ DE LA MÉTHODE DE DÉTERMINATION HYPOTHÉTIQUE DE LA PAP POUR UN TRAITER LE CANCER DU SEIN MÉTASTATIQUE**

### **1- INTRODUCTION**

Le traitement du cancer métastatique du sein a pour objectifs principaux de soulager les symptômes, de préserver ou améliorer la qualité de vie et si possible de prolonger la survie (Osoba D). Il est reconnu que l'amélioration de la qualité de vie représente un critère majeur qui détermine le choix de la chimiothérapie (Seidman AD). Les résultats d'études récentes indiquent que les nouvelles thérapies utilisées pour traiter le cancer métastatique du sein (les taxanes) semblent améliorer la qualité de vie (QDV) par rapport aux traitements standards (Osoba D). Des études mesurant le degré d'amélioration de la QDV par ces nouveaux agents sont en cours.

Étant donné le coût élevé de ces nouvelles thérapies, le choix de la thérapie présente un déficit important, du point de vue clinique, économique et éthique. En effet le coût moyen additionnel associé à l'utilisation des nouveaux traitements alternatifs au Canada représente un montant de deux à trois milliards de dollars par année\*. Ce calcul tient compte du coût additionnel des nouvelles thérapies médicamenteuses par rapport aux traitements standards (cinq à six fois plus élevé), de la prévalence du cancer métastatique du sein dans l'ensemble de la population au Canada (4%) et de la population de femmes au Canada âgées entre 40 et 90 ans en 1996 (6 196 000).

Les patients, les gestionnaires des hôpitaux, les assureurs, les médecins et la société sont donc confrontés au problème du coût associé aux bénéfices apportés par ces nouvelles thérapies. Les enjeux diffèrent en fonction des principaux intéressés.

\* Données issues des projections de Statistiques Canada 1997:

Prévalence (4%) x Population (6,196,000) x Coût additionnel (\$ 8,000 à \$ 12,000) = 2 à 3 milliards

Les outils utilisés pour évaluer ces thérapies doivent tenir compte de l'ensemble des bénéfices incluant les bénéfices intangibles tels que l'amélioration de la QDV et des coûts imputés aux patients, hôpitaux, assureurs, compagnies pharmaceutiques. Les domaines où les améliorations de la santé sont à peine perceptibles, et pour lesquels la qualité de vie constitue un effet recherché ont été identifiés comme champs d'applications pertinents de l'évaluation de la PAP (Robinson R). À notre connaissance, aucune étude de la PAP n'a été réalisée dans le domaine du cancer du sein. L'évaluation d'un traitement offrant une amélioration de la qualité de vie chez des femmes atteintes de cancer métastatique du sein nous paraissait donc pertinent comme application.

De plus l'analyse CA est la seule méthode d'évaluation qui mesure la valeur des externalités et la valeur d'option (Gafni). Or il est d'autant plus important de tenir compte de la valeur d'option lorsque l'usage de ce médicament est peu courant et l'incertitude est présente comme dans le cas du cancer du sein métastatique (Labelle et Hurley). Les femmes ressentent une grande inquiétude quand aux chances d'être atteintes du cancer du sein et à la nécessité de recevoir un médicament qui est peu usuel.

La méthode de détermination hypothétique de la PAP peut être appliquée selon deux perspectives. La première, appelée "Ex-Post", consiste à évaluer la PAP au point de consommation (PAP). Dans ce contexte, des individus en santé sont confrontés à une situation hypothétique décrite à l'aide d'un scénario et permet ainsi d'évaluer la PAP de ces individus pour un traitement médicamenteux, comme celui utilisé pour améliorer la QDV. La deuxième, appelée "Ex-Ante", consiste à déterminer la PAP pour accéder aux soins adéquats avant même la manifestation de la maladie. La PAP dans une telle situation représente la mesure du prix d'option (PO) destiné à calculer la valeur d'option.

Cette méthode comporte cependant de nombreux problèmes méthodologiques liés aux biais et à la difficulté d'inférer les résultats à l'échelle de la population (Robinson,

Mitchell&Carson). L'Office Canadien de Coordination de l'Évaluation des Technologies de la Santé souligne à cet effet (CCOHTA):

*“More research on the feasibility, reliability, validity and responsiveness of the willingness-to-pay is required before it can be recommended for submissions. Analysts are, however, encouraged to include it in studies both for the potential usefulness of the information and for the methodological benefits of gaining more experience.”*

L'objectif principal de cette étude était de déterminer la faisabilité de la méthode de détermination de la PAP et du PO auprès d'individus en bonne santé, pour un traitement hypothétique destiné à améliorer la QDV des patientes atteintes de cancer métastatique du sein. La faisabilité est déterminée par la définition de modèles explicatifs de la PAP/PO en considérant des variables qui, selon la théorie économique, auraient un impact sur la demande des soins de santé (Feldstein). L'analyse des modèles permettra de considérer de nouvelles hypothèses quant aux liens de corrélation de la PAP/PO. La faisabilité a aussi été déterminée par la réaction des répondants: le type de question ou de commentaires qu'ils faisaient au cours de l'entrevue et leur compréhension du scénario. L'objectif secondaire de cette étude était de standardiser un instrument de mesure de la PAP/PO ainsi qu'un cadre d'analyse des valeurs attribuées à un traitement destiné à améliorer la QDV.

Cette étude est un premier pas vers le développement d'une méthode de détermination de la PAP des individus sains pour améliorer la QDV de patients(es). Le but de cette étude n'était pas d'inférer la valeur de la PAP à l'échelle du Canada, ni de recommander une politique de remboursement, car elle s'adresse à une couche très spécifique de la population, les infirmières.

## 2. MÉTHODOLOGIE:

### 2.1 ÉCHANTILLON

Nous n'avons pas approché les femmes atteintes du cancer pour des raisons éthiques et méthodologiques. La nature des questions utilisées par la méthode de la PAP fait en sorte que l'individu ne peut se détacher de ses problèmes. À l'approche de la mort, de telles questions peuvent susciter des craintes: "*the key to obtaining responses in both situations is keeping dread at bay*" (Tolley p.125). Cet argument est sans doute à la base des objections émises par certains quant à l'application de l'analyse CA directement auprès d'une population de mourantes: "*Willingness to pay to prevent imminent, painless death is an impossible contingent-valuation question.*"(Tolley p.125). De plus les médecins spécialistes en oncologie que nous avons consultés se sont opposés à ce que nous utilisions des questionnaires qui pourraient soulever l'angoisse des patients qui sont déjà très émotifs à ce stade de la maladie.

Le groupe d'infirmières ayant une expérience auprès des patientes atteintes de cancer du sein nous paraissait adéquat. Celles-ci sont près des patients et connaissent les répercussion du cancer sur la QDV. Leur expérience professionnelle leur permet d'avoir une opinion éclairée sur l'ensemble des états de santé qu'un patient doit traverser. Un tel devis été utilisé dans une étude qui consistait à évaluer les différentes valeurs d'utilité correspondant aux traitements du cancer du sein métastatique (Taxol vs Taxotère) (Luanois RJ et al).

Un groupe de 25 infirmières de l'Hôtel-Dieu a été approché, dont 12 travaillant à l'unité de soins médicaux et 13 à l'unité de soins chirurgicaux, et toutes ont signé un consentement éclairé. L'échantillon répondait aux critères suivants: infirmières n'ayant jamais été affectées par le cancer du sein, travaillant auprès des patientes atteintes de cancer du sein à l'hôpital Hôtel-Dieu, âgées entre 20 et 65 ans. L'échantillon a été sélectionnée selon la convenance et non randomisé.

Les entrevues ont été effectués dans un premier temps avec 8 des 13 infirmières de

l'unité de soins chirurgicaux puis avec les 12 infirmières de l'unité médicale, et en dernier lieu avec 5 infirmières de l'unité de soins chirurgicaux.

## 2.2 SCÉNARIO

Nous avons procédé à plusieurs essais avant de finaliser le scénario. Nous avons constaté que les répondants avaient une meilleure compréhension du scénario et de la question sur la propension à payer, et que le taux de réponses obtenu était supérieur, lorsque l'entrevue était menée par un interviewer de personne à personne, plutôt que par écrit ou par la poste. L'intervention d'un interviewer en réitérant les questions permet aux répondants de repenser à leur réponse et d'augmenter ainsi le nombre de réponses plausibles (Thompson). Le protocole et le scénario ont été approuvés par le comité d'éthique de recherche de l'Hôtel-Dieu. Toutes les infirmières qui ont été approchées et interrogées ont signé un consentement éclairé (appendice IV).

Nous avons standardisé le contenu du scénario (appendice III) afin de minimiser la variabilité des réponses liée à la formulation du scénario. Des auteurs (Lipscomb) ont observé les problèmes méthodologiques que posent l'élaboration d'un scénario liés à la sensibilité des répondants à la formulation du scénario. Les entrevues consistaient à décrire la qualité de vie des patientes atteintes de cancer conformément au scénario écrit et à présenter un schéma, utilisé comme support visuel, par le même interviewer à toutes les infirmières. Un questionnaire destiné à rendre compte des caractéristiques socio-démographiques des répondants suivait l'entrevue. Nous avons limité la durée des entrevues à environ 25 minutes afin de ne pas contraindre les infirmières dans leur travail.

Comme la qualité de vie est un des aspects important dans le traitement du cancer du sein métastatique, les effets offerts par les deux traitements hypothétiques (A et B) ont été décrits en terme de l'amélioration de la QDV (sur le plan quantitatif et qualitatif) d'une patiente atteinte de cancer du sein métastatique. Sur le plan qualitatif, la QDV a été décrite en considérant les dimensions importantes qui entrent dans la définition

de la QDV soient l'aspect fonctionnel physique, social et psychologique de même que les symptômes spécifiques reliés au cancer du sein métastatique dont la douleur et la fatigue (Ganz PA). Sur le plan quantitatif, les principaux paramètres comprenaient: le degré d'amélioration, la durée et la probabilité d'amélioration de la qualité de vie offert par les deux traitements. Ces données étaient basées sur les données d'efficacité (taux de réponse complète, durée de rémission complète) matériellement disponibles au moment de l'étude, et sur le jugement clinique d'un médecin spécialiste dans le domaine de l'oncologie (Richards MA, Braysher S et Corr JF, Lonning PE). Les effets d'un traitement ou d'un programme de soins de santé doivent, selon Gafni, être décrits en terme de probabilités (Gafni A). Le degré d'amélioration de la qualité de vie était le même pour les deux alternatives, soit de 100%. La durée de survie suite à l'administration des deux traitements alternatifs a été établie à deux ans. La probabilité d'amélioration de la qualité de vie représentait l'unique différence entre les deux traitements (TxA:30% vs TxB:70%).

La structure du scénario est basée sur un instrument (appendice II) qui avait été validé et testé pour sa fiabilité (Gafni A) auprès de patientes atteintes de cancer du sein pour les aider à décider si elles préféreraient recevoir ou non un traitement chimiothérapeutique. L'instrument que nous avons utilisé comprenait deux parties: la but de la première partie était d'évaluer la **PAP au point de consommation**, et la deuxième avait comme objectif l'évaluation du **prix d'option**.

La première partie consistait à décrire la qualité de vie d'une patiente atteinte de cancer du sein métastatique, ainsi que le degré, la durée et la probabilité d'amélioration offert par les deux traitement hypothétiques. Les infirmières devaient s'imaginer qu'elles étaient atteintes de cancer du sein métastatique puis choisir le traitement qu'elles préféreraient et enfin révéler le montant qu'elles étaient prêtes à payer pour recevoir le traitement de leur choix.

Dans la deuxième partie, les infirmières ne devaient plus s'imaginer qu'elles étaient atteintes de cancer et revenaient à la réalité. Nous leur avons demandé combien elles

étaient prêtes à payer pour acheter une assurance qui leur permettrait de recevoir le traitement qu'elles préféreraient, s'il s'avérait nécessaire, compte-tenu du risque de cancer métastatique du sein de 4% (Statistique Canada 95-97).

L'intervieweur a demandé au répondant de réfléchir aux dépenses mensuelles qu'elles doivent faire -comptes d'électricité- et aux biens auxquels elles devront renoncer -ex. abonnement à des revues- pour acheter le traitement. Nous avons introduit ces questions pour permettre aux infirmières de comprendre l'implication de leur décision et offrir la possibilité de changer leur réponse. Ce scénario intégrait ainsi la notion du coût d'opportunité propre à chacun des répondants parce que ceux-ci devaient considérer les options alternatives auxquelles l'argent pourrait autrement être allouée (Mitchell et Carson p.97). Un bon scénario doit rendre compte du coût d'opportunité (Tolley p.136).

### 2.3 VALIDATION

Les modèles de régression sont reconnus comme méthode standard de validation de construit des études de contingence (Mitchell et Carson). Nous avons considéré les variables qui selon la théorie économique sont susceptibles d'affecter la demande dont: l'âge, le salaire, le statut marital, le nombre d'enfants et l'éducation. Nous avons aussi considéré le nombre d'années d'expérience et la nature du travail des infirmières soit celui à l'unité de chirurgie ou d'oncologie.

Les résultats obtenus pour la variable salaire à partir du questionnaire ont été vérifiés à l'aide des échelles des salaire, elles-mêmes déterminées en fonction du degré d'éducation -baccalauréat vs certificat- et du nombre d'années d'expérience des infirmières.

La méthode de transformation des rangs a été utilisée pour faire les analyses de régression linéaire (Conover WJ et Iman RL). Cette méthode consiste à transformer toutes les variables continues -dépendantes et indépendantes- sur une échelle ordinale.

La méthode de transformation des rangs a été utilisée pour faire les analyses de régression linéaire (Conover WJ et Iman RL). Cette méthode consiste à transformer toutes les variables continues -dépendantes et indépendantes- sur une échelle ordinale en rangs. La méthode de prédiction procède par interpolation sans qu'il soit nécessaire d'assumer la linéarité et devient donc utile lorsque la relation entre la nature du lien entre la variable dépendante et les variables indépendantes est inconnue, ou lorsque l'hypothèse de la linéarité et de la normalité n'est pas observée. Ces méthodes s'avèrent aussi puissantes, sinon plus (ref. Livres SAS), que les méthodes non paramétriques usuelles (Wilcoxon, Krustal-Wallis ou Thiel).

L'analyse des modèles de régression a été effectuée à l'aide de la méthode "stepwise". Les modèles finaux ont été sélectionnés en tenant compte de la présence des variables qui, d'un point de vue conceptuel, sont les plus susceptibles d'influencer la PAP ou le PO. La même méthode de sélection a été appliquée pour évaluer les modèles de régression logistique, en codant "0" les valeurs nulles obtenues pour la PAP ou le PO et "1" les valeurs non nulles.

La valeur d'option représentait la différence entre le **PO et la valeur attendue**. La **valeur attendue** représentait la valeur statistique ou actuarielle du traitement, et résultait du produit du risque objectif de mourir du cancer du sein métastatique (4%) avec la valeur de la PAP au point de consommation mesurée auprès des infirmières dans la première partie du questionnaire. Cette valeur a été actualisée sur une période allant jusqu'à l'âge de 65 ans à des taux de 4%, 6% et 8%. Les **prix d'option (PO)** représentaient les montants que les infirmières étaient prêtes à donner sur une base mensuelle, révélés dans la deuxième partie de l'entrevue. Les PO ont été multipliés par 12 pour obtenir un montant annuel pour chacune des infirmières, puis actualisés aux taux de 4%, 6% et 8% pour chaque année sur un nombre d'années allant jusqu'à l'âge de 65 ans. Le PO pour chacune des infirmières représente donc la somme des PO annuels actualisés, sur une période allant jusqu'à l'âge de 65 ans.

### 3. RÉSULTATS

Toutes les infirmières préféraient le traitement B. La PAP a donc été mesurée pour le Tx B et représentait une mesure de la variation compensatoire.

Le tableau VII présente les caractéristiques de l'échantillon dans chacune des unités de travail. La PAP et le PO étaient plus élevés dans le groupe d'infirmières de l'unité médicale. Les infirmières de l'unité médicale en moyenne étaient plus âgées, recevaient un salaire plus élevé et avaient un plus grand nombre d'années d'expérience. Un moins grand nombre d'infirmières avait une formation universitaire dans l'unité médicale. Le nombre d'enfants et le statut marital ne différaient pas de façon importante entre les deux unités. Un plus grand nombre d'infirmières dans l'unité médicale n'étaient pas prêtes à payer aucun montant pour le traitement B, comparativement à l'unité de chirurgie. Plusieurs des infirmières ayant répondu "O" ont précisé qu'elles refuseraient toute forme de traitement à ce stade de la maladie.

Une seule valeur était manquante pour l'âge. Nous avons remplacé cette valeur par la moyenne de l'âge des autres infirmières. Nous avons volontairement omis de demander le salaire à neuf infirmières au début de l'étude parce que nous hésitions à poser une question délicate étant donné le contexte de l'étude. Il est peu probable que cette omission ait influencé les résultats puisque le questionnaire était distribué après avoir posé la question sur la PAP. Nous avons remplacé les valeurs manquantes par l'estimé du salaire en considérant les échelles de salaire.

Tableau VII: Caractéristiques de l'échantillon

Caractéristiques	Les 2 unités (n=25)	Unité médicale (n=12)	Unité de chirurgie (n=13)
<b>Age en années (Age)</b>			
Moyenne(ES)	41.6 (8.2)	36.4(6.9)	47.4(7.5)
Médiane	42.0	39.0	45.0
CV	19.7	18.8	13.7
<b>Salaire (\$) (Salaire)</b>			
Moyenne(ES)	45341(6432)	42581(5319)	47889(6494)
Médiane	45689	42883	50936
CV	14.2	12.5	13.6
<b>Nombre d'années d'expérience (Exp)</b>			
Moyenne(ES)	11.2(7.0)	6.4(4.5)	15.7(5.8)
Médiane	10	5.5	18.0
<b>Nombre d'enfants</b>	<b>Nombre d'infirmières</b>		
0	11	5	6
1	5	2	3
2	8	5	3
3	1	0	1
<b>Éducation</b>			
0 (Certificat)	18	7	11
1 (Baccalauréat universitaire)	7	5	2
<b>Statut marital</b>			
1 (Mariée) ou (Conjoint de fait)	14	8	6
2 (Célibataire)	11	4	7
<b>PAPcons</b>			
Moyenne(ES)	3928(3978)	1309(2039)	6346(3827)
Médiane	3500	1	7500
PAPcons = 0	8	6	2
0 < PAPcons < 2000	2	2	0
PAPcons > = 2000	15	4	11
<b>PO</b>			
Moyenne(ES)	13(20)	1(3)	23(23)
Médiane	2	0	10
PO = 0	12	9	3
0 < PO < 20	7	3	4
PO > = 20	6	0	6

Unité médicale codée "0" et Unité de chirurgie codée "1"

Les mesures de corrélation de Pearson étaient moins significatives que les corrélations de Spearman, notamment les corrélations avec le salaire :  $r(\text{PAP, Salaire})=0.1228$  et  $r(\text{PO, Salaire})=0.0961$ . Les mesures de corrélation de Spearman qui étaient significatives ( $p<0.10$ ) sont présentées dans le tableau VIII. Les corrélations entre les variables dépendantes (PAP et PO) et les variables indépendantes (Unité, Âge, Salaire et Exp) étaient toutes positives, tel que prévu, et très significatives ( $p<0.05$ ), sauf pour les corrélations entre la PAP et le salaire ( $p=0.09$ ) et entre le PO et Exp ( $p=0.148$ ). Les corrélations entre les variables indépendantes étaient aussi très significatives ( $p<0.05$ ). Aucune des corrélations entre les variables dépendantes et le nombre d'enfants, le statut marital ou l'éducation n'était significative.

Aucune corrélation de Pearson n'était significative ( $p<0.05$ ) lorsque les variables dépendantes étaient codées "0" pour les valeurs nulles et "1" pour les valeurs supérieures à "0", sauf pour le lien entre Unité et PO ( $p=0.0078$ ). De plus la corrélation entre les nouvelles variables dépendantes codées (0 ou 1), PAP et PO était positive et significative ( $p=0.0677$ ).

Tableau VIII: Corrélations de Spearman

	PAP	PO	AGE	EXP	SALAIRE	UNITÉ
<b>PAP</b>	<b>1.00000</b>	<b>0.28606</b>	<b>0.53854</b>	<b>0.54129</b>	<b>0.34551</b>	<b>0.60882</b>
Signification(p=)	0.0	0.1657	0.0055	0.0052	0.0907	0.0012
<b>PO</b>	<b>0.28606</b>	<b>1.00000</b>	<b>0.50498</b>	<b>0.29796</b>	<b>0.45791</b>	<b>0.62565</b>
Signification(p=)	0.1657	0.0	0.0100	0.1480	0.0213	0.0008
<b>AGE</b>	<b>0.53854</b>	<b>0.50498</b>	<b>1.00000</b>	<b>0.60652</b>	<b>0.50753</b>	<b>0.71752</b>
Signification(p=)	0.0055	0.0100	0.0	0.0013	0.0096	0.0001
<b>EXP</b>	<b>0.54129</b>	<b>0.29796</b>	<b>0.60652</b>	<b>1.00000</b>	<b>0.66778</b>	<b>0.65608</b>
Signification(p=)	0.0052	0.1480	0.0013	0.0	0.0003	0.0004
<b>SALAIRE</b>	<b>0.34551</b>	<b>0.45791</b>	<b>0.50753</b>	<b>0.66778</b>	<b>1.00000</b>	<b>0.42992</b>
Signification(p=)	0.0907	0.0213	0.0096	0.0003	0.0	0.0320
<b>UNITÉ</b>	<b>0.60882</b>	<b>0.62565</b>	<b>0.71752</b>	<b>0.65608</b>	<b>0.42992</b>	<b>1.00000</b>
Signification(p=)	0.0012	0.0008	0.0001	0.0004	0.0320	0.0

Les distributions de fréquence des variables dépendantes ne suivaient pas la loi normale et les graphiques des résidus obtenus à partir des modèles de régression standard simples et multiples montraient que les postulats de base (normalité, linéarité) n'étaient pas observés. De plus, la distribution de fréquence des variables dépendantes dans la population est inconnue. La méthode de transformation en rangs est recommandée comme traitement des données dans ces circonstances (Conover).

La sélection automatisée a été faite en présence de l'ensemble des variables présentées dans le tableau IX ainsi que de quatre termes d'interaction construits à partir du salaire et du nombre d'enfants, de l'éducation et du statut marital ainsi qu'à partir de l'âge et du nombre d'enfants. La méthode d'analyse stepwise regression n'a retenu qu'une seule variable (UNITÉ) dans les modèles linéaires de prédiction du PO ( $\text{Pr}>F=0.0008/R^2=0.3914$ ) et de la PAP ( $\text{Pr}>F=0.0012/R^2=0.3707$ ).

La même procédure en imposant soit la présence de la variable salaire seulement ou la présence de deux variables, salaire et âge, a donné lieu aux modèles présentés dans le tableau IX. La nature du travail (Unité) demeure une variable significative ( $p<0.09$ ) dans tous les modèles sélectionnés alors que Salaire et/ou Âge, dont les liens de corrélation simples étaient significatifs, ne sont plus significatifs dans l'un ou l'autre de ces modèles. Malgré les liens de corrélation significatifs entre l'unité, l'âge et le salaire, ces modèles ne posent pas de problème majeur de collinéarité tel qu'indiqué par les "*Variance Inflation Factor*" ( $<3$ ).

Tableau IX: Modèles de régression : coefficients (test-t) des variables

UNITÉ	PRÉDICTION DE LA PAP		PRÉDICTION DU PO	
	7.9516 (0.0061)	6.3462 (0.0804)	10.3468 (0.0008)	9.7866 (0.0068)
SALAIRE	0.1049 (0.5863)	0.0585 (0.7754)	0.4711 (0.0253)	0.4572 (0.0371)
ÂGE	NA	0.1819 (0.4770)	NA	0.0690 (0.7536)
EXPÉRIENCE	NA	NA	-0.4914 (0.0396)	-0.4989 (0.0424)
PROB > F	0.0053	0.0131	0.0008	0.0026
R <sup>2</sup>	0.3793	0.3944	0.5406	0.5429
AdjR <sup>2</sup>	0.3228	0.3079	0.4749	0.4515

( ): T-Ratio

Aucun modèle logistique de prédiction de la PAP et du PO n'était significatif sauf pour un modèle de prédiction du PO comprenant une seule variable, Unité (ratio de cotes=10 CI: 1.594-62.732; p=0.0078 ).

Le tableau X présente les valeurs d'option obtenues à partir de la PAP et du PO, actualisées ou non, à des taux de 4%, 6% et 8%. Les valeurs pour le PO et de la PAP diminuent avec l'augmentation du taux d'actualisation et par conséquent représentent des estimés plus conservateur lorsque le taux d'actualisation est plus élevé. De même, la valeur d'option diminue avec l'augmentation du taux d'actualisation, sauf pour les infirmières 17, 18 et 19.

Le signe de la valeur d'option demeure le même en fonction des différents taux d'actualisation, pour toutes les infirmières, à l'exception de l'infirmière no.23. La valeur d'option était négative (positive), pour les 12 infirmières de chacune des deux unités dont le signe de la valeur d'option était stable en fonction des différents taux d'actualisation: unité médicale 25%(25%) et de chirurgie 25%(75%). Ainsi la valeur

d'option était positive pour un plus grand pourcentage d'infirmières provenant de l'unité de chirurgie.

Tableau X: Valeurs d'option

SUJET NO.	VALEUR D'OPTION			
	TAUX D'ACTUALISATION			
	0	0.04	0.06	0.08
<b>Unité médicale</b>				
1	599	381	319	273
2	0	0	0	0
3	0	0	0	0
4	0	0	0	0
5	0	0	0	0
6	2320	1638	1428	1257
7	0	0	0	0
8	-2000	-750	-466	-292
9	-80	-19	-9	-5
10	520	860	784	693
11	0	0	0	0
12	-1400	-303	-144	-70
<b>Unité de chirurgie</b>				
13	3920	3655	3418	3171
14	-4000	-1826	-1247	-858
15	-3000	-1217	-785	-511
16	5000	4628	4408	4185
17	760	1010	1010	976
18	400	408	411	415
19	376	745	791	793
20	1360	1169	1080	999
21	10840	8626	7764	7030
22	13800	9271	7825	6720
23	-1600	-202	137	345
24	-4000	-2054	-1486	-1081
25	4800	3392	2918	2545

#### 4. DISCUSSION

L'effet observé de plusieurs variables indépendantes (Salaire, Âge, Expérience), soit par les corrélations simples ou à l'intérieur d'un modèle, n'est pas marqué même s'il est significatif. Cependant ces variables ont été transformées sur une échelle ordinale et les coefficients ne peuvent donner l'information au sens qu'une augmentation de "X" fois le salaire entraîne une augmentation de "Y" fois la PAP/PO. De plus l'utilisation de la méthode de rangs pose comme hypothèse un gradient d'effet continu, même si en réalité l'écart entre les valeurs n'est pas constant. Ces transformations ne posent toutefois pas un problème d'interprétation dans cette étude car les modèles ont pour but non pas d'évaluer l'effet précis de chacune des variables indépendantes, mais de vérifier des hypothèses quant à la nature (positive ou négative) des liens de corrélation comme mode de validation les résultats.

Les corrélations simples positives et significatives observées entre la PAP/PO et les variables incluant l'âge et le salaire, et la définition de modèles explicatifs comprenant ces variables suggèrent que les infirmières ont répondu tel que prévu par la théorie. Plusieurs facteurs ont contribué à la validation des résultats.

La présence de la variable Unité contribue de façon importante à définir des modèles significatifs. L'unité de travail des infirmières serait un facteur déterminant de la PAP/PO dans cette étude. Les infirmières de l'unité médicale sont prêtes à payer des montants significativement moins élevés que celles de l'unité de chirurgie. Les infirmières de l'unité médicale travaillent auprès de patientes dont le destin est le plus souvent fatal et dont la QDV est sévèrement compromise, alors que les infirmières de l'unité chirurgicale travaillent auprès de patientes qui sont le plus souvent hospitalisées pour une période transitoire et qui peuvent retourner à leur domicile pour vaquer à leurs activités. L'état plus grave et plus avancé des patientes de l'unité médicale aurait influencé la perception des infirmières quant à l'utilisation d'un traitement à un stade terminal du cancer métastatique du sein, et fait en sorte que plusieurs d'entre-elles étaient disposées à payer des montants moins élevés que les infirmières de l'unité de

chirurgie. Des études suggérant que le degré de connaissance d'un problème médical ou l'expérience de la maladie influence les valeurs d'utilité attribuées par le répondants pour un traitement (Froberg DG) appuient l'hypothèse que la nature du travail des infirmières soit un déterminant de la PAP/PO.

Des auteurs (Froberg DG) mentionnent l'importance de l'influence du contexte dans lequel le scénario est administré. Il se pourrait que des biais d'information ou de compliance (liés à l'interviewer) aient donné lieu aux différences observées. Cependant, nous avons standardisé un scénario dont la structure permettait d'exprimer les informations de façon claire et précise, et les entrevues ont été menées directement auprès des infirmières avec un unique interviewer afin de minimiser de tels biais. Étant donné la rigueur de la méthodologie utilisée dans cette étude, nous concluons que les différences significatives observées entre les deux groupes d'infirmières seraient liées à l'information et à la perception de la malade qu'avaient les infirmières avant l'entrevue.

Le scénario a été conçu en fonction des recommandations de plusieurs auteurs (Gafni, Thompson, Mitchell & Carson) afin d'améliorer la validité des résultats. Il est important de construire un scénario qui incite les répondants à révéler une PAP comme s'ils étaient réellement confrontés à cette question et de faire prendre conscience de l'impact que la maladie aurait sur leur vie actuelle. Nous avons encouragé les répondants à réfléchir aux dépenses hebdomadaires/mensuelles qu'ils doivent faire et à changer leur réponse s'ils le désiraient. De plus, la question sous forme ouverte obligeait les répondants à réfléchir à leur réponse en plus d'éviter les biais liés au mode de paiement (biais de point de départ et de fourchette)(Mitchell et Carson).

Le choix d'un scénario hypothétique a permis d'éviter les biais liés au fait que les individus peuvent ne pas révéler la vraie valeur qu'ils accordent au bien parce qu'ils pensent que les résultats du sondage vont influencer le choix/coût de traitement. Un

tel scénario a été utilisé auprès de patients atteints de cancer, dans une étude (Selvin ML et al) qui évaluait les attitudes face à la chimiothérapie, afin d'éviter de démoraliser les patients et pour éviter qu'ils pensent que leur réponse pourrait avoir un impact sur le choix de leur traitements. Nous avons aussi précisé aux répondants que les résultats ne serviraient pas à des fins commerciales, gouvernementales ou médicales.

Les liens de corrélations positifs observés avec le salaire indiquent que les infirmières ont tenu compte de leur contrainte budgétaire. Des auteurs affirment que la validité de construit est typiquement déterminée en établissant la relation entre la PAP et la capacité de payer (Whitehead). Plusieurs études suggèrent que la demande de biens et services publics dans le domaine de la santé est une fonction du revenu (Feldstein). De plus les résultats de certaines études ayant pour objectif l'évaluation de traitement médicamenteux, et menées auprès de patients affectés par la maladie à traiter, semblent indiquer une association positive et significative entre la PAP et le salaire (Thompson MS, Appel JL, Johannesson M et al) et entre le PO et le salaire (Neuman PJ et al).

La relation simple entre la PAP et le salaire est cependant moins significative dans un modèle simple ( $p=0.09$ ) et pas du tout significative dans le modèle complet ( $p=0.5863$ ) comprenant salaire et unité. L'effet du salaire est peu important et nous avons calculé, selon la méthode proposée par Cohen (Cohen), qu'il faut 568 infirmières pour que la variable Salaire soit significative ( $p=0.05$ ) dans le modèle complet. À notre connaissance, deux études seulement (Johannesson M, Neuman PJ) ont défini des modèles de régression linéaire. Ces deux modèles ont démontré un lien de corrélation significatif entre salaire et la PAP pour un médicament dans un modèle de régression linéaire en présence d'autres variables dont l'âge, l'éducation, le nombre d'enfants dans la famille et le genre. Plusieurs hypothèses liées aux limites de notre étude peuvent expliquer les liens de corrélation non significatifs observés entre le salaire et la PAP à l'intérieur du modèle.

Premièrement, le lien de corrélation significatif entre la PAP et Unité peut expliquer que l'effet du salaire soit peu important. En l'absence de collinéarité, le lien entre PAP et Salaire dans le modèle pourrait devenir significatif. La taille de l'échantillon requise (568) pour obtenir une relation significative avec Salaire est un estimé conservateur et représente une valeur maximale étant donné la présence de collinéarité.

Deuxièmement, le salaire est une valeur approximative du revenu familial. Le revenu familial est une variable plus représentative de la capacité à payer parce qu'il tient compte de l'ensemble des ressources financières disponibles. Le nombre d'enfants et le statut marital sont aussi deux variables qui affectent la capacité de payer. Cependant aucun des modèles de prédiction de la PAP incluant des termes d'interaction formés à partir du salaire et l'une de ces deux variables n'était significatif.

Troisièmement, la question sur le point de consommation n'est pas conforme à la réalité du marché canadien. En effet, le contexte canadien est tel que les individus sont peu habitués à devoir payer pour les médicaments qu'ils reçoivent normalement à l'hôpital. Or le réalisme du scénario et de la question contribuent à améliorer la validité des résultats dans une étude sur la PAP (Tolley, Mitchell & Carson).

Quatrièmement, les biais hypothétiques représentent les biais les plus importants dans cette étude. Il sont liés au fait que les répondants doivent s'imaginer qu'ils ont la maladie, ce qui est une tâche d'autant plus difficile lorsqu'il s'agit d'un cancer en phase terminale (Tolley). De plus, la question sous forme ouverte augmente le degré de difficulté de l'exercice. Plusieurs infirmières ont en effet exprimé la difficulté de répondre à la question posée.

Les biais hypothétiques pourraient expliquer le fait que plusieurs infirmières n'ont attribué aucune valeur au traitement (Whitehead, Mitchell & Carson). Les infirmières auraient attribué la valeur "0" au traitement simplement parce qu'elles ne savaient pas

quoi répondre ou parce qu'elles refusaient de participer à une étude dont les résultats pourraient entraîner une augmentation du coût de traitement. Nous rejetons cette hypothèse du fait que plusieurs infirmières ayant répondu "0" ont ajouté qu'elles refuseraient toute forme de traitement à ce stade de la maladie. De plus le consentement éclairé et le scénario précisait qu'il était possible à tout moment de se retirer de l'entrevue et de refuser de répondre aux questions. Nous admettons donc que la valeur "0" a un sens dont il faut tenir compte.

Il est possible que les résultats subissent une influence importante liée aux valeurs extrêmes. Certains auteurs ont suggéré d'éliminer les valeurs extrêmes comme processus de validation (Tolley). Cependant le fait que les modèles linéaires et logistiques sélectionnés soient différents indiquent que les valeurs nulles n'ont pas le même impact dans les modèles linéaires et logistiques. Ceci supporte l'hypothèse que l'effet observé des variables dans le modèle linéaire est continu et ne résulte pas de l'effet des valeurs nulles uniquement. La méthode de transformation par rangs a permis d'atténuer l'effet des valeurs extrêmes.

Le modèle théorique prévoit une augmentation de la demande d'assurance pour des soins de santé, et par extension du PO, avec le risque ou la perception du risque de l'individu à contracter la maladie (Feldstein). L'âge est un facteur de risque connu du cancer du sein, et l'achat d'une assurance constitue un investissement plus rentable au fur et à mesure que la population vieillie. Le lien de corrélation simple positif et significatif du PO avec l'âge démontre que l'âge est un facteur de risque du cancer du sein important auquel les infirmières étaient sensibles. Nous avons calculé que l'échantillon devait comprendre 1584 infirmières pour observer un lien de corrélation significatif avec l'âge dans le modèle complet.

Plusieurs auteurs s'interrogent sur l'interprétation du signe la valeur d'option (Moto L). La valeur d'option est interprétée par certains comme une mesure de l'aversion (ou

attitude) de l'individu envers le risque (Townley, Moto). Selon cette théorie, une valeur négative témoigne d'une hardiesse, une valeur positive d'une aversion et une valeur nulle d'une attitude neutre envers le risque. Une valeur positive de la valeur d'option signifie que les consommateurs ne veulent pas prendre le risque de devoir payer un montant d'argent plus élevé pour recevoir le traitement au moment où la maladie se présentera. Inversement, une valeur négative de la valeur d'option signifie que les individus préfèrent prendre le risque de devoir payer un montant d'argent plus élevé plutôt que de payer des montants sur une base régulière.

En assumant l'interprétation ci-dessus, les résultats indiquent que la proportion d'infirmières ayant une aversion envers le risque est plus élevée dans l'unité médicale et que la majorité des infirmières dans l'unité de chirurgie sont indifférentes au risque.

Cette observation doit cependant être interprétée avec circonspection étant donnée que les valeurs de la PAP ne varient pas en fonction du salaire de façon significative, tel que prévu par la théorie économique de la demande.

## 5. CONCLUSION

Notre échantillon n'était pas randomisé et de ce fait n'autorise pas l'inférence à l'ensemble des infirmières. Toutefois compte-tenu du fait que les infirmières ont compris le scénario et que des modèles significatifs ont été définis pour la PAP/PO, nous concluons que la méthode de détermination hypothétique du PO serait réalisable dans un échantillon randomisé comprenant un plus grand nombre d'infirmières, avec l'instrument utilisé dans cette étude. Cependant une étude à plus grande échelle doit tenir compte des observations suivantes:

La difficulté qu'ont exprimé les infirmières pour répondre à la question suggère la présence de biais hypothétiques qui pourraient poser des contraintes quant à l'application de cette méthode auprès d'une population d'individus non familiers avec la maladie. Notre instrument doit comprendre d'autres approches pour aider le répondant à se familiariser avec le contexte de l'entrevue. Par exemple, une situation courante de la vie réelle (ex: migraine) pourrait être présentée au début du scénario en guise d'exercice, afin de préparer les individus à répondre à ce type de question (Tolley). Aussi étant donné les politiques de soins de santé au Canada, d'autres mesures doivent être utilisées comme mode de validation, telle que la mesure du changement de la PAP avec l'augmentation des bénéfices marginaux (Boyle K et al). La théorie de la demande prévoit en effet une augmentation de la PAP avec les bénéfices marginaux.

Plusieurs études suggèrent que la familiarité des répondants avec les symptômes de la maladie est une des conditions susceptible d'améliorer la validité d'un questionnaire utilisé pour déterminer la PAP (Tolley p.86, Cummings et al). Les résultats de notre étude semblent indiquer que la familiarité des répondants avec le mode de paiement pourrait aussi être un facteur déterminant de la validité des réponses obtenues puisque les modèles de prédiction du PO comprenant la variable Salaire sont significatifs. Ceci est cohérent avec la théorie de plusieurs auteurs (Gafni, Mitchell & Carson) selon

laquelle le scénario et la question doivent correspondre le plus possible à la réalité. Le marché des assurances, santé public ou privé, est dominant dans le contexte canadien et indique que les individus sont prêts à payer pour acheter des assurances pour accéder aux services de soins (Gafni). Le mode de paiement pourrait donc jouer un rôle déterminant dans la définition de modèles valides du point de vue de la théorie économique puisque la variable Salaire n'était pas significative dans le modèle de prédiction de la PAP mais l'était dans le modèle de prédiction du PO. Des auteurs (Gafni, 1991) soutiennent cette hypothèse: "*When the services provided are financed through insurance (or taxation) mechanism the WTP question should be asked accordingly*". Cette hypothèse doit être confirmée dans un plus grand groupe d'infirmières.

Les résultats indiquent que la PAP/PO est sensible aux variations d'indicateurs, tels que l'unité de travail dans l'hôpital et le nombre d'années d'expérience, qui déterminent la perception et la nature de l'information que les répondants avaient avant même l'entrevue. Ces résultats suggèrent que de futures études, chez un échantillon élargi d'infirmières, devront tenir compte de facteurs déterminants de la nature des informations reçues, tel que le type de travail, par les répondants préalablement à l'étude. Le fait que les variables soient liées à la PAP constitue à la fois une preuve de validité et un biais pour lequel il faut contrôler afin de déterminer une valeur qui s'applique à l'ensemble de la population (Froberg DG et Lane RL).

La valeur d'option est une mesure de l'attitude envers le risque et pourrait être considérée comme facteur d'ajustement dans les modèles de prédiction de la PAP/PO. Le fait que les valeurs d'option étaient positives chez un plus grand pourcentage d'infirmières dans l'unité médicale suggère une association de cause à effet entre l'attitude envers le risque et la PAP/PO.

Nous avons soumis le protocole aux comités d'éthique de plusieurs hôpitaux de Montréal et attendons leur approbation. Les commentaires reçus jusqu'à présent indiquent une résistance quant à l'application de cette méthode. Le fait de mettre des valeurs monétaires à un sentiment (douleur satisfaction plaisir), ou une impression des effets bénéfiques ressentis suite à la prise de médicaments, pose un problème moral. Les critiques invoquent que le fait d'utiliser des infirmières comme sujets pourrait biaiser les résultats car elles n'utilisent pas de traitement elles-mêmes et elles ne sont pas atteintes de la maladie. L'utilisation de cette méthode auprès d'une population de non-utilisateurs pourraient, selon eux, fausser la valeur attribuée aux médicaments, et par conséquent les politiques de remboursement ou d'inscription aux formulaires.

**BIBLIOGRAPHIE**

Appel JL, Steinberg EP, Powe NR, Anderson GF et al. Risk Reduction From Low Osmolality Contrast Media. What do patients think it is worth? *Medical Care* 38(4), 324-37, 1990.

Boyle KJ, Desvousges WH, Johnson FR, Dunford RW and Hudson SP. An investigation of part-whole biases in contingent-valuation studies. *J. Environ Econ & Man*, 27, 64-83, 1994.

Castonguay C. Accordons-nous un rendez-vous sur la santé pour préparer la prochaine grande réforme. *Le soleil*, 15 avril, 1997.

Cohen J. *Statistical power analysis for the behavioral sciences*. Academic Press., London. Chapter 9, 1977.

Conover WJ et Iman RL. The use of the rank transform in regression. *Technometrics*, 21(4): 499-509, 1979.

Corry JF, Lonning PE. Systemic therapy in breast cancer. *Pharmacoeconomics*, 5 (3): 198-212, 1994.

Cost-Benefit Analysis. QCI International. California USA. p.32, 1987

Coude-Lord M. Des patients tannés d'attendre dans les hôpitaux sont prêts à payer 500 \$ pour un examen ! *Journal de Montréal*, 23 Janvier, 1997.

Cummings RG, Brookshire DS and Schulze WD. *Valuing Environmental Goods*. Rowman and Allenheld, Totowa, NJ, 1986.

Dickie M, Gerking S and al. Improving accuracy and reducing costs of environmental benefit assessments. Report to the environmental protection agency. Washington DC: Environmental protection agency, December, 1987.

Donalson C. Willingness to pay for publicly-provided goods. A possible Measure of Benefit ? J. Health Economics 9, 103-118, 1990.

Doran CM, Sanson-Fisher RW. A cost-benefit analysis of the average smoker: a government perspective. Aust and New Zealand J Pub. Health, 20 (6):607-11, 1996.

Duru. Les fondements théoriques de l'évaluation en économie de la santé. Edition A. Lacassagne, 1-231, 1991.

Feldstein PJ. Health Care Economics. A Wiley Medical Publication: John Wiley & Sons., 114 - 142, 1983.

Froberg DG et Lane RL. Methodology for measuring Health-State Preferences-III: Population and Context effects. J Clin Epidemiol 42(6), 585-92, 1989.

Gafni A, Birch S. Preferences for outcomes in economic evaluations: An economic approach to addressing economic problems. Social Science and Medicine, 40, 767-76, 1995.

Gafni A, Feder A. Willingness to Pay in an Equitable Society: The Case of the Kibbutz. IJSE, 14 (1), 1991.

Gafni A, O'Brien B. When do the 'dollars' make sense ? Toward a conceptual framework for contingent valuation studies in health care. Medical Decision Making, 16, 288-99, 1996.

Gafni A. Using Willingness-to-pay as a measure of benefits: What is the relevant question to ask in the context of public decision making about health care programs. *Medical Care*, 29, 1246-52, 1991.

Ganz PA. Quality of life measures in cancer chemotherapy. *Pharmacoeconomics*, 5 (5): 376-88, 1994.

Gauthier Gilles et Thibault M. *Analyse coûts-avantages: Défis et controverses*, Paris, 1-526, 1993.

Gittinger J.P. Analyse économique des projets agricoles. *Economica*, 53-57, 1985.

Golan EH, Shechter M. Contingent valuation of supplemental health care in Israel. *Med Decis Making* 13: 302-10, 1993.

Johannesson M., Aberg H, Agréus L, Borgquist L, Jonsson B. Cost-benefit analysis of non-pharmacological treatment of hypertension. *Journal of Internal Medicine*, 230, 307-12, 1991.

Johannesson M, Johansson PO, Kristrom B, Borquist L and Jonsson B. Willingness to pay for lipid lowering: a health production function approach. *Applied Economics* 25: 1023-31, 1993.

Johannesson M, Fagerberg B. A health-economic comparison of diet and drug treatment in obese men with mild hypertension. *J. Hypertension*, 10, 1063-70, 1992.

Johannesson and Johansson PO. Willingness to pay for antihypertensive therapy - further results. *Journal of Health Economics* 12, 95-108, 1993.

Johannesson M. Economic evaluation of hypertension treatment. *International Journal of Technology Assessment in Health Care* 8(3), 506-23, 1992.

Johannesson M, Jonsson B. Willingness to pay for antihypertensive therapy- results of a Swedish pilot study. *Journal of Health Economics* 10, 461-74, 1991.

Kaplan RM. Quality of life assessment for cost/utility studies in cancer. *Cancer Treatment Reviews*, 19 (Supplement A): 85-96, 1993.

Kristrom B. A non-parametric approach to the estimation of welfare measures in discrete response valuation studies. *Land Economics* 66 (2), 135-139, 1990.

Labelle RJ and Hurley JE. Implications of basing HealthCare Resource Allocations on Cost-Utility Analysis in Presence of Externalities. McMaster University. CHEPA working paper series. April, 1991.

Launois RJ et al. Évaluation médico-économique de la chimiothérapie de 2ème ligne dans le cancer du sein métastatique: comparaison du docétaxel, du paclitaxel et de la vinorelbine. *Bull Cancer* 84 (7): 809-21, 1997.

Levine MN, Gafni A et al. a bedside decision instrument to elicit a patient's preference concerning adjuvant chemotherapy for breast cancer. *Annals of Internal Medicine*, 117, 53-58, 1992.

Lipscomb J. Value preferences for health: meaning, measurement, and use in program evaluation. In: Kane R, Kane R, Eds. *Values and long term care*. Lesington MA: D.C. Health, 27, 1987.

Loeman ET, Berg SV, Arroyo AA et al. Distributional Analysis of Regional Benefits and Costs of Air Quality Control. *Journal of Environmental Economics and Management*. 6 (September), 222-43, 1979.

Mitchell RC and Carson RT. *Using surveys to value public goods: An assessment of the contingent valuation method*. Washington, DC: Resources for the future, 1989.

Moto L. *Santé & multidisciplinarité choix et décisions*. Éditions Hermès, Paris, 1995.

Neumann P.J. et Johannesson M. The Willingness to Pay for In Vitro Fertilization: A Pilot Study Using Contingent Valuation. *Medical Care*, 32 (7), 686-99, 1994.

O'brien B, Novesa S et al. Assessing the economic value of a new antidepressant. A Willingness-to-Pay Approach. *Pharmacoeconomics*, 8(1): 34-45, 1995.

Osoba D. Health-related quality of life as a treatment endpoint in metastatic breast cancer. *Can J Oncol*, 5 (1):47-53, 1995.

Rawls J. *A theory of Justice*. Harvard University Press. USA 1971.

Reardon G, Pathak DV. Assessment of a Contingent Valuation Technique with Utility Estimation Models. *J. of Research Pharm. Econ.*, 1(3) 67-89, 1989.

Rheault S, Gouvernement du Québec, MSSS. *Évaluation des modalités de financement et de paiement dans le domaine sociosanitaire*. Collection Études et Analyses (24), pp.10-15, 1995.

Rieker PP, Clark EJ and Fogelberg PR. Perceptions of quality of life and quality of care for patients with cancer receiving biological therapy. *Oncology Nursing Forum*, 19 (3): 433-40, 1992.

Robinson R. Cost-benefit analysis. *Brit. Med. Journ.*, 307, 924-26, 1993.

Rowe RD and Chestnut LG. Valuing changes in morbidity: Willingness to pay versus cost of illness measures. Report to energy and resources consultants. Boulder, Co December, 1984.

Sarfati S. Centres chirurgicaux privés: les Montréalais d'accord sauf sur les coûts. *La Presse* 1er Juin, 1997.

SAS Procedures Guide Version 6, Third Edition, SAS Institute Inc. dans "The rank procedure, p.498.

Secrétariat du Conseil du Trésor, Gouvernement du Canada. Guide de l'analyse avantages-coûts pour les programmes de réglementation. Vol 3, 108-115, 1995.

Seidman AD. Chemotherapy for advanced breast cancer: a current perspective. *Semin Oncol*, 23(1 Suppl 2):55-9 1996.

Selvin ML, Stubbs L, Plant HJ, Wilson P et al. Attitudes to chemotherapy: comparing views of patients with cancer with those of doctors, nurses, and general public. *Br Med J*, 300, 1458-60, 1990.

Thibodeau M. En quête de la manne américaine. *La Presse*, 20 septembre, 1997.

Thompson MS. Willingness to pay and accept risks to cure chronic disease. *Am J Public Health* 76, 392-96, 1986.

Thompson MS, Read JL, Liang M. Feasibility of Willingness-to-Pay Measurement in Chronic Arthritis. *Medical Decision Making* 4 (2), 195-215, 1984.

Tolley G, Kenkel D, Fabian R. Valuing health for policy an economic approach. The University of Chicago Press. 1994.

Townley P.GC. Principles of Cost-Benefit Analysis with Canadian Cases. Acadia University Wolfville, Nova-Scotia. 1996.

Von Neuman J, Morgenstern O. Theory of Games and Economic Behavior. New-York: John Wiley; 1953.

Whitehead JC, Blomquist GC, Hoban TJ and Clifford WB. Assessing the Validity and Reliability of Contingent Values: A Comparison of On-Site Users, Off-Site Users and Non-users. *Journal of Environmental Economics and Mangement* , 29, 238-251, 1995.

Yee GC. Cost-utility analysis of taxane therapy. *Am J Health Syst Pharm.* 54 (24 Suppl 2): S11-5, 1997.

**APPENDICE I**

**TABLEAUX ISSUS DE LA REVUE DE LA  
LITTÉRATURE**

# APPENDICE 1

## DESCRIPTIONS DES ÉTUDES ISSUES DE LA REVUE DE LA LITTÉRATURE

MÉTHODE		RÉSULTATS		
ÉTUDE	VALUATION RÉPONDANTS DE L'ÉTUDE	RELATIONS AVEC LES SYMPTOMES OU AUTRES VARIABLES	RELATIONS AVEC LES VARIABLES S.D., LE RISQUE, OU LE MONTANT PROPOSÉ	AUTRES
Johannesson, M et Jonsson B	Traitement médicamenteux de l'hypertension comme moyen préventif des risques cardio-vasculaires.	481 Patients atteints d'hypertension et traités à l'aide de médicaments	<p>Résultats pour questions fermées: régression logistique</p> <p>La volonté du patient à changer son mode de vie (diète, exercice) dans le cas où les prix des médicaments augmentent (variable: <b>Substitut</b>):</p> <p>Modèle final: 61 données</p> <p>Age: -/N.S.</p> <p>Revenu brut: +/N.S.</p> <p>Sexe: N.S.</p> <p>Perception subjective du risque: +/N.S.</p> <p>Le montant proposé: -/S. (p=0,001)</p> <p>2 Modèles:</p> <p>61 données: -/ N.S.</p> <p>135 données: -/S.</p>	<p>Question discrète:</p> <p>Trois avantages:</p> <p>Meilleur taux de réponses</p> <p>1) Minimise les biais stratégiques</p> <p>2) Conditions de l'entrevue ressemblent à celles du marché</p> <p>Résultats des questions ouvertes non rapportés</p>
Johannesson M, Johansson PO	Traitement médicamenteux de l'hypertension comme moyen préventif des risques cardio-vasculaires.	525 Patients atteints d'hypertension et traités à l'aide de médicaments	<p>Résultats pour questions fermées: régression logistique</p> <p>2 Modèles finaux: 210/89 données</p> <p>Age: -/N.S.</p> <p>Revenu imposable: +/N.S.</p> <p>Éducation: +/N.S.</p> <p>Sexe: +/N.S.</p> <p>Nbre d'enfants: +/N.S.</p> <p>Le montant proposé: -/S. (p=0,01)</p>	<p>REMARQUE:</p> <p>La PAP utilisée dans les modèles est un estimé obtenu à partir de la PAP des répondants dans une fonction (équation) d'utilité</p>
Johannesson M., Aberg H., Agréus L., Borgquist L. et Jonsson B.	Traitement non Pharmacologique (TNP) vs Traitement Pharmacologique	400 Patients traités avec médicaments puis traités avec un TNP	<p>Pas fait</p> <p>Validité n'a pas été évaluée</p> <p>Le risque perçu et la PAP sont significativement plus élevés pendant le TNP: coefficient de corrélation non calculé.</p>	<p>TNP ne présente pas de bénéfices majeurs par rapport au traitement pharmacologique.</p>

ÉTUDE	MÉTHODE		RÉSULTATS			
	INDICATION	RÉPONDANTS	SCÉNARIO/ QUESTION	RELATIONS AVEC LES SYMPTÔMES	RELATIONS AVEC LES VARIABLES S.D.	AUTRES
Thompson MS, Read J.L., Liang M	Un nouveau traitement hypothétique de l'arthrite chronique	184 Patients atteints d'arthrite rhumatoïde (61) et d'ostéoartrite (123)	<u>Ouverte</u> <u>Entrevue</u> <u>Questionnaire</u> suppose guérison 100% certaine <u>Scénario</u> <u>hypothétique</u>	Relations indépendantes de la PAPpr avec 1-Nombre de symptômes (SYMP): +/S.(p=0.01) 2-Le degré d'importance des symptômes(sérieux ou pas): +/S.(p=.003)	Relations indépendantes de la PAP avec 1- Revenu familial: + jusqu'à un plateau atteint au montant de \$5,000	Les patients éprouvent moins de difficultés à exprimer leur PAP en% du revenu disponible qu'en valeur.
<b>Modèle PAPpr:</b> SYMP/ Assurance ou pas/ nombre de déplacements du genou/ changement des habitudes personnelles (0 ou 1) ou de sommeil (0 ou 1): Rsquare = .526 (p<0.0001)	<b>Modèle PAP:</b> Pas effectué à cause de la présence de termes d'interaction et des liens de collinéarité entre les variables dépendantes.					
Thompson MS	Un nouveau traitement hypothétique de l'arthrite chronique	247 Patients atteints d'arthrite rhumatoïde nombre de répondants: <b>84% x 247</b>	<u>Ouverte</u> <u>Entrevue</u> Questionnaire suppose guérison 100% certaine <u>Scénario</u> <u>hypothétique</u>	<b>Relations indépendantes avec la PAPpr</b> Durée de la maladie: Age: -/S. (p<.05) +/N.S. Nbre d'années d'éducation: -/N.S. Nombre de comorbidités: Statut civil;0:célibataire, 1: marié +/N.S.	Nombre d'enfants dans la famille (0-8): -/N.S. Revenu familial annuel: +/S.(p<0.02) Revenu d'investissement annuel: -/N.S.	
Donaldson C	Évaluation de 2 structures d'accueil des personnes âgées: maisons de retraite (MR) et services hospitalier de long séjour (SL)	Proches parentes 61 personnes dans les MR 48 personnes dans les LS	<u>Système</u> <u>d'enchères</u> <u>Entrevues</u> VC: Le montant minimum exigé par les répondants pour accepter une réduction de services VE: Le montant maximum qu'ils sont prêt	Pas fait	Pas fait	98% étaient prêts à payer des taxes additionnelles

**PAPpr: PAP exprimée en terme du % de revenu familial**

MÉTHODE			RÉSULTATS		
ÉTUDE	INDICATION	RÉPONDANTS	TYPE DE QUESTION	RELATIONS AVEC LES SYMPTOMES	RELATIONS AVEC LES VARIABLES S.D. AUTRES
Gafni A, Feder A	Clinique privée vs clinique publique pour les mesures contraceptives	13 Femmes : 1- Ne connaissaient pas la différence coûts en pratique privée vs pratique publique 2- Tous les citoyens avaient un salaire égal communauté Kibbutz	<u>Fermée</u> : Bid en commençant par le montant maximal <u>Entrevue</u>	Pas applicable	Relations indépendantes La PAP n'est pas pondérée par la capacité à payer et les résultats peuvent être utilisés comme mécanisme d'allocation des ressources. Nombre d'enfants dans la famille: +/-? Age du plus jeune enfant: +/-?
Reardon G. et Pathak D.S.	La valeur d'un antihistaminique hypothétique, décrit selon un profil hypothétique dans le traitement des rhinites allergiques.	249 patients souffrant de rhinite allergique et ayant depuis récemment et ayant déjà utilisé des antihistaminiques 228 des 249 patients ont répondu	<u>Ouverte</u> <u>Questionnaire</u> <u>posté</u> <u>Scénario hypothétique</u> En supposant que l'assurance-santé ne couvre pas le traitement	<b>Relations indépendantes: modèles linéaires simples</b> Sévérité de l'allergie: +/S.(p<0.05) Coût de la maladie: +/S.(p<0.05)	La distribution Age: +/N.S. de la variable dépendante, la PAP était légèrement déplacée vers la droite
Appel J.L., Steinberg E.P., Powe NR et al	La valeur accordée aux nouveaux produits de contraste qui réduisent les effets secondaires par rapport aux produits classiques les bénéfices apportés sont définis en terme d'effets secondaires majeurs ou mineurs	N= 100 patients 95 des 100 patients ont répondu	<u>Système</u> <u>d'enquêtes</u> <u>Entrevue</u> <u>Scénarios</u> <u>hypothétiques</u> Chaque scénario décrit l'intensité(*), probabilité et la durée des effets secondaires. (*):mineurs ou majeurs	<b>Analyses univariées</b> Relation de la PAP et l'appréciation du patient pour le produit mesurée sur échelles analogues +/ S. (p < 0.001) Sexe: N.S. Éducation: +/S. (p=0.001) Revenu: +/ S. (p < 0.001) Race: N.S. Assurances: + / S. (p=0.01) + / N.S. (publiques=0,privées=1) <b>Régressions logistiques et tests non paramétriques</b> Var.indép.:PAP<50\$ vs PAP>ou= 50\$; Modèle incluant Éducation, Revenu et Expérience antérieure avec produits de contraste; Éducation: +/S. et Revenu: +/S.	PAP pour un agent qui réduit I Un consentement risqué d'effets secondaires min éclairé a été signé par tous les participants Age: S. (p=0.01) N.S. La distribution de fréquence des PAP était bimodale et déplacée vers la droite (rightward skewed)

MÉTHODE			RÉSULTATS			
ÉTUDE	INDICATION	RÉPONDANTS	SCÉNARIO/ QUESTION	RELATIONS AVEC LES SYMPTOMES OU AUTRES VARIABLES	RELATIONS AVEC LES VARIABLES S.D.	AUTRES
O'Brien B.J. Novosel S. Torrance G. et Streiner D.	Comparer la valeur des antidépresseurs de 2 classes différentes ayant la même efficacité mais dont l'un produit des effets secondaires moins importants.	95 individus souffrant de dépression légère à modérée et utilisant un antidépresseur pour lequel ils ne doivent pas payer	<u>Entrevue</u> <u>Scénario</u> hypothétique/ <u>Incertitude</u> Chaque scénario décrit la probabilité qu'a le traitement à réduire les effets secondaires. 1) Ouverte 2) Enchère Afin de s'assurer que la PAP maximale était révélé	<u>Expérience antérieure</u> telle que mesurée sur une échelle analogue: <u>Mesure d'association</u> paramétrique (ANCOVA) en contrôlant pour le niveau du revenu: N.S. Cependant: La PAP était significativement plus élevée pour les effets secondaires les plus incommodes	<u>Mesure d'association</u> <u>non paramétrique: Kruskal-Wallis:</u> Revenu: N.S. Éducation: N.S. Age: N.S. Sex: N.S.	Bénéfice net plus élevé pour le traitement ayant le moins d'effets secondaires.
Neuman PJ and Johannesson M	Déterminer la valeur de la procédure de fertilisation In Vitro.	150 couples infertiles (Ex post ou PAP) et 150 couples fertiles (Ex ante ou PO)	<u>Entrevue</u> <u>Scénario</u> hypothétique/ <u>d'incertitude</u> Chaque scénario décrit différentes probabilités de succès qu'a le traitement 1) Ouverte 2) Enchère	La PAP Ex-ante et la PAP Ex-post augmentent avec l'augmentation de la probabilité de succès qu'a la procédure (PAP ex-ante= Prix d'option) (PAP ex-post= PAP)	<b>Deux modèles de Régression linéaire:</b> les variables indépendantes sont converties en log Modèle comprenant 150 répondants Age: Ex-ante +/ N.S. Ex-Post +/N.S. Nbre d'enfants: +/p<0.05 +/N.S. Revenu avant taxes: +/N.S. +/p<.05 Éducation(années): -/p<.05 +/p<.10 RCarré: 0.36 0.35 RCarréAjusté: 0.29 0.28 Ftest: p<.01 p<.01	

MÉTHODE		RÉSULTATS		
ÉTUDE	VALUATION DE L'ÉTUDE	RELATIONS AVEC LES SYMPTOMES OU AUTRES VARIABLES	RELATIONS AVEC LES VARIABLES S.D., LE RISQUE, OU LE MONTANT PROPOSÉ	AUTRES
Johannesson M. et Fagerberg B.	Comparaison d'un traitement de l'hypertension Pharmacologique vs Diète	53 patients atteints d'hypertension légère primaire dont: 25: sous traitement pharmacologique 28: sous diète seulement	Avec les résultats de l'évaluation subjective de l'état de santé à l'aide d'échelles visuelles analogues: +/? ; Diète seulement: Corr.= 10.26 Traitement médicamenteux: Corr.= 9.3	La PAP est légèrement supérieur pour le traitement comprenant la diète seulement par rapport au traitement pharmacologique Validation testée uniquement avec échelles visuelles
Johannesson M, Johansson PO, Kristrom B, Borquist L et Jonsson B	Programme de prévention des risques cardio-vasculaires par le contrôle des paramètres lipidiques sanguins	706 patients qui n'ont jamais été traités Patients randomisés	<b>Régression linéaire: N=581 répondants</b> <b>Variables dépendantes: PAP et Logarithme de la PAP(lnPAP)</b> Différence de la perception du risque encouru avant et après la mise en place du programme de prévention: PAP: +/S. LnPAP: +/S. S.: p<0.05	Pas fait PAP N.S. LnPAP N.S. Age: +/S.(p<0.1) Revenu: -/S. Sexe(0:male,1:femmes): -/S. Éducation: +/S. Nbre d'enfants dans la famille: -/N.S. -/N.S.
Golan EH et Shechter M	Service de consultation d'un chirurgien ou d'un spécialiste dans les hôpitaux publics	1023 familles randomisées en fonction du lieu de la résidence	<b>Régression logistique : PAP pour un spécialiste</b> Dépenses pour des services médicaux privés: +/S. <b>Régression logistique : PAP pour les services d'un chirurgien</b> Dépenses pour des services médicaux privés: +/S.	Il n'y pas de perdants Les programmes médicaux privés proposés représentent une amélioration de Pareto

**APPENDICE II**

**INSTRUMENT**

DESCRIPTION DE LA MALADIE

DESCRIPTION  
DE LA MALADIE

DESCRIPTION DU TRAITEMENT

TRAITEMENT  
A

TREATMENT  
B

CONSÉQUENCES DES TRAITEMENTS

PROBABILITÉ 40%

DURÉE 8 mois

DEGRÉ OU INTENSITÉ 100%

PROBABILITÉ 70%

DURÉE 8 mois

DEGRÉ OU INTENSITÉ 100%

4%

QUESTION

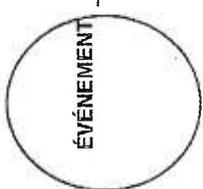
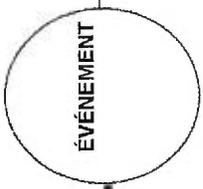
COMBIEN ÊTES-VOUS

PRÊTS À PAYER SUR

UNE BASE MENSUELLE ?

QUESTION

COMBIEN ÊTES-VOUS PRÊTS À PAYER ?



**APPENDICE III**

**SCÉNARIO**

Bonjour!

Je vous remercie pour le temps que vous m'accordez pour cette étude.

Votre expérience auprès des patientes atteintes de cancer du sein métastatique sera très pertinente pour répondre aux questions qui vous seront posées au cours de l'entrevue qui va suivre.

Vous avez été informée de l'objectif que l'on poursuit pour cette étude à l'aide du consentement éclairé. J'aimerais quand même exprimer verbalement l'objectif de cette étude.

Le but de cette étude est de développer un instrument d'évaluation qui permettra de juger la valeur économique des médicaments utilisés pour traiter le cancer du sein métastatique. Le but n'est pas d'évaluer un traitement en particulier. Cette étude ne cible aucun médicament spécifique.

Avez-vous des questions ?

L'entrevue comprend deux parties (1): Partie A et Partie B.

La première partie, la partie A, comprend trois sections: la première section décrit l'état de la patiente atteinte de cancer du sein métastatique, la deuxième section décrit le choix de deux traitements utilisés pour traiter le cancer et la troisième décrit les conséquences de chacun de ces deux traitements.

Nous allons commencer par la première section de la partie A.

Dans la première section, nous vous demandons d'imaginer que vous avez le cancer du sein métastatique.

Cela implique que vous avez subi une mastectomie. Vous avez dû abandonner votre travail depuis 1 an. Vous éprouvez fréquemment des douleurs qui sont soulagées par la prise d'analgésiques. Vous avez de la difficulté à vous mobiliser (c'est-à-dire marcher, monter les escaliers, faire l'épicerie). L'aide d'une autre personne vous est parfois indispensable. Votre niveau d'énergie est aussi considérablement diminué. Vous vous sentez fatiguée à un point tel que vos responsabilités familiales et vos activités sociales sont affectées. Vous n'avez aucun espoir que votre état se rétablisse.

La qualité de votre vie est donc affectée par le fait que vous êtes atteinte de la maladie.

Avez-vous des questions ?

Nous allons maintenant passer à la deuxième section. Dans cette deuxième section, je vais décrire les deux choix de traitements qui vous sont offerts.

(1): VOIR SCHEMA

Les deux traitements qui vous sont offerts sont: traitement A ou B. Les deux traitements sont des traitements de chimiothérapie de seconde ligne. Il n'y a aucun autre traitement qui vous sera offert en cas d'échec. Si vous choisissez le traitement A, vous ne pourrez jamais obtenir le traitement B ni aucun autre traitement de chimiothérapie. Réciproquement, si vous choisissez le traitement B, vous ne pourrez jamais recevoir le traitement A ni aucun autre traitement de chimiothérapie.

Les deux traitements consistent à injecter des médicaments régulièrement aux 3 semaines pendant 5 mois.

L'un de ces deux traitements est le traitement standard mis sur le marché depuis plusieurs années. L'autre traitement est sur le marché depuis 1 an.

Nous allons passer à la troisième section je décrirai les conséquences liées à ces traitements. Mais avant de passer à cette section, avez-vous des questions ?

La durée de survie est la même pour les deux types de traitements, soit de 2 à 3 ans.

Cependant il existe une légère différence entre les deux traitements au niveau de l'amélioration de la qualité de vie que nous décrivons à l'aide de trois critères: la probabilité, la durée et le degré d'amélioration de la qualité de vie.

En ce qui concerne la durée et le degré d'amélioration de la qualité de vie, il n'y a pas de différence entre les deux traitements. Le degré d'amélioration est de 100% dans les deux cas, et la durée de l'amélioration est de 7 mois dans les deux cas. Cela signifie que nous n'éprouverez aucun effet secondaire relié à l'un ou l'autre des deux traitements, ni aucun symptôme de la maladie pendant 7 mois.

Cela implique que vous n'éprouvez plus aucune douleur. Vous pouvez vous mobiliser (c'est-à-dire marcher, monter les escaliers, faire l'épicerie) sans problème. Vous êtes totalement autonome: l'aide d'une autre personne n'est jamais requise. Votre niveau d'énergie a augmenté considérablement. Vous vous sentez tellement bien que vous assumez vos responsabilités familiales et vos activités sociales très facilement. Vous avez un espoir que votre état se rétablisse. Toutes ces améliorations, vous les ressentirez pendant 7 mois.

La seule différence entre les deux traitements est liée à la probabilité d'amélioration de la qualité de vie. La probabilité d'amélioration de la qualité de vie est supérieure pour le traitement B: elle est de 70% pour le traitement B et de 40% pour le traitement A.

Donc pour le traitement A, il y a 40% de chances d'améliorer la qualité de vie de 100 % pendant 7 mois. Mais pour le traitement B, il y a 70 % de chances d'améliorer la qualité de vie de 100% pendant 7 mois.

Ceci complète la description la première partie. Avez-vous des questions ?

Maintenant, c'est moi qui ai des questions pour vous:

- 1) Quel traitement préférez-vous? A ou B ?
  
- 2) Le traitement A est remboursé par le gouvernement. Malheureusement le traitement B n'est pas payé par le gouvernement.  
Combien seriez-vous prête à payer pour recevoir le traitement B ?  
  
Combien seriez-vous prête à payer pour recevoir le traitement B si la probabilité d'amélioration de la qualité de vie avec ce traitement était de 100% ?  
  
Combien seriez-vous prête à payer pour recevoir le traitement B si la durée d'amélioration de la qualité de vie était de 15 mois ?  
  
Les échelles que vous voyez (2) sont comme des thermomètres, mais au lieu d'indiquer la température, elles mesurent votre impression sur les questions qui vous sont posées.

Nous passons maintenant à la deuxième partie.

Pour cette partie nous revenons à la réalité où vous n'avez pas le cancer.....Heureusement!

Mais la chance que vous ayez un jour le cancer métastatique du sein est de 4%.

Je vous pose maintenant la question suivante:

- 1) Combien seriez-vous prête à payer mensuellement pour acheter une assurance qui vous permettrait de recevoir le traitement B au cas où vous auriez un jour le cancer du sein métastatique?

Ceci met fin à l'entrevue. J'ai cependant quelques questions sur les 4 pages suivantes. J'apprécierais que vous m'accordiez quelques minutes pour répondre à ces questions qui sont très brèves.

Merci beaucoup pour le temps que vous m'avez accordé !

**APPENDICE IV**

**CONSENTEMENT ÉCLAIRÉ**

**PROJET DE MAÎTRISE FAIT PAR:**

**JULIE PICHÉ, ÉTUDIANTE EN PHARMACOLOGIE  
A L'UNIVERSITÉ DE MONTRÉAL**

**NOM DES INVESTIGATEURS:**

**Dr. J. LeLorier-Dr. A. Gafni-Dr. J. Latreille**

**SUJET:**

**Développement d'une méthode d'évaluation  
économique (propension à payer) de traitements  
utilisés dans le cancer du sein métastatique**

#### CONSENTEMENT ECLAIRÉ

La recherche pour laquelle nous sollicitons votre participation a pour but principal de développer un instrument qui permettra d'évaluer des médicaments du point de vue économique. Pour ce faire nous allons vous présenter un scénario de recherche hypothétique, faisant référence à deux choix de traitement fictifs qui sont utilisés pour traiter le cancer du sein métastatique.

Les résultats obtenus permettront de mesurer la valeur, et d'explorer les forces et les faiblesses d'un nouvel instrument de mesure. Le but n'est pas d'évaluer un traitement spécifique du cancer, ni d'identifier le traitement le plus approprié. Les réponses que vous allez nous fournir n'influenceront pas le choix de traitement pour les patientes atteintes de cancer. Aussi les résultats de cette recherche ne serviront pas directement à des fins commerciales, gouvernementales ou médicales. Cette nouvelle forme d'évaluation économique sera applicable auprès des patients(es) seulement après avoir entrepris plusieurs études.

Votre participation ne vous permettra pas de retirer aucun bénéfice. Cependant votre participation va contribuer au développement d'un instrument de mesure qui pourra éventuellement permettre d'évaluer des traitements utilisés dans le cancer du sein ou dans d'autres maladies.

Vous pouvez participer à cette recherche si vous êtes une infirmière francophone ayant une expérience en oncologie en milieu hospitalier, et âgée entre 20 et 65 ans. Votre participation dans cette recherche consiste en une entrevue suivie de quelques questions. Le temps total requis pour cette entrevue, comprenant la période de questions, est environ 25 à 30 minutes en dehors des heures de travail. Il est possible qu'on vous demande de participer à cette entrevue une seconde fois pour évaluer la fiabilité de cet instrument, dans le mois qui va suivre.

Votre expérience avec des patientes atteintes du cancer du sein est très pertinente pour notre projet. Au cours de l'entrevue nous vous demanderons quelle valeur accordez-vous aux traitements utilisés pour améliorer la qualité de vie des femmes affectées par le cancer du sein métastatique. De courtes questions subjectives et objectives vous seront posées afin d'identifier les composantes ayant un impact la valeur que vous accordez à ces traitements.

L'information ainsi obtenue sera utilisée pour cette recherche seulement. Toute l'information recueillie sera anonyme et confidentielle. Les résultats de recherche pourront faire l'objet d'une publication, mais la confidentialité et l'anonymat seront préservés. Les questionnaires seront codés et la liste des codes correspondant au nom des participantes sera gardée sous clef de façon à ne permettre l'accès qu'à l'investigateur et à moi-même. Il y aura deux copies de cette feuille de consentement: une copie sera conservée par les chercheurs, et une deuxième vous sera remise.

Enfin, à n'importe quel moment, vous restez libre de vous retirer de cette recherche, sans justification, ni préjudice.

Pour tout autre renseignement vous pouvez vous adresser à madame Julie Piché [REDACTED] Nous vous remercions de votre collaboration et nous communiquerons avec vous bientôt.

\_\_\_\_\_  
Volontaire                      date

\_\_\_\_\_  
Julie Piché                      date

\_\_\_\_\_  
Nom                      Prénom