

**RAPPORT D'ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE**

# Annexes

Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France

**Octobre 2014**

Ce document est téléchargeable sur :

[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)

**Haute Autorité de Santé**

Service documentation – Information des publics

2, avenue du Stade de France – F 93218 Saint-Denis La Plaine Cedex

Tél. : +33 (0)1 55 93 70 00 – Fax : +33 (0)1 55 93 74 00

Ce document regroupe les **ANNEXES** relatives à l'argumentaire intitulé :

« **Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale** ».

Il est téléchargeable sur le site internet de la HAS et disponible vers ce lien :

▶ **Argumentaire**

## Sommaire

<b>Annexe 1. Revue de la littérature sur l'évaluation médico-économique de la prise en charge des patients en IRCT .....</b>	<b>5</b>
<b>Annexe 2. Etude du coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement .....</b>	<b>47</b>
1. Méthodologie complémentaire de l'étude de coût .....	48
2. Résultats complémentaires de l'étude des coûts .....	68
<b>Annexe 3. Caractéristiques et étapes de construction du modèle à compartiments .....</b>	<b>83</b>
1. Objectif de la modélisation .....	84
2. Données utilisées dans le modèle : les données du registre REIN (Réseau Epidémiologie et Information en Néphrologie).....	85
3. Apport d'un modèle statistique dans l'analyse des trajectoires des patients en IRCT .....	88
4. Principales étapes de la construction du modèle à compartiments .....	90
5. Résultats et contrôle de l'adéquation du modèle avec l'ensemble des modalités de traitement.....	95
<b>Annexe 4. Listes des tableaux et figures .....</b>	<b>100</b>
<b>REFERENCES .....</b>	<b>103</b>

## Annexe 1. Revue de la littérature sur l'évaluation médico-économique de la prise en charge des patients en IRCT

### ► Stratégie de recherche documentaire

#### Stratégie de recherche dans Medline et Pascal

	Mots-clés	Période de recherche	Nombre de références
<b>ÉTUDES ÉCONOMIQUES – DIALYSE</b>			
<b>Études françaises</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	118
Étape 1	(renal dialysis OR hemodialysis units, hospital OR dialysis solutions)/economics/de		
OR			
Étape 2	(dialys* OR hemodialys* OR haemodialys*)/ti,ab OR (renal dialysis OR hemodialysis units, hospital OR dialysis solutions)/de		
AND			
Étape 3	(cost* OR cout* OR economic* OR burden disease OR fardeau maladie OR depense*)/ti,ab OR (effectivness OR effectiveness OR efficiency)/ti OR (financ* OR reimbursement*)/ti,ab OR (expensive OR inexpensive)/ti,ab OR (economics OR "costs and cost analysis" OR financing, organized OR financing, personal OR health care sector OR economics, medical OR economics, nursing OR economics, pharmaceutical OR "fees and charges" OR financial management OR budgets OR health planning support OR medical indigency OR economics, hospital OR financial management, hospital OR purchasing, hospital OR cost allocation OR cost-benefit analysis OR cost control OR cost savings OR cost of illness OR health care costs OR social security OR insurance, health OR social insurance OR cost analysis OR cost efficiency analysis OR cost planning OR costs OR financing cost OR cost estimation OR cost price OR cost benefit ratio OR cost benefit analysis OR economic analysis OR economic aspect OR economic calculation OR economic data OR economic study OR economic impact OR economic information OR economic model OR economic optimization)/de		
AND			
Étape 4	(french* OR francais* OR France)/ti,ab OR France/de OR francais*/cs OR (french OR francais)/so		
<b>Études autres pays développés</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	661
Étape 1 OR (Étape 2 AND Étape 3)			
AND			
Étape 5	(developed countries OR europe OR european union OR north america OR japan OR australia)/de		

	Mots-clés	Période de recherche	Nombre de références
<b>ÉTUDES ÉCONOMIQUES – GREFFE RÉNALE à partir de donneur décédé</b>			
<b>Études françaises</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	5
Étape 6	(deceased donor* OR deceased donation* OR cadaveric donor* OR cadaveric donation* OR post mortem OR postmortem OR brain death OR cardiac arrest OR heart arrest OR donneur* décédé* OR mort encéphalique* OR cœur arrêté)/ti,ab OR (cadaver OR brain death OR death OR heart arrest)/de		
AND			
Étape 7	kidney transplantation/economics/de		
OR			
Étape 8	((renal OR renale OR renaux OR kidney OR rein OR reins) AND (transplant* OR greffe* OR graft* OR allograft*))/ti OR (rena* transplant* OR kidney* transplant* OR renal graft* OR kidney* graft* OR renal allograft* OR kidney* allograft* OR greffe* rena* OR greffe* rein* OR allogreffe* rena* OR allogreffe* rein*)/ti,ab OR kidney transplantation/de		
AND			
Étape 3			
AND			
Étape 4			
<b>Études autres pays développés</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	109
Étape 6 AND (Étape 7 OR [Étape 8 AND Étape 3]) AND Étape 5			
<b>ÉTUDES ÉCONOMIQUES – GREFFE RÉNALE à partir de donneur vivant</b>			
<b>Études françaises</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	7
Étape 9	(living donor* OR live donor* OR living donation* OR live donation* OR donneur* vivant*)/ti,ab OR living donors/de		
AND			
(Étape 7 OR [Étape 8 AND Étape 3]) AND Étape 4			
<b>Études autres pays développés</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	175
Étape 9 AND (Étape 7 OR [Étape 8 AND Étape 3]) AND Étape 5			
<b>COMPLÉMENT ÉTUDES ÉCONOMIQUES – INSUFFISANCE RÉNALE CHRONIQUE</b>			
<b>Études françaises</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	61
Étape 10	kidney failure, chronic/economics/de		

	<b>Mots-clés</b>	<b>Période de recherche</b>	<b>Nombre de références</b>
OR			
Étape 11	(chronic kidney failure OR chronic renal failure OR chronic kidney disease OR chronic renal disease OR end stage renal disease OR insuffisan* rena* OR CKD OR ESRD)/ti OR kidney failure, chronic/de		
AND			
Étape 3			
AND			
Étape 4			
<b>Études autres pays développés</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	496
(Étape 10 OR [Étape 11 AND Étape 3]) AND Étape 5			
<b>TÉLÉMÉDECINE</b>			
<b>Études françaises</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	29
Étape 12	(teledialys* OR tele dialys* OR remote dialys* OR remote hemodialys* OR remote haemodialys* OR distant* dialys* OR distant* hemodialys* OR distant* haemodialys* OR dialys* distance OR hemodialys* distance)/ti,ab		
OR			
Étape 13	(chronic kidney failure OR chronic renal failure OR chronic kidney disease OR chronic renal disease OR end stage renal disease OR insuffisan* rena* OR CKD OR ESRD)/ti,ab OR kidney failure, chronic/de OR (dialys* OR hemodialys* OR haemodialys*)/ti,ab OR (renal dialysis OR hemodialysis units, hospital OR dialysis solutions)/de		
AND			
Étape 14	remote/ti OR distance/ti OR distant/ti OR (satellite* OR remote unit* OR remote patient* OR distant* unit* OR distant* patient* OR distance unit* OR distance patient* OR information communication technolog* OR technolog* information communication OR telematic* OR telematique* OR telemed* OR ehealth OR telecar* OR telehealth OR telehealthcare OR telehomecare OR telesante OR telecommunication* OR telesurveillance OR tele surveillance OR telemetr* OR teleconsultation* OR tele consultation* OR telesoin* OR tele soin* OR tele med* OR e health OR tele car* OR tele health OR tele sante OR tele communication* OR tele metr* OR tele consultation* OR tele healthcare OR tele health care OR telehealth care OR tele homecare OR tele home care OR telehome care)/ti,ab OR (telecommunications OR telemetry OR computer communication networks OR hotlines OR remote consultation)/de		
AND			
Étape 4			
<b>Études autres pays développés</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	439

	<b>Mots-clés</b>	<b>Période de recherche</b>	<b>Nombre de références</b>
(Étape 12 OR [Étape 13 AND Étape 14]) AND Étape 5			
<b>QUALITÉ DE VIE – DIALYSE</b>			
<b>Études françaises</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	189
Étape 2			
AND			
Étape 15	(quality life OR qualite vie OR QoL)/ti,ab OR (quality of life OR quality adjusted life year OR socioeconomic factors OR socioeconomics OR patient satisfaction OR activities of daily living OR daily life activity OR disability OR disability evaluation OR wellbeing OR life satisfaction OR life satisfaction survey OR psychological aspect OR lyfestyle OR interpersonal relation OR sickness impact profile OR apache OR severity of illness index OR social aspect OR social network OR social life OR integration sociale OR interaction sociale OR social behavior OR social adjustment OR social adaptation OR social disability OR employment)/de OR (employment OR emploi)/ti,ab OR (job finding OR occupations OR rehabilitation, vocational OR vocational rehabilitation OR occupational therapy OR travail OR productivité travail OR rythme travail OR précarité emploi OR situation emploi OR reprise travail OR incapacité travail)/de OR (reinsertion sociale OR arrêt travail OR reprise travail)/ti,ab OR absenteeism/de OR absentéisme/ti,ab OR work disability/de OR work capacity evaluation/de OR ((invalidité/de OR incapacité/de) AND travail/de) OR productivity/de OR loss productivity/ti,ab		
AND			
Étape 4			
<b>Études autres pays développés</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	425
Étape 2			
AND			
Étape 16	quality life/ti OR qualité vie/ti		
AND			
Étape 5			
<b>COMPLÉMENT QUALITÉ DE VIE – INSUFFISANCE RÉNALE CHRONIQUE</b>			
<b>Études françaises</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	81
Étape 11 AND Étape 15 AND Étape 4			
<b>Études autres pays développés</b>		Janv. 2000 – Mai 2014	230
Étape 11 AND Étape 16 AND Étape 5			



► **Liste des sites internet consultés**

Agence de la biomédecine (ABM)

[www.agence-biomedecine.fr](http://www.agence-biomedecine.fr)

Haute Autorité de Santé (HAS)

<http://www.has-sante.fr>

Ministère de la santé

[www.sante.gouv.fr](http://www.sante.gouv.fr)

Société française de Néphrologie

[www.soc-nephrologie.org](http://www.soc-nephrologie.org)

European Renal Association, European Dialysis and Transplantation Association, European Renal Best Practice (ERBP)

[www.european-renal-best-practice.org](http://www.european-renal-best-practice.org)

Clinical Knowledge Summaries (CKS)

[www.cks.nice.org.uk](http://www.cks.nice.org.uk)

National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE)

[www.nice.org.uk](http://www.nice.org.uk)

NHS National service frameworks and strategies (NHS Choices)

<http://www.nhs.uk/NHSEngland/NSF/Pages/Renalservices.aspx>

Scottish Intercollegiate Guidelines Network (SIGN)

[www.sign.ac.uk](http://www.sign.ac.uk)

UK Renal Association

[www.renal.org](http://www.renal.org)

UK Renal Registry

[www.renalreg.com](http://www.renalreg.com)

Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH)

[www.cadth.ca](http://www.cadth.ca)

Canadian Society of Nephrology (CSN)

<https://www.csnsn.ca/fr/committees/clinical-practice-guidelines/library>

Guidelines and Protocols Advisory Committee of British Columbia (GPAC)

<http://www.bcguidelines.ca/>

Health Quality Ontario (HQO)

[www.hqontario.ca](http://www.hqontario.ca)

The Kidney Foundation of Canada

[www.kidney.ca](http://www.kidney.ca)

Agency for Healthcare Research & Quality (AHRQ)

[www.ahrq.gov](http://www.ahrq.gov)

American Society of Nephrology (ASN)

[www.asn-online.org](http://www.asn-online.org)

Centers for Disease Control and Prevention (CDC)

[www.cdc.gov](http://www.cdc.gov)

Centers for Medicare and Medicaid services (CMS)

[www.cms.gov](http://www.cms.gov)

End Stage Renal Disease Network Coordinating Center

<http://esrdncc.org/>

End Stage Renal Disease Networks

[www.esrdnetworks.org](http://www.esrdnetworks.org)

Michigan Quality Improvement Consortium (MQIC)

[www.mqic.org](http://www.mqic.org)

National Institute of Diabetes and Digestive and Kidney Diseases (NIDDKS)

[www.niddk.nih.gov](http://www.niddk.nih.gov)

National Kidney Disease Education Program (NKDEP)

<http://nkdep.nih.gov/>

National Kidney Foundation, Kidney Disease Outcomes Quality Initiative (KDOQI)

[www.kidney.org/professionals/kdoqi](http://www.kidney.org/professionals/kdoqi)

Renal Physicians Association (RPA)

<http://www.renalmd.org/>

United State Renal Data System (USRDS)

[www.usrds.org](http://www.usrds.org)

Veterans Health Administration

<http://www.va.gov/>

Australian and New Zealand Horizon Scanning Network (ANZHSCN)

[www.horizonscanning.gov.au](http://www.horizonscanning.gov.au)

Caring for Australasians with Renal Impairment (CARI)

<http://www.cari.org.au/>

Kidney Health Australia

[www.kidney.org.au](http://www.kidney.org.au)

Kidney Health New Zealand

[www.kidneys.co.nz](http://www.kidneys.co.nz)

National Health and Medical research Council (NHMRC)

[www.nhmrc.gov.au](http://www.nhmrc.gov.au)

Renal Society of Australasia

[www.renalsociety.org](http://www.renalsociety.org)

Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO)

<http://kdigo.org>

### ► **Tableaux de synthèse de l'analyse critique des études intégrées dans la revue de la littérature**

L'objectif de ces tableaux est de synthétiser les principales caractéristiques et résultats des études et également certaines des principales limites identifiées. Ces tableaux ne présentent pas une analyse critique exhaustive des études. Il est important de noter que le nombre de critiques énoncées est indépendant de la qualité des études. En effet, l'analyse critique a été réalisée à partir de la méthode d'évaluation telle qu'elle est décrite. Or, certaines études détaillaient très peu leur méthode. En outre, toutes les critiques n'ont pas la même importance en ce qui concerne leur impact sur la validité des résultats.

Tableau 1. Tableau de synthèse de l'analyse critique des études de coût

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Benain <i>et al.</i> 2007 (1)  France	<u>Perspective :</u> Financier de soins – Assurance maladie.  <u>Durée d'étude :</u> 1 an (2005).	<u>Population d'étude :</u> 30 882 patients en 2003 sous traitement de suppléance.  Incidence en 2002 : 123 pmh.  <u>Source :</u> enquête patients en IRCT recensés dans l'enquête SROS 2003 et REIN.	DPA vs DPCA vs HDD vs HDC vs UAD vs UDM	<u>Coûts pris en compte : directs</u> (séances de dialyse, personnel, hospitaliers, ambulatoires, transport). Coûts relatifs aux comorbidités et indirects exclus.  <u>Principales sources :</u> Estimation des coûts à partir des tarifs en vigueur en 2005 et des données Assurance maladie. Parcours de soins « types » définis à partir de la littérature et d'un Comité d'experts pluridisciplinaire.	<u>Unité de mesure :</u> coût moyen annuel en € <sub>2005</sub> .  <u>Résultats :</u> - pas de différence discriminante entre DPCA, DPA et HDD (respectivement 49 953 €, 49 676 € et 49 911 €) ; - HD UAD = 59 470 € - HD UDM = 62 280 € ; - HDC (83 588 €). - réduction de la différence de coût entre DP et HD dans le temps ; - coût annuel estimé à 2,145 milliards.  <u>Principale conclusion :</u> Prises en charge hors centre, et notamment à domicile moins coûteuses.	<u>Analyses de sensibilité sur :</u> - les postes de coûts estimés et validés par le comité d'expert ; - la répartition des patients entre les différentes modalités ; - la croissance annuelle de la prévalence de l'IRCT.  <u>Principales limites<sup>1</sup> :</u> - durée d'étude courte : 1 an ; - coûts incomplets ; - estimation statique et non fondée sur les données en conditions réelles ; - estimations de la répartition des patients et des parcours de soins fondés sur les données de l'enquête de 2003, sans prendre en compte le développement des UDM ; - pas de comparaison de toutes les techniques (transplantation).

<sup>1</sup> Les limites sont présentées sans être hiérarchisées ; leur impact sur les résultats n'a pas été évalué.

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Blotière <i>et al.</i> 2010 (2) France	<p><u>Perspective :</u> Financier de soins – Assurance maladie.</p> <p>Durée d'étude : 1 an (2007).</p>	<p><u>Population d'étude :</u> 60 900 patients traités pour une IRCT en France en 2007.</p> <p>Répartition : HD : 30 900 ; DP : 2 600 ; Tx : 27 300.</p> <p>Données : SNIRAM - 77 % de la pop. (régime général). Extrapolations pour les autres régimes.</p>	DP vs HD vs Tx.	<p>Coûts directs (honoraires ; auxiliaires médicaux ; biologie, pharmacie ; transports ; autres soins de ville ; hospitalisations privées et publiques).</p> <p><u>Principale source :</u> SNIIR-AM.</p>	<p><u>Unité de mesure :</u> coût moyen annuel par patient en €<sub>2007</sub>.</p> <p><u>Résultats :</u> HD : 89 000 € ; DP : 64 100 €. Transplantation : 86 000 € la première année et 20 000 € les suivantes.</p> <p><u>Principales conclusions :</u> DP et transplantation devraient être encouragées. Variation du montant des postes de dépense selon la technique considérée.</p>	<p><u>Analyse de sensibilité :</u> Un scénario testé : augmentation DP (15 et 25 %) et de la transplantation (900 transplantations à partir de donneurs vivants en plus).</p> <p><u>Principales limites :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- pas de distinction entre les complications et comorbidités ;</li> <li>- extrapolation du régime général à la population totale ;</li> <li>- pas d'ajustement en fonction des caractéristiques de patients ;</li> <li>- durée courte : 1 an ;</li> <li>- estimation du coût annuel par traitement se fondait sur le dernier traitement de suppléance reçu dans l'année ;</li> <li>- non prise en compte de toutes les modalités de traitement ;</li> <li>- changements de techniques et/ou de modalité non pris en compte sur la période d'étude ;</li> <li>- coûts incomplets (ex : transplantation, non-prise en compte des coûts des prélèvements) ;</li> <li>- pas d'analyse de sensibilité sur l'ensemble des paramètres estimés.</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Hallinen <i>et al.</i> 2009 (3)  Finlande	<p><u>Perspective :</u> Financier de soins</p> <p><u>Durée d'étude :</u> 1 an : 2003-2004</p>	<p><u>Population d'étude :</u> 29 patients incidents 1 hôpital.</p> <p>Changements sur la période : - au début de l'étude : 66 % en HD ; - 38 % ont changé de traitement au cours de l'année ; - à la fin de l'étude : 66 % en HD (compensation entre les changements).</p>	<p>DP vs HD</p> <p>Tx : inclus</p>	<p><u>Coûts :</u> directs (séances, pharmacie, transport, consultations externes, etc.).</p> <p><u>Principales sources :</u> Assurance maladie et hôpital.</p>	<p><u>Unité de mesure :</u> coût annuel moyen par patient en €<sub>2004</sub>.</p> <p><u>Résultats :</u> DP : 55 743 € (CI 95 % 40 661-70 826) HD : 77 126 € (CI 95 % 70 480-83 773)</p> <p>Caractéristiques différentes des patients en HD : fonction résiduelle rénale dégradée, fréquence de diabète plus faible et qualité de vie moins bonne par rapport à ceux en DP.</p> <p><u>Principale conclusion :</u> La dialyse péritonéale semblait moins coûteuse – des analyses complémentaires restaient nécessaires.</p>	<p><u>Principales limites :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- pas d'analyse de sensibilité ;</li> <li>- pas d'ajustement sur les comorbidités ;</li> <li>- coûts pris en considération non suffisamment détaillés ;</li> <li>- méthode d'estimation des coûts non décrite ;</li> <li>- périmètre et valorisation des coûts non suffisamment décrits ;</li> <li>- pas de présentation du coût des techniques par postes de dépense ;</li> <li>- population de taille très réduite (29 patients) sélectionnés dans un seul hôpital ;</li> <li>- durée d'étude 1 an ;</li> <li>- faible transposabilité des résultats.</li> </ul>
Malmström <i>et al.</i> 2008	<p><u>Perspective :</u> sociétale.</p>	<p><u>Population d'étude :</u> 65 patients (33 HDD et 32 SHD).</p>	<p>HDD vs SHD.</p>	<p><u>Coûts :</u> directs (hôpital, transport,</p>	<p><u>Unité de mesure :</u> coût annuel moyen par patient en €<sub>2004</sub></p>	<p><u>Principales limites :</u> - pas d'analyse de sensibilité ;</p>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
(4)  Finlande	Durée d'étude : 1 an (2004).	1 hôpital.		<p>pharmacie, biologie, installation HDD, consultations externes, temps des aidants).</p> <p>Non pris en considération : premières consultations chez le généraliste.</p> <p><u>Principales sources</u> : registre de l'hôpital, assurance sociale.</p>	<p><u>Résultats</u> :</p> <p>HDD = 38 477 € (+/-7 685 €) ; SHD = 39 781 € (+/-10 226 €).</p> <p><u>Principales conclusions</u> :</p> <p>- pas de différence discriminante de coût entre les deux modalités ; - différence dans la répartition des principaux postes de coûts entre ces deux modalités.</p>	<p>- pas d'ajustement en fonction des comorbidités ; - périmètre et valorisation des coûts non suffisamment explicités ; - pas d'ajustement sur les caractéristiques des patients ; - population de taille réduite et sélectionnée dans un seul hôpital ; - durée d'analyse courte (1 an) ; - faible transposabilité des résultats.</p>
Salonen <i>et al.</i> 2003 (5)  Finlande	<p><u>Perspective</u> : Fournisseur de soins.</p> <p><u>Durée d'étude</u> : Janv. 1991-Déc. 1996.</p>	<p><u>Population d'étude</u> :</p> <p>Patients incidents = 214 1 hôpital.</p> <p>Répartition par technique : HD = 138 DPCA = 76</p> <p>Changements sur la</p>	<p>DPCA vs HD en première technique de traitement.</p> <p>Tx prise en considération dans la description de trajectoires de prises en charge.</p>	<p><u>Coûts</u> : directs (séances de dialyse, hospitalisation, pharmacie, ambulatoire, biologie, démarrage, transport).</p> <p>Segmentation des coûts à 6 mois et à</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coûts moyen par patient en \$<sub>1997</sub>.</p> <p><u>Résultats</u> :</p> <p>- 6 premiers mois Tx : 38 265 \$ ; HD : 32 566 \$ ; DPCA : 25 504 \$.</p> <p>- 6 mois suivants : Tx : 7 420 \$ ; HD : 26 272 \$ ;</p>	<p><u>Analyses de sensibilité</u> :</p> <p>- multivariées sur les caractéristiques des patients. Variables associées à une augmentation des coûts : âge, maladie cardiaque, cause de la maladie rénale et technique de traitement (HD).</p> <p><u>Principales limites</u> :</p> <p>- possible biais de sélection dans la population ; - changements de traitement</p>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
		période : 27 patients en DP (complications) → HD ; 12 patients en HD (préférences) → DP ; 55 patients → transplantation.		1 an.  <u>Principales sources</u> : Registre et bases de données de l'hôpital universitaire.  Ajustements réalisés en fonction des caractéristiques des patients.	DPCA : 24 218 \$ ; - ensuite : HD : 54 140 et 54 490 \$ ; DP : 45 262 \$ et 49 299 \$ ; Tx : 11 446 \$ et 9 989 \$.  <u>Principale conclusion</u> : Tx moins coûteuse à partir de 6 mois ; DP moins coûteuse que HD.	non pris en compte ; - résultats non généralisables et non transposables ; - coûts pris en considération pour la transplantation non précisés.
Lee <i>et al.</i> 2002 (6)  Canada	<u>Perspective</u> : Financier de soins.  <u>Durée d'étude</u> : Un an à partir de juillet 1999.	<u>Population d'étude</u> : 166 patients en dialyse depuis 6 mois.  Répartition des patients : HDC = 88 ; SHD = 31 ; HDD = 9 ; PD = 38 (32 DPCA et 6 DPA).  Estimation sur 12 mois pour 124 patients (patients n'ayant	HDC vs HDD vs SHD vs DP.	<u>Coûts</u> : directs (séances de dialyse à l'hôpital et en externe, honoraires médicaux, biologie, pharmacie).  <u>Principales sources</u> : bases de données institutionnelles et registres.	<u>Unité de mesure</u> : coût annuel moyen par patient en \$ <sup>2000US</sup> .  <u>Résultats</u> : Sans ajustement : HDC : 51 252 \$ ; SHD : 42 057 \$ ; HDD : 29 961 \$ ; DP : 26 959 \$. Après ajustement : HDC : 50 928 \$ ; SHD : 42 893 \$ ; HDD : 31 679 \$ ; DP : 26 540 \$.	<u>Analyses de sensibilité</u> univariées : - rémunération des néphrologues et infirmières (si même rémunération néphrologue centre/satellite, alors baisse de la différence de coût de 4 000 \$/ an ; augmenter de 30 % la rémunération des infirmières accroît la différence de 2 500 \$/an) ; - frais généraux identiques = diminution de la différence de coût de 1 320 \$/an ; - augmentation du score Charlson accroît le coût annuel (impact important du diabète et d'une maladie cardio-



Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
		<p>pas eu un seul traitement sur la période ou n'ayant pu être suivis n'ont pas été comptabilisés).</p> <p>Ajustements selon les principales caractéristiques des patients (ex : comorbidités, âge).</p>			<p><u>Principales conclusions :</u> en termes de coûts, DP &lt; HD, HDD &lt; SHD et SHD &lt; HDC.</p>	<p>vasculaire).</p> <p><u>Principales limites :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- coûts incomplets ;</li> <li>- patients d'un seul hôpital ;</li> <li>- changements de modalités sur la période non pris en compte ;</li> <li>- valorisation non suffisamment détaillée ;</li> <li>- analyse statique.</li> </ul>
<p>McFarlane et al. 2002 (7)  Canada</p>	<p><u>Perspective :</u> Fournisseur de soins.</p> <p><u>Durée d'étude :</u> 1 janvier 2000 au 1<sup>er</sup> mars 2001.</p>	<p><u>Population d'étude :</u> 33 HDDN et 23 HDC.</p> <p>Analyse multicentre (2 centres de Toronto qui proposent HDDN et HDC).</p> <p>Ajustements sur les principales caractéristiques des patients.</p> <p>Remarque : sur 82 patients HDC, 36 éligibles pour une HDD.</p>	<p>HDC Cv vs HDDN.</p>	<p><u>Coûts :</u> Coûts directs (séances de dialyse, générateurs, personnel médical, pharmacie, biologie, frais généraux).</p> <p><u>Principales sources :</u> registre et observations sur les deux centres pris en compte dans l'étude ; ministère de la Santé Ontario.</p>	<p><u>Unité monétaire :</u> coût annuel moyen par patient en \$<sub>2000</sub> canadien.</p> <p><u>Résultats :</u> HDC = 68 935 \$ HDDN = 56 394 \$</p> <p><u>Principales conclusions :</u> - HDDN moins coûteux que HDC (1 082 \$ + ou -155 \$ vs 1 322 \$ + ou -346 \$) (p = 0,006). - Répartition des principaux postes de coûts différents selon la modalité considérée.</p>	<p><u>Analyses de sensibilité univariée :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- sur la durée d'amortissement du matériel : la différence de coût entre HDC et HDDN augmentait avec la durée d'utilisation des machines.</li> </ul> <p><u>Principales limites :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- taille de l'échantillon ;</li> <li>- population de patients jeunes avec peu de comorbidités ;</li> <li>- pas de comparaison entre HDD cv et HDDN ;</li> <li>- coûts incomplets (ex : transports) ;</li> <li>- méthode et informations relatives à la valorisation de certains coûts non suffisamment décrite ;</li> <li>- durée d'étude courte.</li> </ul>



Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
<p>Soroka <i>et al.</i> 2005 (8)  Canada</p>	<p><u>Perspective :</u> sociétale.</p> <p><u>Durée d'étude :</u> 1 an (2000).</p>	<p><u>Population d'étude :</u> 198 en HDC ; 42 en SHD.</p> <p>Volume de patients/centre : HDC : 198 ; SHD : 10.</p> <p>Observations sur 1 unité SHD.</p>	<p>SHD vs HDC</p>	<p><u>Coûts :</u> directs (séances de dialyse, biologie, personnels, pharmacie, matériels, frais généraux, transports).</p> <p>Temps des aidants non pris en compte.</p> <p><u>Principales sources :</u> observations sur 10 patients en SHD, 198 HDC ; tests/mois standards (source non précisée) pour la biologie ; tous les patients traités depuis plus de 3 mois pour les coûts de transport et de pharmacie.</p>	<p><u>Unité de mesure :</u> les coûts fixes sont exprimés en fonction du nombre total de patient, les coûts variables sont calculés par an et par patient.</p> <p><u>Résultats :</u> <b>coûts fixes :</b> HDC : 320 937 \$ ; SHD : 77 566,33 \$ ; <b>coûts variables :</b> HDC : 39 916, 15 \$ ; SHD : 28 542, 14 \$ ; <b>transports :</b> HDC : 1 560,00 \$ ; SHD : 13 923,85 \$ ;</p> <p><u>Principales conclusions :</u> HDC &gt; SHD ; SHD économiquement viable à partir de 7 patients.</p>	<p><u>Analyse de sensibilité :</u> - formule du seuil de rentabilité (sensibilité aux honoraires des néphrologues) + inclusion des coûts de rénovation.</p> <p><u>Principales limites :</u> - caractéristiques de la population d'étude pas suffisamment détaillées ; - nombre de patients pris en compte pour estimer les coûts de SHD très faible ; - méthode d'estimation des coûts non suffisamment précisée ; - unité monétaire non précisée ; - pas d'ajustement sur les caractéristiques des patients ; - résultats non transposables.</p>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Barnieh 2011 (9)  Canada	<u>Perspective :</u> Financier de soins.  <u>Durée d'étude :</u> 1998-2006.	<u>Population d'étude :</u> patients adultes transplantés pour la première fois entre le 1 avril 1998 et le 31 mars 2006 dans le cadre du programme de transplantation d'Alberta du Sud ;  227 transplantés partir d'un donneur DCD ; 130 transplantés à partir d'un donneur vivant.	Tx DV vs Tx DCD	<u>Coûts :</u> directs (prélèvements, examens prétransplantation donneurs et receveurs, actes de transplantation et le suivi).  <u>Principales sources :</u> bases de données du programme de transplantation d'Alberta du Sud ; bases de données des assurances santé.	<u>Unité de mesure :</u> coût moyen sur deux ans en \$ <sub>2008</sub> canadiens.  <u>Résultats :</u> Tx DV : 118 347 \$ [110 395-126 299, CI 95 %] ; Tx DCD : 121 121 \$ [114 287-127 956, CI 95 %].  <u>Principale conclusion :</u> Absence de différence significative entre le coût de Tx DCD et Tx DV.	<u>Analyses de sensibilité :</u> - prise en compte des autres organes prélevés sur donneurs décédés (coût Tx avec donneur décédé diminue) ; - prise en compte des coûts de dialyse avant la transplantation (coût Tx avec donneur décédé augmente).  <u>Principales limites :</u> - tous les coûts liés à la perspective n'ont pas pu être pris en compte (cf. pharmacie et biologie donneur vivant) ; - non-prise en compte des coûts liés à la recherche d'un donneur décédé et des coûts de dialyse post transplantation ; - prise en compte des rejets non suffisamment explicitée.
Chui <i>et al.</i> 2013 (10)  Canada	<u>Perspective :</u> Financier de soins public.  <u>Durée d'étude :</u> 3 ans.	<u>Population d'étude :</u> tous les patients incidents d'Alberta entre 1999-2003 (1 378 patients).	DP vs HD → DP vs HD vs DP → HD (considérée comme un échec de la technique).	<u>Coûts :</u> coûts directs (hospitalisations, personnel médical, biologie, pharmacie, soins en ambulatoire).  <u>Principales sources :</u> données individuelles à partir d'un registre	<u>Unité de mesure :</u> coûts moyens sur les 3 années en \$ <sub>2010</sub> canadien.  <u>Résultats :</u> DP seule : 5 8724 (95 % CI, 44123 \$-73325 \$) ; HD vers DP :	<u>Analyses de sensibilité :</u> - sur l'effet des données censurées et des transformations logarithmiques utilisées dans les régressions linéaires du modèle.  <u>Principales limites :</u> - résultats non nécessairement transposables (autres régions et selon le profil de patients

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
				régional et données institutionnelles (coûts).  Ajustements sur les caractéristiques des patients.	114 503 \$ (95 % CI, 96 318 \$-132 688 \$) ; HD seule : 175 996 \$ (95 % CI, 134 787 \$-217 205 \$). Échec de DP : 11 466 \$/an similaire HD seule sur 3 ans.  <u>Principale conclusion :</u> Comparer aux coûts d'une prise en charge par HD sur 3 ans, la DP ou un passage de HD vers DP = moins coûteux. En cas d'échec de la DP, les coûts sur 3 ans n'excédaient pas le coût de 3 ans en HD.	orientés en DP) ; - données manquantes sur la cause de changement de DP vers HD ; - 1 seul changement la 1 <sup>re</sup> année envisagé ; - ajustement ne tient pas compte de certaines variables confondantes ; - non prise en compte des différentes modalités de traitements ; - Tx non pas prise en compte.
Shih <i>et al.</i> 2005 (11)  États-Unis	<u>Perspective :</u> Financier de soins public – Medicare.  <u>Durée d'étude :</u> 3 ans.	<u>Population d'étude :</u> 3 423 patients incidents inclus.  Répartition des patients : DP = 52 % ; HD = 48 %.	DP vs HD  Accès à la transplantation pris en compte.	<u>Coûts :</u> non détaillés.  <u>Principales sources :</u> données institutionnelles et bases de données assurance santé	<u>Unité de mesure :</u> coût annuel moyen par patient en \$ <sub>2004</sub> américain.  <u>Résultats :</u> Sans ajustement sur les caractéristiques des patients. Initiation au traitement en :	<u>Analyses de sensibilité multivariées proposées :</u> - moment où intervient le changement ; - intégration des états suivants (transplantation, décès, et perdu de vue).  <u>Principales limites :</u> - coûts non décrits ; - la perspective ne permet pas

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
		Ajustements sur les principales caractéristiques des patients (ex : comorbidités, âge, etc.).		(Medicare).  Estimation des probabilités de changement de traitement selon le traitement initial : - 7 % en DP ; 1 % en HD. - Accès à la Tx : DP 19,7 % ; HD 9,1 %.	DP = 53 277 \$ ; HD = 72 189 \$. Sans changement : DP = 44 111 \$ ; HD = 72 185 \$. Avec au moins un changement : DP = 66 639 \$ ; HD = 72 335 \$. Après ajustement : 56 807 \$ en DP vs 68 253 \$ en HD.  <u>Principale conclusion :</u> Choix du traitement initial et changements impactaient les coûts : DP à l'initiation moins coûteuse.	une analyse de coût complète ; - présentation des coûts agrégés ; - analyses de sensibilité incomplètes ; - durée d'analyse courte pour prendre en compte les changements ; - déterminants de l'augmentation des coûts liés aux changements non décrits ; - non-prise en compte des facteurs de variabilité de certains coûts.
Mohr <i>et al.</i> 2001 (12)  États-Unis	<u>Perspective :</u> sociétale.  <u>Type d'étude :</u> Modélisation visant à estimer l'impact des coûts évités par la dialyse quotidienne (impact sur les	<u>Population d'étude :</u> non décrite.	HDC cv vs HDCQ vs HDDQ vs HDDN	<u>Coûts :</u> directs (séances de dialyse, entraînements, pharmacie, transports en ambulance, honoraires médicaux, auxiliaires et	<u>Unité de mesure :</u> coût annuel moyen/patient en \$ <sub>1998</sub> US.  <u>Résultats :</u> HDC cv = 68 400 \$ ; HDCQ = 60 800 \$ ; HDDQ = 57 400 \$ ; HDDN = 57 700 \$.	<u>Analyse de sensibilité multivariée :</u> (coûts de la dialyse et variation de l'importance des coûts évités). Conclusion : la HDQ restait toujours moins coûteuse que HDcv en centre.  <u>Principales limites :</u>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p>recours aux soins et aux consommations de médicaments, EPO notamment).</p> <p><u>Durée</u> : 1 an (1997).</p>			<p>infirmières).</p> <p><u>Principales sources</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- données institutionnelles ;</li> <li>- si informations non disponibles dans les bases institutionnelles, alors des données observées ont été utilisés (programme de HDDQ de Californie [n = 26], programme de HDDN de Virginie [n = 13]) ;</li> <li>- avis d'experts pour identifier certaines consommations de soins.</li> </ul>	<p><u>Principale conclusion</u> :</p> <p>HDDQ avantageuse en termes de coût.</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- population non clairement décrite ;</li> <li>- pas d'analyse de sensibilité sur les caractéristiques des patients ; <ul style="list-style-type: none"> <li>- description des coûts insuffisante ;</li> </ul> </li> <li>- méthode de valorisation pas suffisamment explicitée ;</li> <li>- pas de présentation des coûts unitaires ;</li> <li>- pas d'analyse des transferts de charges entre les financeurs (patients, centres de dialyse et assurances) ; <ul style="list-style-type: none"> <li>- la durée : 1 an.</li> </ul> </li> </ul>
<p>Lamas Barreiro <i>et al.</i> 2011 (13)</p> <p>Espagne (Galice)</p>	<p><u>Perspective</u> : non précisée explicitement.</p> <p><u>Durée d'étude</u> : 2010.</p> <p><u>Objectifs</u> : calcul du coût et de la valeur ajoutée,</p>	<p><u>Population d'étude</u> :</p> <p>Nombre et caractéristiques des patients non précisés ;</p> <p>1 région.</p> <p>Établissements sous contrat avec le département de la santé.</p>	<p>HD vs DP.</p>	<p><u>Coûts</u> : directs.</p> <p>HD : financement du département de la santé pour les accords de sous-traitance; transport.</p> <p>DP : financement du gouvernement par session, consommables ;</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût/patient/an en euros (année non précisée).</p> <p><u>Résultats</u> :</p> <p>HD : 21 595 € ;</p> <p>DP : 25 664 € ;</p> <p>HD valeur ajoutée</p>	<p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- perspective non explicitée ;</li> <li>- caractéristiques de la population non précisées ;</li> <li>- coûts pris en compte incomplets ;</li> <li>- estimation de certains coûts reposait sur une extrapolation d'observation sur 1 mois à</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	générée par les accords de sous-traitance du département de la santé pour une prise en charge des patients en DP et en HD.			<p>personnels.</p> <p><u>Principales sources</u> : publications officielles ; prix de vente des offreurs ; données institutionnelles (département de la santé).</p> <p><u>Hypothèses</u> : calcul de la valeur ajoutée sur la base d'un agrément pour 40 patients.</p>	<p>supérieure, notamment en termes de création d'emploi.</p> <p><u>Principales conclusions</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- l'affirmation selon laquelle la DP était moins coûteuse <b>quel</b> HD n'était pas généralisable ;</li> <li>- le résultat de la comparaison HD/DP dépend de nombreux facteurs (répartition des patients dans les modalités de DP, consommables utilisés ; coûts associés au traitement).</li> </ul>	<p>1 an ;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- des données théoriques et non toujours observées en condition réelles ;</li> <li>- estimation de la valeur ajoutée pas suffisamment explicitée ;</li> <li>- aucune analyse de sensibilité ;</li> <li>- transposabilité faible des résultats.</li> </ul>
<p>Villa <i>et al.</i> 2011 (14)</p> <p>Espagne</p>	<p><u>Perspective</u> : Administration publique</p> <p><u>Durée d'étude</u> : 1 an (2010)</p>	<p><u>Population d'étude</u> : Prévalence et incidence de l'IRCT en Espagne en 2010</p> <p>Répartition des patients entre les traitements : données observées – registre espagnol</p>	<p>HD vs DP vs Tx</p>	<p><u>Coûts</u> : directs</p> <p>HD et DP : voie d'abord vasculaire; entraînements, traitements, pharmacie (EPO), coûts liés aux complications, consommables, transports,</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût moyen par patient en €<sub>2010</sub></p> <p><u>Résultats</u></p> <p>Coûts directs :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- incident : HD : 2 651 € DP : 1 808 € Tx : 38 313 €</li> <li>- prévalent :</li> </ul>	<p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- pas d'analyse de sensibilité ;</li> <li>- coûts associés à la Tx incomplets (ex : coûts des prélèvements) ;</li> <li>- perspective non suffisamment explicitée ;</li> <li>- méthode de calcul et présentation des résultats pas suffisamment précise ;</li> <li>- conclusions relatives à la</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
				<p>personnel, frais de fonctionnement et amortissement des machines.</p> <p>Tx : chirurgie, pharmacie, complications et visites.</p> <p>Indirects.</p> <p><u>Principales sources</u> : littérature, données institutionnelles et données de la société de néphrologie espagnole.</p>	<p>HD : 37 968 € ; DP : 25 826 € ; Tx : 6 283 €.</p> <p>Coûts indirects : HD : 8 929 € ; DP : 7 429 € ; Tx : 5 483 €.</p> <p>Impact économique pour l'administration publique : 1 829 millions d'euros (coûts directs + indirects) HD : 1 327 € ; DP : 109 € ; Tx : 393 €.</p> <p><u>Principales conclusions</u> : HD représentait plus de 70 % du coût de prise en charge de l'IRCT ; développer la DP pour les incidents et prévalents était préférable.</p>	<p>transplantation non explicitées ;</p> <p>- différences de coûts importantes entre les modalités non présentées dans les résultats et non exploitées dans les conclusions.</p>
Baboolal <i>et al.</i> 2008 (15)	<u>Perspective</u> : Financier de soins public	<u>Population d'étude</u> :	DPCA vs DPA vs HDC vs HDD vs SHD		<u>Unité de mesure</u> : coût moyen annuel par patient en £	<u>Principales limites</u> :



Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Royaume-Uni	(NHS).  <u>Durée d'étude</u> : non précisée.	non précisée.  Étude multicentres 8 hôpitaux.		<u>Coûts</u> : directs (personnels ; traitement de l'anémie ; transports, dialyses et maintenance des appareils, consommables et frais généraux).  <u>Principales sources</u> : Entretiens semi-directifs avec le personnel médical, données publiées et prix affichés par les fournisseurs.  <u>Méthode</u> : <i>micro-costing</i> et <i>top down</i> .	(année ?).  <u>Résultats</u> : En termes de coûts : DPCA < DPA < SHD < HDC ; DPCA = 21 655 £ ; DPA = 15 570 £ ; SHD = 32 669 £ ; HDC = 35 023 £ ; HDD estimation non concluante.  Les estimations variaient en fonction de l'hôpital considéré.  <u>Principales conclusions</u> : DP moins coûteuse. Les différences entre établissements pouvaient être expliquées par les frais de fonctionnement.	- la méthode des interviews peut conduire à surestimer certains coûts et en sous-estimer d'autres ; - comorbidités non prises en considération ; - perspective ambiguë ; - caractéristiques des patients non prises en considération ; - aucune analyse de sensibilité ; - coûts incomplets (perspective) ; - transposabilité des résultats faibles.
Kerr <i>et al.</i> 2012 (16)	<u>Perspective</u> : Financier public NSH.	<u>Population d'étude</u> : Population en insuffisance rénale stade 3 à 5 au	Transplantation vs HD vs DP.	<u>Coûts</u> : pour IRCT directs (principalement, bilans, soins	<u>Unité de mesure</u> : coût annuel moyen par patient en £ <sub>2009</sub>	<u>Principales limites</u> : - problématique non spécifique



Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Royaume-Uni	<u>Durée d'étude</u> : 1 an 2009-2010.	Royaume-Uni entre 2009-2010. Dans cette étude, seules les conclusions et les analyses concernant le stade terminal sont prises en compte.		primaires, entraînements, pharmacie et séances de dialyse).  <u>Principales sources</u> : bases de données et registres nationaux, référentiels de coûts NHS et collecte d'information auprès des hôpitaux NHS).	<u>Résultats</u> : Tx : 12 000 £ ; HD : 24 043 £ ; DP : 20 078 £.  <u>Principales conclusions</u> : Des incertitudes persistent sur l'efficacité relative des techniques de traitement de l'IRCT. Les résultats devraient être interprétés avec précautions.	sur la comparaison des techniques ; - pas d'ajustement en fonction des caractéristiques de patients ; - durée 1 an ; - estimation du coût annuel par traitement non explicité ; - changements de techniques et/ou de modalité non pris en compte sur la période étudiée ; - modalités de traitement non prises en compte ; - coûts incomplets ; - pas d'analyse de sensibilité ; - transposabilité des résultats faible.
Tediosi <i>et al.</i> 2001 (17)  Italie	<u>Perspective</u> : pas claire.  <u>Durée d'étude</u> : 1 an HD : 1994 ; DP : 1996.	<u>Population d'étude</u> : Répartition des patients : HDH = 657 HDC = 107 DP = 436 (78 % en DPCA et 22 % en DPA)  Etude multicentrique : 24 centres de dialyse	HDC vs DPA vs DPCA.	<u>Coûts</u> : directs (personnels, séances de dialyse et consommables, maintenance et amortissement des machines, pharmacie). Non-prise en compte des coûts d'hospitalisations.  <u>Principales sources</u> : Données	<u>Unité de mesure</u> : Coûts annuels par patient en £ <sub>1996</sub> .  <u>Résultats</u> : HDH = entre 52 699, 014 et 57 749, 656. HDC = entre 42 148, 999 et 43 420, 996. DPCA = 35 427, 038 DPA = 64 088, 716	<u>Principales limites</u> : - coûts estimés à partir d'un échantillon non renseigné de patients ; - durée d'étude courte : 1 an ; - aucune analyse de sensibilité ; - valorisation des coûts pas très claire ; - sources non suffisamment explicitées ; - pas d'ajustement des caractéristiques de patients ;

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
				institutionnelles et hospitalières.	<u>Principales conclusions :</u> - coûts variables d'un établissement à l'autre ; - répartition des coûts variables en fonction de la technique ; - DPCA moins coûteuse.	- perspective (coût incomplets).
Agar <i>et al.</i> 2005 (18)  Australie	<u>Perspective :</u> Fournisseur de soins.  <u>Durée d'étude :</u> 1 an (2003/2004)	1 hôpital  <u>Population d'étude :</u> 30 patients HDDN et 30 patients SHD.	SHD vs HDDN (6 nuits/8h).	<u>Coûts :</u> directs (séances de dialyse, consommables, pharmacie, biologie, personnel, matériel, frais généraux). Non-prise en compte des frais de transport.  <u>Principales sources :</u> données d'observation sur la cohorte.	<u>Unité de mesure :</u> coûts annuel/patient en \$ <sub>2003-2004</sub> australiens.  <u>Résultats :</u> HDDN : 32 392 \$ ; SHD : 36 284 \$. 30 patients HDDN permettent d'économiser 116 750 \$ par an.  <u>Principale conclusion :</u> - HDDN < SHD en termes de coût.	<u>Principales limites :</u> - possibles biais dans le choix du rapport patient/infirmière ; - durée d'étude ; - taille de l'échantillon ; - caractéristiques des patients peu renseignées ; - difficulté de transposition des résultats (1 hôpital) ; - pas d'ajustement ; - aucune analyse de sensibilité ; - limites de l'étude non suffisamment explicitées.
Olsen <i>et al.</i> 2010 (19)	<u>Perspective :</u> système de santé.	<u>Population d'étude :</u> Cohorte de patients	HDC vs toutes autres modalités de dialyse (HDD,	<u>Coûts :</u> directs (entraînements, démarrage,	<u>Unité de mesure :</u> € <sub>2009</sub> .	<u>Analyses de sensibilité :</u> - répartition des patients par technique (économies

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Danemark	<p><u>Méthode</u> : Modèle de Markov ; Cycle : 1 an, Durée : 10 ans.</p>	<p>incluant tous les patients dialysés au Danemark.</p> <p>Augmentation de la prévalence prise en compte.</p>	<p>autodialyse, DPCA, DPA).</p> <p><u>Scénario de base</u> : 70 % HDC vs 30 % autres modalité de dialyse.</p> <p><u>Scénario 1</u> : 55 % HDC vs 45 % autres.</p> <p>États : décès et transplantés pris en compte.</p>	<p>équipements, biologie, consommables, personnel, séances de dialyse, hospitalisations liées aux complications et comorbidités).</p> <p><u>Principales sources</u> : registre national (rapport 2004), données nationales et des centres de dialyses en complément.</p> <p>Taux d'actualisation : 3 %.</p>	<p><u>Résultats</u> : Économies réalisées avec le scénario 1 : 9,6 millions d'euros.</p> <p><u>Principale conclusion</u> : Augmenter la part des patients en DP et HD hors centre permet de baisser le coût de la prise en charge en IRCT, mais la baisse de coût restait faible : 0,6 % du coût global de la prise en charge.</p>	<p>réalisées diminuaient avec l'augmentation du % de patients en centre) ;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- inclusion des coûts du capital (économies réalisées augmentaient jusqu'à plus de 59 millions) ;</li> <li>- exclusion des coûts liés aux comorbidités et aux complications (économies augmentaient jusqu'à 24,7 millions).</li> </ul> <p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- pas de présentation du coût par patient et par état de santé ;</li> <li>- pas d'analyse de sensibilité sur l'ensemble des paramètres incertains ;</li> <li>- non-prise en compte du reste à charge pour les patients ;</li> <li>- pas de distinction entre complications et comorbidités.</li> </ul>
Cleemput et De Laet, 2013 (20)  Belgique	<p><u>Perspective</u> : hôpital.</p> <p><u>Durée d'étude</u> : 1 an.</p>	<p><u>Population d'étude</u> : Recueil d'information sur 8 hôpitaux ; nombre de patients et caractéristiques non précisé.</p> <p>Cohorte de</p>	<p>HDC vs SHD vs DP.</p>	<p><u>Coûts</u> : directs (ressources humaines, consommables, frais généraux, contrat de maintenance, équipement médical).</p> <p>→ distinction coûts</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût moyen par patient et par an en €<sub>2006</sub>.</p> <p><u>Résultats</u> : HD : 48 819 ; SHD : 38 296 ; DP : 44 202.</p>	<p><u>Analyse de sensibilité</u> : - pas d'analyses de sensibilité.</p> <p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- population sur laquelle se fonde l'analyse non suffisamment décrite ;</li> <li>- seuls 8 sur 53 hôpitaux ont accepté de participer ;</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
		100 patients simulée pour tester la variation de la répartition entre les modalités de traitement sur le refinancement des hôpitaux.		fixes, coûts semi-fixe et coûts variables.  <u>Principales sources</u> : Sondage dans 8 hôpitaux avec méthode <i>botton-up</i> (mesure), registre et données institutionnelles (valorisation).	<u>Principales conclusions</u> : Avec le programme de financement actuel, l'hôpital maximise son profit si 28 % des patients sont traités par les techniques de dialyse moins coûteuses. Les incitations financières pour favoriser l'utilisation des techniques les moins coûteuses a eu un impact modéré raison des possibilités de profit avec l'HDC.	<ul style="list-style-type: none"> <li>- pas d'ajustement sur les caractéristiques de patients ;</li> <li>- coûts estimés à partir de données rétrospectives ;</li> <li>- pas d'analyse de sensibilité ;</li> <li>- durée d'analyse courte ;</li> <li>- non-prise en compte des changements de modalité et des coûts de transition pour l'hôpital ;</li> <li>- coûts pour les autres parties prenantes non précisés (transport ?).</li> </ul>
Komenda <i>et al.</i> 2012 (21) Canada Australie Royaume-Uni	<u>Perspective</u> : financeur autre que les patients.  <u>Durée d'étude</u> : non précisé	<u>Population d'étude</u> : non détaillée par pays.	HDDcv vs HDDq vs HDC.	<u>Coûts</u> : directs (entraînements, biologie, matériels, préparation du domicile, consommables, transports, coûts reliés à la dialyse, hospitalisations, équipements).  <u>Principale source</u> : littérature.	<u>Unité de mesure</u> : coût moyen par patient et par an en \$ <sub>2010</sub> US. Inflation prise en compte.  <u>Résultats</u> : Année 1 : Royaume-Uni = HDC (45 374 \$) < HDDcv (46 128 \$) < HDDq (57 898 \$) ;	<u>Analyse de sensibilité</u> : variation des différents postes de coûts (+ et - 25 %). Les principaux coûts (personnel et prestations de soins de dialyse) ont un impact important sur les conclusions.  <u>Principales limites</u> : <ul style="list-style-type: none"> <li>- durée d'étude non précisée ;</li> <li>- population prise en compte non suffisamment décrite ;</li> <li>- méthode utilisée pour</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Coûts pris en compte et principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
					<p>Australie = HDDcv (49 174 \$) &lt; HDC (52 614 \$) &lt;HDDq (57 527 \$) ;</p> <p>Canada = HDDcv (42 462 \$) &lt; HDC (44 801 \$) &lt; HDDq (51 453 \$).</p> <p>Années suivantes :</p> <p>Royaume-Uni = HDDcv (37 762 \$) ; HDC (45 034 \$) ; &lt; HDDq (49 442 \$).</p> <p>Australie = HDD cv (40 225 \$) &lt; HDDq 48 578 \$ &lt; HDC (52 274 \$).</p> <p>Canada = HDD cv (32 398 \$) &lt; HDDq (41 389 \$ &lt; HDC (44 461 \$).</p> <p><u>Principales conclusions :</u></p> <p>HDDq pourrait permettre des bénéfices cliniques pour un coût supplémentaire raisonnable.</p>	<p>combiner et extrapoler les coûts issus de différentes études non suffisamment explicitée ;</p> <p>- perspective ne permet pas de prendre en compte l'ensemble des coûts (ex : reste à charge des patients).</p>

Tableau 2. Tableau de synthèse de l'analyse critique des études de coût résultat

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Cogy Van Weydevelt <i>et al.</i> 1999 (22)  France	<u>Évaluation économique</u> : coût-efficacité  <u>Critère d'efficacité</u> : taux de complication et qualité de vie subjective.  <u>Horizon temporel</u> : 2 ans.  Perspective non précisée.	<u>Population</u> : 29 patients par intervention.  Ajustements réalisés en fonction des principales caractéristiques des patients (âge, sexe, comorbidités cardio-vasculaires).	DPCA vs HD autonome.	<u>Coûts directs</u> liés à l'IRCT, aux complications et aux comorbidités (séances de dialyse, personnels, coûts d'hospitalisation, biologie, laboratoire, pharmacie et transports).  <u>Principale source</u> : archives des services financiers des hôpitaux et données médicales des registres.  Qualité de vie. Questionnaire de 6 dimensions et de 27 items.  Morbidité : données observées.	<u>Unité de mesure</u> : coût annuel moyen par patient en \$ <sub>1995</sub> US.  <u>Résultats</u> : - pas de différence discriminante entre les deux techniques en termes de morbidité et de qualité de vie ; - coût inférieur en DPCA (34 452 \$ US +/- 23 548 \$) par rapport à celui de HDC (39 089 \$ US +/- 29 817 \$).  <u>Principale conclusion</u> : DPCA coût-efficace par rapport à HD autonome.	<u>Principales limites</u> : - taille de l'échantillon ; - absence de justification du choix de la population d'analyse ; - perspective non décrite ; - pas d'analyse de sensibilité. - manque de précisions concernant : les caractéristiques des patients, le nombre d'hôpitaux pris en considération, les critères définis pour identifier les complications et la méthode utilisée pour estimer les différents postes de coûts.
Mowatt <i>et al.</i> 2003 (23)	<u>Évaluation économique</u> :	<u>Population</u> : Cohorte typique de patients incidents	HDC vs SHD vs HDD.	<u>Coûts directs</u> (accès,	<u>Unité de mesure</u> : coût/QALY en £ <sub>2002</sub> .	<u>Analyse de sensibilité</u> : - variations de paramètres (coûts de HDD, personnel

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
Royaume-Uni	<p>coût-utilité. Critère d'utilité : QALY.</p> <p><u>Modélisation</u> : modèle de Markov.</p> <p><u>Horizon du modèle</u> : 5 ans et 10 ans.</p> <p><u>Perspective</u> : financeur de soins – NHS.</p>	<p>en IRCT.</p> <p>3 groupes de patients distingués en fonction de l'âge et la présence de comorbidités.</p>	<p>Comparaison des différentes modalités de prise en charge de l'hémodialyse en fonction du lieu et de la fréquence :</p> <p>- HDH vs SHD vs HDD ;</p> <p>- fréquence HD : 3 fois par semaine vs quotidienne.</p>	<p>personnel, entraînements, complications, consommables, aménagements, équipements, pharmacie, séances de dialyse et biologie).</p> <p><u>Sources</u> : données institutionnelles et littérature</p> <p><u>Scores d'utilité</u> : hémodialyse en centre : 0,66 ; hémodialyse en unité satellite et à domicile : 0,81.</p> <p><u>Source</u> : de Wit <i>et al.</i> 1998 (24).</p> <p>Une revue de la littérature a été conduite par les auteurs.</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 1,5 % QALY et 6 % coûts.</p>	<p><u>Résultats</u> :</p> <p>1) HDD vs SHD : 2,215 £/QALY à 5 ans et 3,914 £ /QALY à 10 ans.</p> <p>2) HDD vs HDC : dominante.</p> <p>3) HDDQ/HDDN vs SHD : 32,753 £/ QALY à 5 ans puis 28,669 £/QALY à 10 ans.</p> <p>4) HDDQ/HDDN vs HDC : 8,307 £/QALY à 5 ans et 8,585 £/QALY à 10 ans.</p> <p><u>Population à risque faible</u> :</p> <p>HDD = dominante ; HDDQ = stratégie efficiente ; coût additionnel par QALY de 30 000 £ vs SHD et de 8 500 £ vs HDC.</p> <p><u>Population à risque moyen et élevé</u> :</p> <p>Pour les diabétiques de plus de 65 ans, HDD vs HDC dominante à partir de 2 ans ou 3 ans ; HDD vs SHD dominante à partir de la 4<sup>e</sup> année.</p> <p>Pour les patients âgés non diabétiques, HDD représentait un coût par</p>	<p>de SHD, résultats de santé) ;</p> <p>- élargissement de la perspective (intégration des coûts de transport et d'indemnisation de la prise en charge en HDD) : impact important.</p> <p><u>Principales limites</u> :</p> <p>- probabilité de changer de modalité non déterminée ;</p> <p>- population éligible pour HDD non estimée ;</p> <p>- coûts d'aménagement du domicile en vue d'une HDD et ceux induits par la Tx non pris en considération ;</p> <p>- durée du cycle non explicitement mentionnée ;</p> <p>- résultats de la comparaison HDD/SHD fortement liés au niveau de qualité de vie retenue pour HDD (manque de preuves).</p>



Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
					<p>QALY de 14 279£ vs SHD et de 6 978£ vs HDC.</p> <p><u>Principale conclusion :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- HDD et HDDQ efficaces ;</li> <li>- Coût par QALY plus important comparé à SHD qu'à HDC.</li> </ul>	
<p>Gonzalez-Perez et Vale 2005 (25)</p> <p>Royaume-Uni</p>	<p><u>Évaluation économique :</u> coût-utilité Critère : QALY.</p> <p><u>Modélisation :</u> modèle de Markov.</p> <p><u>Horizon temporel :</u> 5 ans et 10 ans.</p> <p><u>Perspective :</u> financier de soins (public non mentionnée explicitement) ?</p>	<p><u>Population :</u> Cohorte typique de patients incidents en IRCT.</p>	<p>HDC vs SHD vs HDD.</p>	<p><u>Coûts</u> <u>directs :</u> accès ; personnel, entraînement, complications, consommables, aménagements, équipements, pharmacie, dialyse et biologie.</p> <p><u>Sources :</u> données institutionnelles, enquêtes et littérature.</p> <p><u>Scores d'utilités :</u> HDC : 0,66 ; SHD et HDD : 0,81.</p> <p><u>Source :</u> de Wit <i>et al.</i></p>	<p><u>Unité de mesure :</u> coût/QALY en £<sub>2001</sub>.</p> <p><u>Résultats :</u></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) HDD vs SHD : 6,665 £<sub>1</sub> QALY à 5 ans ; 3,493 £/QALY à 10 ans.</li> <li>2) HDD vs HDC : HDD domine à 5 et 10 ans.</li> <li>3) SHD vs HDC : SHD domine HDC.</li> </ol> <p><u>Principales conclusions :</u> HDD et SHD = stratégies dominantes à 5 et 10 ans par rapport à HDC. HDD modalité efficace dans la durée (coût de l'aménagement du domicile) → plus adaptée</p>	<p><u>Analyse de sensibilité sur :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- fréquence des séances ;</li> <li>- coûts de HDD et SHD ;</li> <li>- taux de décès.</li> </ul> <p><u>Résultats :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- HDD vs HDC : dominante.</li> <li>- HDD vs SHD : dominante dans 3/6 scénarios ; coût/QALY variant de 1 661 £ à 41 764 £ dans les 3 autres.</li> <li>- HDDQ vs SHD : 30,188 £/QALY à 5 ans et 22,515 £/QALY à 10 ans.</li> <li>- HDDQ vs HDC : 7,586 £/QALY à 5 ans, 6,696 £/QALY à 10 ans.</li> </ul>



Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
				<p>1998 (24).</p> <p><u>Hypothèse</u> : SHD et HDD équivalentes en termes d'utilité.</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 6 % pour les coûts set 1,5 % pour les résultats.</p>	<p>à une population de patients jeunes.</p> <p>Résultats à interpréter avec précaution en raison du manque de robustesse des données.</p> <p>Résultats en faveur d'une politique visant à développer HDD et SHD.</p>	<p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- perspective non mentionnée ;</li> <li>- durée du cycle non définie ;</li> <li>- manque de robustesse des données d'efficacité ;</li> <li>- population éligible pour HDD non estimée ;</li> <li>- coûts d'aménagement du domicile en vue d'une HDD et ceux induits par le Tx non pris en considération ;</li> <li>- les différences avec l'étude de Mowatt <i>et al.</i> (2003) (23) auraient dû être discutées.</li> </ul>
<p>Kirby et Vale 2001 (26)</p> <p>Royaume-Uni</p>	<p><u>Évaluation économique</u> : coût-efficacité.</p> <p><u>Critère</u> : durée de vie.</p> <p><u>Modélisation</u> : modèle de Markov.</p>	<p><u>Population</u> : Cohorte typique de patients en IRCT.</p>	<p>HD vs DPCA</p>	<p><u>Coûts directs</u> : (personnels, complications et chirurgie mentionnés).</p> <p><u>Sources</u> : données institutionnelles.</p> <p><u>Probabilités de transition et</u></p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût/année de vie gagnée £<sub>1999</sub> UK</p> <p><u>Résultats</u> :</p> <p>Dans 8 des 16 scénarios HD dominait DPCA.</p> <p>Dans les 8 autres, le coût/année de vie gagnée variait de 5 000 £ à 51 000 £.</p>	<p><u>Analyse de sensibilité</u> :</p> <p>16 scénarios</p> <p>3 taux d'actualisation. (cf. <i>Présentation résultats</i>).</p> <p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- pas de présentation d'un scénario de référence parmi les 16 ;</li> <li>- manque de robustesse des données d'efficacité ;</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p><u>Horizon temporel</u> : non explicitement mentionné. Cycle d'un mois.</p> <p><u>Perspective</u> : NHS (non mentionnée explicitement) ?</p>			<p><u>efficacité</u> : littérature (études comparatives et observationnelles qui suivaient les patients pendant des durées différentes).</p> <p><u>Hypothèse</u> : changements de modalité induits par des complications liées à la technique.</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 0 % puis 6 % puis 10 % pour les coûts et les résultats.</p>	<p><u>Principale conclusion</u> : Commencer par HD était plus efficace que par DPCA.</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- méthode utilisée pour intégrer les données au modèle non explicitée ;</li> <li>- horizon temporel et perspective non explicitement mentionnés ;</li> <li>- hypothèse forte sur la raison d'un changement de modalité de prise en charge ;</li> <li>- manque de précision dans la description des coûts pris en compte, leur valorisation et la présentation des coûts par état de santé.</li> </ul>
<p>Kroeker <i>et al.</i> 2003 (27)</p> <p>Canada</p>	<p><u>Évaluation économique</u> : coût-utilité. Critère d'utilité : QALY.</p> <p><u>Horizon temporel</u> : 18 mois.</p> <p><u>Perspective</u> : Système de santé public.</p>	<p><u>Population</u> : HDQ = 10 ; HDC = 22 ; HDDN = 12. Patients sélectionnés dans 1 établissement.</p>	<p>HDDQ vs HDDN vs HDC.</p>	<p><u>Coûts</u> directs (pharmacie, visites en urgence, personnels, biologie, matériel).</p> <p><u>Principales sources</u> : pas suffisamment explicitées.</p> <p>Utilités : Estimées à partir du score HUI.</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : Coût par QALY en \$<sub>2001</sub> canadiens.</p> <p><u>Résultats</u> : Coût HDQ = 67 300 \$ ; HDDN = 74 000 \$ ; HDC = 72 700 \$. QALY : HDDQ : initial 0,80 ; annuel : 0,84. HDDN : initial 0,69 ;</p>	<p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- taille de la population d'analyse ;</li> <li>- pas d'ajustement et manque de précisions sur les caractéristiques des patients ;</li> <li>- sources et méthodes utilisées pour estimer et valoriser les coûts non suffisamment décrites ;</li> <li>- coûts de transition et de transports non pris en compte ;</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
					<p>annuel : 0,70.                      HDC : initial 0,80 ;                      annuel : 0,71.                      Coût par QALY :                      HDQ = 85 442 \$ ;                      HDDN = 120 903 \$ ;                      HDC = 116 800 \$.</p> <p>Coût marginal de la mise en traitement par QALY :                      HDQ = - 15 090                      HDDN = - 21 651                      HDC = 20 053</p> <p><u>Principale conclusion :</u>                      Le score marginal coût-utilité était en faveur du développement de l'hémodialyse quotidienne.</p>	<p>- manque de justifications concernant la sensibilité du test HUI pour faire ressortir des variations d'utilité dans le temps (à 1 mois) et entre les modalités de traitement ;</p> <p>- pas d'analyse de sensibilité ;                      - présentation des conclusions concernant les comparaisons entre les modalités de prise en charge non suffisamment explicitées.</p>
<p>McFarlane <i>et al.</i> (28)  Canada</p>	<p><u>Évaluation économique :</u>                      coût-utilité.                      Critère : QALY.</p> <p><u>Horizon temporel :</u>                      1<sup>er</sup> janvier 2000 – 1<sup>er</sup> mars 2001.</p>	<p><u>Population :</u>                      HDC = 19 ;                      HDDN = 24.                      Patients prévalents (depuis plus de trois mois dans la modalité), sans contre-indication à HDDN et sélectionnés dans</p>	<p>HDDN vs HDC.</p>	<p><u>Coûts :</u>                      résultats de l'étude de McFarlane <i>et al.</i> 2002 (7) (cf. tableau 1 page 14.)</p> <p><u>Score d'utilité :</u>                      Standard Gamble.                      Questionnaire proposé aux patients.</p>	<p><u>Unité de mesure :</u> coût par QALY en \$<sub>2000</sub> canadien.</p> <p><u>Résultats :</u>                      Scores d'utilité :                      HDDN = 0,77 +/- 0,23                      HDC = 0,53 +/- 0,35                      p = 0,03                      coût/QALY</p>	<p><u>Analyse de sensibilité :</u>                      - intervalles de confiance à 5 %, à 50 % et à 95 % ;                      - 2 500 itérations Bootstrap ;                      HDDN toujours efficiente, seuil retenu 50 000 \$/QALY.</p> <p><u>Principales limites :</u>                      - taille de la population ;</p>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p><u>Perspective</u> : non précisée.</p>	<p>un établissement proposant HDDN et un autre établissement pour HDC.</p> <p>Groupes HDDN et HDC homogènes à l'exception du statut marital.</p> <p>70 % des patients HDC étaient autonomes.</p>			<p>HDDN = 71 443 \$ HDC = 125 845 \$</p> <p>Le bénéfice net monétaire (NMB = <math>\lambda \Delta E - \Delta C</math>) variait de 11 227\$ (<math>\lambda=0</math>) à 35 669\$ (<math>\lambda=100\ 000</math>) (<math>p=0,01</math>).</p> <p><u>Principale conclusion</u> : HDDN : stratégie dominante.</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- généralisation limitée ;</li> <li>- possible biais de sélection ;</li> <li>- description des états de santé pas explicité ;</li> <li>- valorisation des états de santé non réalisée en population générale ;</li> <li>- horizon temporel ;</li> <li>- changement de HDC vers HDDN non pris en considération ;</li> <li>- présentation des résultats non-conforme (ICER négatifs). (cf. analyse critique des données de coûts) (7).</li> </ul>
<p>McFarlane <i>et al.</i> (29)  Canada</p>	<p><u>Évaluation économique</u> : coût-utilité. Critère : QALY.</p> <p><u>Modélisation</u> : modèle de Markov</p> <p><u>Horizon temporel</u> : durée de vie.</p>	<p><u>Population</u> : Cohorte fictive de patients éligibles pour HDDN.</p>	<p>HDC vs HDDN</p> <p><u>Scénarios</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- 1) HDC vs commencer HDC, puis être transféré vers HDDN avec possibilité de transfert vers transplantation.</li> <li>- 1') sans transplantation</li> <li>- 2) HDC vs HDDN (modalité</li> </ul>	<p>Coûts, résultats de santé et probabilités de transitions fondés sur les données de la littérature, (notamment (28, 30), les registres et l'avis de l'équipe.</p> <p><u>Hypothèses</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Mortalité identique en HDC et HDDN.</li> <li>- 1 patient sur 2 éligible à la Tx et 1/3 de ces patients avec</li> </ul>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût par QALY en \$<sub>2003</sub> canadien.</p> <p><u>Résultats</u> :</p> <p>1) HDC : 543 602 \$ ; 5,31QALYs HDC puis HDDN : 538 094 \$ ; 5,79 QALYs. 1') HDC : 370 047 \$ ; 2,78 QALYs. HDDN : 363 206 \$ ; 3,25 QALYs.</p>	<p><u>Analyse de sensibilité</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- HDDN efficient sauf si la transplantation ou le décès intervenait à moins de 108 semaines après le passage en HDDN ;</li> <li>- pas de sensibilité aux résultats posttransplantation ;</li> <li>- simulation Monte Carlo : HDDN = stratégie dominante dans 75,9 % des itérations et efficiente dans 99,7 % (<math>\leq</math> à 50 000 \$/QALY).</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<u>Perspective</u> : financeur de soins.		initiale) avec possibilité de transfert vers transplantation. - 2') sans transplantation.	donneur vivant. - Les transferts : 0,75 ans pour une Tx à partir de donneur vivant ; 5 ans avec donneur décédé et vers HDDN.  <u>Taux d'actualisation</u> : 3 % par an pour les coûts et les résultats.	2) HDC : 543 602\$ ; 5,31 QALYs HDDN : 534 484 \$ ; 6,3 QALYs.  2') HDC : 730 590 \$ ; 5,48 QALYs. HDDN : 692 658 \$ ; 7,22 QALYs.  <u>Principale conclusion</u> : Introduire HDDN était une stratégie dominante dans tous les scénarios.	<u>Principales limites</u> : - biais de sélection possibles et non discutés ; - proportion de patients éligibles à HDDN parmi les patients en IRCT non déterminée ; - méthode d'extrapolation des données non suffisamment explicitée ; - cf. analyses critiques de l'étude de coût et coût utilité des principales sources utilisées (29),(30) ; - perspective mentionnée dans l'étude 2002 : fournisseur de soins ; méthode pour adapter non explicitée.
Whiting <i>et al.</i> 2004 (31)  Canada	<u>Évaluation économique</u> : coût-utilité. Critère : QALY.  <u>Modélisation</u> : modèle de Markov.	Population d'étude non spécifiée.	Dialyse vs transplantation à partir de donneur décédé.	<u>Coûts</u> : <u>directs</u> : (accès et maintien en dialyse ; coûts de prélèvement ; de suivi de transplantation et de la perte de greffon). <u>Sources</u> : données institutionnelles et littérature	<u>Unité de mesure</u> : coût total en \$ <sub>1994</sub> canadiens et gain en QALY sur 20 ans.  <u>Résultats</u> : Dialyse : 401 810 \$ ; 4,67 QALYs. Tx : 297 401 \$ ; 6,66 QALYs.	<u>Analyses de sensibilité</u> : Variation de 1 à 15 donneurs pmh et du temps d'attente de 2 à 15 ans.  <u>Principales limites</u> : - analyse de sensibilité sur un seul paramètre ;

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p><u>Horizon temporel</u> : 20 ans Cycle 1 an</p> <p><u>Perspective</u> : financeur de soins - système de santé canadien.</p>			<p><u>Score d'utilité</u> : Tx : 0,70 ; dialyse : 0,57.</p> <p><u>Source</u> : littérature (Laupacis <i>et al.</i> 1996).</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 5 % par an coûts et résultats.</p> <p>Correction d'un demi-cycle.</p>	<p>Tx = gain de 1,99 QALYs et une économie de 14 438 \$ par personne additionnelle transplantée.</p> <p><u>Principale conclusion</u> : Des programmes permettant d'augmenter les transplantations devraient être mis en œuvre.</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- population non caractérisée ;</li> <li>- technique et/ou modalité de dialyse considérée non précisée ;</li> <li>- présentation des résultats non conforme.</li> </ul>
<p>Kontodimopoulos et Niakas, 2008 (32)</p> <p>Grèce</p>	<p><u>Évaluation économique</u> : Coût/QALY.</p> <p><u>Critère</u> : QALY.</p> <p><u>Horizon temporel</u> : durée de vie.</p> <p><u>Perspective</u> : financeur de soins (système de santé public).</p>	<p><u>Population</u> : HD = 642 patients ; DP = 65 patients ; Tx = 167 patients.</p> <p>Seuls les patients traités depuis plus d'un an ont été pris en considération.</p> <p>Étude multicentrique HD : 32 structures de prise en charge ; DP : 7 structures ; Tx : 4 hôpitaux.</p>	<p>HD vs DP vs transplantation.</p>	<p><u>Coûts directs</u> (pour HD et DP : équipement, infrastructure, pharmacie, consommables, personnel, frais généraux ; pour Tx : coûts préopératoire, opératoire et de suivis).</p> <p><u>Sources</u> : coût moyen réalisé sur 3 structures publiques et 2 privées pour HD ; de deux structures publiques pour DP et recueil de données</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût/QALY en €<sub>2003</sub>.</p> <p><u>Score moyen QALYs</u> : HD : 0,64 (SD 0,152 ; [CI 95 % 0,629-0,651]) ; DP : 0,60 (SD 0,158 ; [CI 95 % 0,558-0,640]) ; Tx : 0,72 (SD 0,114 ; [CI 95 % 0,697-0,735]).</p> <p><u>Coûts annuels</u> : HD = 36 247 € DP = 30 719 € Tx = 31 714 € 1<sup>re</sup> année ; 43 275 € sur 3 ans (non actualisé) et 151 274 €</p>	<p><u>Analyse de sensibilité</u> : Variation du taux d'actualisation de 3 à 10 % pour les coûts et de 0 à 5 % pour les résultats.</p> <p><u>Principales limites</u> : - certains coûts non pris en considération (notamment coût de transport, d'organisation de la transplantation, lié au rejet de greffon) ; - information concernant l'état de santé du patient antérieur non recueilli ; - données d'efficacité non robustes – biais de sélection non exclus ;</p>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
				institutionnelles.  <u>Score d'utilité</u> : SF36 transformé avec la fonction SFD6 <u>Sources</u> : littérature pour estimation des QALYs sur la durée de vie.  <u>Hypothèse</u> : DP et HD taux de survie équivalents.  <u>Taux d'actualisation</u> : coûts et résultats 5 %	sur la durée de vie.  <u>Coût/QALY</u> : HD = 60 353 € [CI95 % 51 980-61 726]. DP = 54 504 € [CI 95 % 50 432-58 575]. Tx 1 <sup>re</sup> année = 45 523 € [CI95 % 44 211-46 834].  <u>Principale conclusion</u> : Développer la transplantation : stratégie la plus efficiente par rapport à la dialyse. Développer la DP, meilleur second choix après la transplantation, par rapport à HD.	<ul style="list-style-type: none"> <li>- complications liées à la technique non intégrées dans le calcul du score d'utilité ;</li> <li>- méthode d'extrapolation des QALYs sur la durée de vie pas suffisamment détaillée ;</li> <li>- méthode de calcul des coûts non suffisamment détaillée ;</li> <li>- pas d'analyse de sensibilité.</li> </ul>
Salonen <i>et al.</i> 2007 (33)  Finlande	<u>Évaluation économique</u> : coût-efficacité. Critère : mortalité.  <u>Horizon temporel</u> : 3 ans.	<u>Population</u> : Patients incidents sélectionnés entre 1991 et 1996.  214 patients : HD = 138 ; DPCA = 76. 68 paires DPCA/HDC avec	HDC vs DPCA.  <u>Résultats observés en fonction de</u> : S1- Intention de traitement S2- Décès : (complications liées à la technique	<u>Coûts directs</u> : pour HD et DP, principale source : Salonen <i>et al.</i> 2003 (5) (cf. tableau 1 p 12) ; inclus coût de la transplantation et des immunosuppresseurs.  <u>Durée de vie et</u>	<u>Unité de mesure</u> : coût/année de vie gagnée en \$ <sub>1997</sub> .  <u>Résultats</u> : Sur 3 ans, DPCA dominait dans 3 stratégies sur 4 (toutes sauf quand les complications étaient identifiées au décès –	<u>Analyse de sensibilité</u> : Sur les coûts voir Salonen <i>et al.</i> 2003 (5).  <u>Principales limites</u> : - étude observationnelle ; - un seul établissement de santé ; - horizon temporel différent de la durée de



Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p><u>Perspective :</u> Fournisseur de soins</p>	<p>âge et comorbidités similaires.</p> <p>Patients ajustés en fonction de leurs caractéristiques.</p>	<p>considérées comme « décès »).</p> <p>S3- Temps passé en dialyse : transplantation et décès pris en compte.</p> <p>S4- Temps passé dans la première technique sélectionnée (changement de modalité pris en compte).</p>	<p><u>changements :</u> Données observées sur les patients suivis (23 mois de suivis moyen pour les patients en HD et 28 mois pour ceux en DPCA).</p> <p><u>Hypothèse :</u> transplantations réalisées à partir de greffons prélevés sur donneurs décédés.</p>	<p>Ratio cumulé sur 3 ans : 444 041).</p> <p>Résultats non modifiés de manière discriminante lorsque l'évaluation portait sur la population des patients en IRCT non ajustés.</p> <p><u>Principale conclusion :</u> DPCA était coût-efficace par rapport à HD, mais les résultats devaient être interprétés avec précautions.</p>	<p>vie des patients ;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- biais de sélection non exclus ;</li> <li>- généralisation des résultats très faible.</li> </ul>
<p>Sennfalt <i>et al.</i> 2002 (34) Suède</p>	<p><u>Évaluation économique :</u> Modèles de décision. Coût-efficacité et coût-utilité.</p> <p>Critère. Durée de vie et QALY.</p>	<p><u>Population :</u> - 136 patients éligibles pour une HD ou une DP traités durant la période 1990-1993 (68 paires de patients ajustés en fonction de leurs caractéristiques)</p>	<p>HD vs DP</p>	<p><u>Coûts directs :</u> (frais généraux, dialyse, pharmacie, transports, consommables, personnel, radiologie), et indirects (temps des patients et de leurs proches aidants).</p> <p><u>Sources :</u> données</p>	<p><u>Unité de mesure :</u> coût/ année de vie gagnée et coût/QALY en \$<sub>1998</sub>.</p> <p><u>Résultats :</u> Utilité : Tx = 0,86. DP = 0,65 si infection = 0,63. HD= 0,44 si infection =</p>	<p><u>Analyse de sensibilité univariée :</u></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- coûts des hospitalisations et soins externes pour HD (coût/QALY de HD variait de 90 760 à 100 070 \$/QALY) ;</li> <li>- sur le taux de transplantation, pas de modification des résultats.</li> </ul>



Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p><u>Horizon temporel</u> : 5 ans, cycles de 6 mois.</p> <p><u>Perspective</u> : sociétale.</p>	<p>- 81 patients qui ont reçu un greffon en février 1999.</p> <p>Étude multicentres.</p> <p><u>Critère de sélection</u> : Patients incidents sans aucune contre-indication connue pour l'une ou l'autre des techniques de traitement (HD et DP).</p>		<p>institutionnelles.</p> <p><u>Probabilités de transition et efficacité</u> : Etude rétrospective sur 386 patients.</p> <p><u>Scores d'utilité</u> : EQ 5D. (438 patients puis des groupes de 27 patients ajustés : HD-PD-Transplantation).</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 3 % pour les coûts et les résultats</p>	<p>0,42.</p> <p>Coût efficacité :</p> <p>- sans coûts indirects : DP = 35 120\$/année de vie HD = 36 780\$/année de vie DP = 50 830\$/QALY HD = 57 540\$/QALY</p> <p>- avec coûts indirects : DP= 56 960 \$/année de vie HD= 62 990\$/année de vie DP = 82 470\$QALY HD= 98 530\$/QALY</p> <p><u>Principale conclusion</u> : Le coût par année de vie et par QALY était plus favorable à la DP comme première modalité de traitement pour les patients éligibles à la DP et à l'HD.</p>	<p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- horizon temporel différent de la durée de vie ;</li> <li>- quantités de ressources pas reportées séparément de leur coût unitaire ;</li> <li>- données d'efficacité : biais de sélection possibles;</li> <li>- généralisation limitée des résultats ;</li> <li>- hypothèses formulées pour estimer les coûts ne semblaient pas être toutes décrites.</li> </ul>
<p>Haller <i>et al.</i> 2011 (35) Autriche</p>	<p><u>Évaluation économique</u> : Coût utilité Critère : QALY.</p>	<p><u>Population</u> : patients incidents adultes entre le 1<sup>er</sup> janvier 2001 et 31 décembre 2008 entrant dans le</p>	<p><u>Stratégies comparées</u> : - S1. situation actuelle (90,6 % des patients incidents en</p>	<p><u>Coûts directs</u> : (séances de dialyse, transports, pharmacie, hospitalisation pour autres événements ;</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût en euros et QALY cumulés sur la période. Unité monétaire non précisée.</p>	<p><u>Analyses de sensibilité univariée</u> : présentation graphique de Tornado : le coût de la DP et probabilité de transition ont l'influence la plus</p>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p><u>Modélisation</u> : Modèle de Markov.</p> <p><u>Horizon temporel</u> : 10 ans. Cycle : 1 mois.</p> <p><u>Perspective</u> : financeur de soins (système de santé publique).</p>	programme autrichien.	<p>HD ; 7,2 en DP ; les transplantations préemptives : 0,1 % avec donneur vivant et 2,1 % avec donneur décédé.</p> <p>- <u>S2</u> : 20 % des patients incidents en DP.</p> <p>- <u>S3</u> : 20 % des patients incidents DP et + 10 % de transplantation préemptive à partir de donneur vivant.</p>	<p>coûts liés au prélèvement, etc.).</p> <p><u>Source</u> : service financier d'un hôpital et Assurance santé.</p> <p><u>Scores d'utilité</u> : Littérature – Wit <i>et al.</i> 1998 et Laupacis, 1996 : 0,66 HDC ; 0,81 DP ; 0,9 Tx.</p> <p><u>Probabilité de transition et survie</u> : registre de dialyse et de transplantation autrichien.</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : coûts et résultats 3 %.</p>	<p><u>Résultats</u> :</p> <p>S1 est dominée par les S2 et S3.</p> <p>S2 représentait sur 10 ans une économie de 26 millions et un gain de 839 QALYs par rapport à S1.</p> <p>S3 représentait sur 10 ans une économie de 38 millions et de 2242 QALYs par rapport à S1.</p> <p><u>Principale conclusion</u> : La DP devrait être encouragée. La transplantation à partir de donneurs vivants et décédés devrait être développée.</p>	<p>importante sur les résultats du modèle.</p> <p>Même dans le pire des scénarios, la stratégie 3 reste dominante.</p> <p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- scores d'utilité calculés à partir de différentes méthodes ;</li> <li>- scores d'utilités utilisés associés à des modalités de prise en charge non représentatives de la technique de traitement; cela introduit un biais en faveur de la DP ;</li> <li>- biais d'indication DP et Tx non pris en compte. Augmenter l'accès pourrait réduire les résultats associés si les caractéristiques des patients sont différentes ;</li> <li>- hypothèse forte sur le coût du prélèvement.</li> </ul>
<p>Wong <i>et al.</i> 2012 (36)</p> <p>Australie/Nouvelle-Zélande</p>	<p><u>Évaluation économique</u> : coût-efficacité</p> <p>Critère : durée de vie.</p>	<p><u>Population</u> : Cohorte de 10 000 candidats à la transplantation stratifiés selon la présence de comorbidités.</p>	<p><u>Stratégies comparées</u> : Inscrits en liste pour une transplantation rénale vs placés en dialyse sans</p>	<p><u>Coûts directs</u> : appendice détaillé non disponible.</p> <p><u>Source</u> : littérature, système d'assurance australien, données institutionnelles.</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût par année de vie gagnée en \$<sub>2008</sub> australien.</p> <p><u>Résultats</u> : L'inscription en liste était</p>	<p><u>Analyses de sensibilités</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- en scénarios : l'âge au moment de l'inscription et la durée d'attente ;</li> <li>- probabilistes.</li> </ul> <p>Ces analyses montraient</p>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p><u>Modélisation</u> : Modèle de Markov.</p> <p><u>Horizon temporel</u> : vie entière.</p> <p><u>Perspective</u> : financeurs de soins (seulement public ?).</p>		<p>être inscrits.</p>	<p><u>Probabilités de transition et efficacité</u> : Registre australien et de Nouvelle-Zélande et littérature.</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 5 % par an pour les coûts et résultats de santé ; correction d'un demi-cycle.</p>	<p>une stratégie dominante pour les personnes de 25 ans sans comorbidités. Pour les autres, le ratio coût-efficacité variait de 11 730 \$ à 40 915 \$ par année de vie gagnée.</p> <p><u>Principales conclusions</u> : Transplanter les personnes jeunes et ayant un bon état de santé permettant de maximiser le gain d'année de vie gagnée et ayant un moindre coût. Mais transplanter des personnes plus âgées et ayant des comorbidités était également coût-efficace et représentait un gain substantiel en termes d'années de vie gagnées.</p>	<p>l'impact de l'âge et des comorbidités sur le ratio coût-efficacité. Les ratios les plus faibles sont pour une personne de 45 ans sans comorbidité ; il augmente avec l'âge et les comorbidités.</p> <p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- probabilités estimées à partir des données se référant aux patients inscrits en liste actuellement ;</li> <li>- pas de prise en compte de la qualité de vie ;</li> <li>- pas d'analyse de sensibilité avec prise en compte de la variabilité des caractéristiques des donneurs ;</li> <li>- pas de prise en compte des donneurs vivants.</li> </ul>
<p>Shimizu <i>et al.</i> 2012 (37)</p> <p>Japon</p>	<p><u>Évaluation économique</u> : coût utilité Critère QALY.</p> <p><u>Modélisation</u> : Modèle de</p>	<p><u>Population</u> : Population japonaise de patients en IRCT.</p>	<p><u>Stratégies comparées</u> : Stratégie actuelle (S0) vs PD *2,3 (S1) vs greffe préemptive *2.4 (S2) vs</p>	<p>Coûts directs <u>Source</u> : données institutionnelles, déclarations des médecins, littérature. <u>Score d'utilité</u> :</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût par QALY \$<sub>2010</sub> US.</p> <p><u>Résultats</u> : S0 : 84 008 \$/QALY ; S1 : 77 689 \$/QALY ; S2 : 76 409 \$/QALY ;</p>	<p><u>Analyses de sensibilités</u> : analyses de sensibilité univariées pour chaque alternative entre des bornes d'amplitudes possibles.</p>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
	<p>Markov.</p> <p><u>Horizon temporel</u> : 15 ans.</p> <p><u>Perspective</u> : non précisée.</p>		<p>transition de dialyse vers Tx avec donneur vivant* 2,4 (S3) vs transition vers Tx avec donneur décédé* 22 (S4).</p>	<p>littérature HUI et standard <i>gamble</i> donneurs décédés, EQ5D HD, DP, receveur d'un don de vivant et prédialyse.</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 3 % par an coûts et résultats de santé.</p>	<p>S3 : 70 581 \$/QALY ; S4 : 76 256 \$/QALY.</p> <p>Les stratégies 2, 3 et 4 sont dominantes. La plus efficiente est la stratégie 3 (augmenter le recours aux donneurs vivants).</p> <p><u>Principales conclusions</u> : Les stratégies 1 et 2 qui augmentent respectivement de 2,4 fois le recours à la transplantation à partir de donneurs vivants et de 22 fois le recours aux donneurs décédés dominant la stratégie actuelle.</p>	<p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- transposabilité des résultats ;</li> <li>- stratégie de référence insuffisamment décrite ;</li> <li>- coûts non suffisamment décrits ;</li> <li>- biais d'indication non pris en compte dans l'interprétation des résultats ;</li> <li>- les utilités des différentes techniques n'ont pas été calculées à partir de la même méthode ;</li> <li>- scores retenus par techniques non mentionnés ;</li> <li>- perspective non précisée ;</li> <li>- estimation des probabilités de transition et leur intégration dans le modèle non suffisamment décrites ;</li> <li>- pas de prise en compte des différentes modalités d'hémodialyse et de dialyse péritonéale.</li> </ul>
<p>Snyder <i>et al.</i> 2013 (38)</p>	<p><u>Évaluation</u></p>	<p><u>Population</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Receveur</li> </ul>	<p><u>Stratégies comparées</u> :</p>	<p><u>Coûts directs et indirects</u> : personnel médical,</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût par QALY en \$<sub>2010</sub> US-</p>	<p><u>Analyses de sensibilités</u> : déterministes faisant variation d'un ou deux</p>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
États-Unis	<p><u>économique</u> : coût-utilité Critère : QALY</p> <p><u>Modélisation</u> : Modèle de Markov.</p> <p><u>Horizon temporel</u> : 10 ans.</p> <p><u>Perspective</u> : sociétale.</p>	<p>hypothétique âgé de 55 ans avec une IRCT liée à une néphro-angio-sclérose.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Donneur hypothétique de 35 ans indice de masse corporelle de 30 et un temps d'ischémie froide de 12 heures.</li> </ul>	<p>Inscrits en liste transplantation rénale avec greffon issu d'un donneur décédé par mort encéphalique vs transplantation rénale avec greffon prélevé sur donneur décédé par mort encéphalique ou d'un arrêt cardiaque (Maastricht III).</p> <p><u>Hypothèse</u> : différence entre greffon de donneur décédé par mort encéphalique ou par arrêt cardiaque = délais de reprise de la fonction rénale et taux de non-fonction primaire du greffon.</p>	<p>hospitalisation, pharmacie et hémodialyses + perte de salaires.</p> <p><u>Sources</u> : revue systématique de la littérature, données institutionnelles (<i>Scientific Registry of transplant recipients</i> ; <i>Bureau of Labor Statistics</i>).</p> <p><u>Probabilités de transition</u> : revue systématique de la littérature, données institutionnelles (<i>Scientific Registry of transplant recipients</i>).</p> <p><u>Utilité</u> : revue de la littérature.</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 3 % par an pour les coûts et résultats de santé.</p>	<p><u>Résultats</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>Liste avec greffons provenant de mort encéphalique : 65 000 \$/QALY.</li> <li>Liste avec greffons provenant de mort encéphalique et d'arrêt cardiaque : 56 000 \$/QALY.</li> </ul> <p><u>Principales conclusions</u> : Cette étude suggère qu'en dépit d'une potentielle reprise plus tardive de la fonction rénale et d'une augmentation du taux de non-fonction primaire du greffon, augmenter le pool de donneurs est une stratégie coût-efficace dans une perspective sociétale.</p>	<p>paramètres simultanément et analyses probabilistes.</p> <p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>coûts non suffisamment décrits et absence de présentation des résultats par postes de coûts ;</li> <li>méthode retenue pour calculer les utilités dans la littérature non précisée ;</li> <li>nombre de simulations réalisées non précisé ;</li> <li>durée des cycles pas claire ;</li> <li>receveurs et donneurs fictifs ne prenant pas en compte l'hétérogénéité ;</li> <li>temps d'ischémie stable et ne prenant pas en compte la technique de préservation des organes ;</li> <li>probabilités et paramètres du modèle estimé à partir des données se référant aux patients inscrits en liste actuellement ;</li> <li>pas d'analyse de sensibilité avec prise en compte de la variabilité</li> </ul>

Auteurs, année, pays	Type d'évaluation, perspective et horizon temporel	Population	Interventions comparées	Estimation des coûts et des résultats de santé ; principales sources	Résultats et conclusions	Analyses de sensibilité et principales limites
						<p>des caractéristiques des donneurs ;</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- revue de la littérature non décrite ;</li> <li>- transposabilité des résultats (Maastricht III non prélevables en France).</li> </ul>
<p>Cortés-Sanabria <i>et al.</i> 2013 (39)</p> <p>Mexique</p>	<p><u>Évaluation économique</u> : coût utilité</p> <p>Critère score de qualité de vie</p> <p><u>Modélisation</u> : Étude observationnelle.</p> <p><u>Horizon temporel</u> : 1 an.</p> <p><u>Perspective</u> : financeur de soins (principal institut de sécurité sociale mexicain IMSS).</p>	<p><u>Population</u> : cohorte de patient adulte qui a commencé une DP entre janvier 2008 et décembre 2009 dans un des deux hôpitaux généraux de Mexico. Au total, 123 patients ont été suivis.</p>	<p><u>Stratégies comparées</u> : DPCA vs DPA.</p>	<p>Coûts directs (visites médicales, pharmacie, urgence médicale, hospitalisation, chirurgie, laboratoire, procédure de dialyse).</p> <p><u>Source</u> : données institutionnelles (IMSS, Bulletins fédéraux officiels).</p> <p><u>Score d'utilité</u> : Auto-questionnaire EQ5D, KDQOL-SF.</p> <p><u>Taux d'actualisation</u> : 3 % par an coûts.</p>	<p><u>Unité de mesure</u> : coût \$<sub>2012 US</sub> et score de qualité de vie.</p> <p><u>Résultats</u> : EQ5D DPCA : 0,51 (0,41-0,61) ; DPA : 0,67 (0,54-0,78).</p> <p>Coûts DPCA : 14 247 \$ (13 218-15 504) ; DPA : 13966 \$ (13 118-14 982).</p> <p><u>Principales conclusions</u> : DPA représente un avantage sur DPCA en termes d'utilité pour des coûts directs équivalents.</p>	<p><u>Analyses de sensibilités</u> : non renseignées.</p> <p><u>Principales limites</u> :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- pas de mise en regard des coûts et des résultats ;</li> <li>- transposabilité des résultats ;</li> <li>- stratégie de référence insuffisamment décrite ;</li> <li>- biais d'indication non pris en compte dans l'interprétation des résultats ;</li> <li>- horizon temporel très court.</li> </ul>

## **Annexe 2. Étude du coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement**



## 1. Méthodologie complémentaire de l'étude de coût

### 1.1 Sélection de la population traitée pour IRCT dans les bases de données du SNIIRAM et du PMSI

Sont détaillées, l'ensemble des étapes ayant permis de sélectionner la population traitée pour IRCT dans les bases de données du SNIIRAM-DCIR traitées pour IRCT ainsi que la population d'analyse.

#### 1.1.1 Origine des données

##### ► Le SNIIRAM-DCIR

Le SNIIRAM<sup>2</sup> (Système d'information inter-régimes de l'Assurance maladie) regroupe l'exhaustivité des données de remboursement de soins effectués en ambulatoire (soins de villes et cliniques privées), des bénéficiaires de tous les régimes d'Assurance maladie obligatoire (régime général, régime social des indépendants [RSI] et régime agricole [CCMSA], y compris les sections locales mutualistes [SLM] et les régimes spéciaux).

Le DCIR (Données de Consommations Inter-Régimes) constitue un des éléments du SNIIRAM. Il regroupe l'ensemble des données de remboursement ambulatoire inter-régimes des bénéficiaires, de façon individuelle et anonymisée. Les données sont disponibles avec un recul de 2 ans plus l'année en cours.

Le SNIIRAM est géré par la CNAMTS (Caisse nationale de l'Assurance maladie des travailleurs salariés).

##### ► Le PMSI

Le PMSI (Programme de Médicalisation des Systèmes d'Information) regroupe l'exhaustivité des séjours hospitaliers pour les établissements sanitaires publics et privés. Le PMSI concerne 4 champs : les soins de courte durée en médecine-chirurgie et obstétrique (MCO), les soins de suite et de réadaptation (SSR), les soins dispensés à domicile (HAD) et les soins de psychiatrie (Psy).

Les données du PMSI-MCO comprennent des données administratives et médicales des séjours ayant donné lieu à un dossier d'admission en hospitalisation.

Le PMSI est géré par l'ATIH (Agence Technique de l'Information sur l'Hospitalisation).

##### ► Chaînage du SNIIRAM-DCIR et PMSI

Il est possible, depuis 2011, d'étudier les parcours des patients en chaînant les données du SNIIRAM-DCIR aux données du PMSI-MCO, avec un recul de 2 ans plus l'année en cours.

Les informations du PMSI et celles SNIIRAM-DCIR se recoupent en ce qui concerne les données de l'hospitalisation privée (à 95 %), ce qui n'est pas le cas pour les données des séjours en hospitalisation publique seulement disponibles dans le PMSI.

Dans le cadre du suivi des patients traités pour IRCT, le chaînage des deux bases de données a posé la question de l'exhaustivité de la remontée des informations par les établissements hospitaliers. En effet, en 2009, les établissements publics remontaient leurs factures de séances de dialyse *via* le PMSI, tandis que les établissements privés ou associations remontaient leurs factures de séances *via* le SNIIRAM-DCIR et, pour certains d'entre eux, également *via* le PMSI. Ainsi, les

---

<sup>2</sup> Le SNIIR-AM, système d'information inter-régimes de l'Assurance maladie, est un système médicalisé d'informations mis en œuvre par la CNAMTS depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2003, en application de l'article L. 161-28-1 du Code de la sécurité sociale. L'entrepôt SNIIR-AM permet de stocker l'exhaustivité des données de remboursements (sur 2 ans plus l'année en cours) pour l'ensemble des régimes obligatoires (régime général dont SLM, MSA, RSI, régimes spéciaux) qui portent sur la médecine de ville et les établissements de santé privés ou médico-sociaux.



séances de dialyse réalisées dans des établissements privés ou associations n'étaient pas toutes renseignées dans le PMSI. Mais elles pouvaient également être renseignées à la fois dans le PMSI et le SNIIRAM-DCIR. La comparaison des données du PMSI à celle du SNIIRAM-DCIR, pour l'activité de dialyse en 2009, a montré qu'environ 10 % des données facturées n'étaient pas renseignées dans le PMSI (données CNAMTS) :

- les établissements n'ayant pas transmis leurs factures via le PMSI représentaient 7 % de l'activité connue dans les données du SNIIRAM (en montant) ;
- pour les établissements ayant fourni à la fois des données via le SNIIRAM et via le PMSI, les données PMSI sous-estimaient l'activité d'environ 3 %.

Dans l'analyse, toutes les séances de dialyse renseignées dans le SNIIRAM-DCIR, et non seulement dans le PMSI, pour les établissements privés et les associations, devaient être prises en compte.

### **1.1.2 Identification des patients en IRCT dans les bases du SNIIRAM-DCIR et du PMSI**

L'objectif était d'identifier, dans les bases du SNIIRAM-DCIR et du PMSI, tous les patients de plus de 18 ans repérés comme étant en traitement de suppléance par dialyse ou transplantation ayant eu au moins une consommation de soins enregistrée entre le 1<sup>er</sup> mars 2009 et le 28 février 2010. Les 3 principaux régimes d'Assurance maladie obligatoire, 2 sections locales mutualistes et 2 régimes spéciaux ont été pris en compte. Aucune extrapolation n'a été conduite afin de considérer les autres régimes.

Le PMSI permet d'identifier les séances de dialyse réalisées dans des établissements publics. Ainsi, les modalités de traitement repérables par les codes GHM dans le PMSI sont : les séances d'hémodialyse en centre et en unité de dialyse médicalisée, les séances d'entraînements à l'hémodialyse, à la DPA et à la DPCA.

Le PMSI permet également d'identifier les séjours hospitaliers pour transplantation rénale, suivi et rejet du greffon sachant, qu'à quelques exceptions près, seuls les établissements publics réalisent des transplantations.

Les autres modalités de traitement réalisées dans des établissements de statut privé ou associatif sont : les séances d'hémodialyse à domicile et en unité d'autodialyse, la DPA et la DPCA. Ces séances, qui peuvent être renseignées dans le PMSI, sont codées en GHM erreur (GHM 90), ce qui empêche leur classement dans une modalité de traitement. Les informations relatives aux forfaits, disponibles dans les données du SNIIRAM-DCIR, permettent d'identifier et de classer ces séances.

### ► Sélection des patients dialysés

Dans le PMSI, les patients traités pour IRCT ont été repérés à partir :

- des codes GHM (ou forfaits) correspondant aux séances de dialyse et d'entraînement, aux séjours d'insuffisance rénale avec dialyse ;
- la liste des GHM/forfaits pour repérer les patients dialysés dans le PMSI.

**Tableau 3. Liste des GHM / forfaits pour repérer les patients dialysés dans le PMSI**

Code GHM / forfait	Libellé
28Z04Z, D09, D11	Hémodialyse, en séances
28Z01Z, D18	Entraînements à la dialyse péritonéale automatisée, en séances
28Z02Z, D19	Entraînements à la dialyse péritonéale continue ambulatoire, en séances
28Z03Z, D17	Entraînements à l'hémodialyse, en séances
11K021, 11K022, 11K023, 11K024, 11K02J	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 1, 2, 3, 4 et ambulatoire

- ou des codes des actes CCAM correspondant aux séances de dialyse.

**Tableau 4. Liste des actes CCAM pour repérer les patients dialysés dans le PMSI**

Code acte CCAM	Libellé
JVRP004	Séance d'entraînement à l'hémodialyse
JVRP008	Séance d'entraînement à la dialyse péritonéale continue ambulatoire
JVRP007	Séance d'entraînement à la dialyse péritonéale automatisée
JVJF004	Séance d'épuration extrarénale par hémodialyse pour insuffisance rénale chronique
JVJF008	Séance d'épuration extrarénale par hémofiltration, hémofiltration ou biofiltration sans acétate pour insuffisance rénale chronique
JVJB001	Séance d'épuration extrarénale par dialyse péritonéale pour insuffisance rénale chronique

Dans le SNIIRAM-DCIR, les patients traités pour IRCT ont été repérés à partir :

- des codes de prestations (forfait) pour dialyse et entraînement au sein du fichier des prestations.

**Tableau 5. Liste des forfaits pour repérer les patients dialysés dans le SNIIRAM-DCIR**

Code forfait	Libellé
D09	Forfait d'hémodialyse en centre
D10	Forfait d'hémodialyse en centre pour enfant
D11	Forfait d'hémodialyse en unité de dialyse médicalisée
DTP	Dialyse tierce personne (permet l'identification des personnes autonome)

Code forfait	Libellé
D12	Forfait d'autodialyse simple
D13	Forfait d'autodialyse assistée
D14	Forfait d'autodialyse à domicile
D15	Forfait de dialyse péritonéale automatisée (DPA)
D16	Forfait de dialyse péritonéale continue ambulatoire (DPCA)
D17	Forfait d'entraînement à l'hémodialyse à domicile et autodialyse
D18	Forfait d'entraînement à la dialyse péritonéale automatisée
D19	Forfait d'entraînement à la dialyse péritonéale continue ambulatoire
D20	Forfait d'entraînement à la dialyse péritonéale automatisée
D21	Forfait d'entraînement à la dialyse péritonéale continue ambulatoire

- ou des codes GHS des séances de dialyse et entraînement au sein du fichier de facturation des établissements.

**Tableau 6. Liste des GHS pour repérer les patients dialysés dans le SNIIRAM-DCIR**

Code GHS	Libellé
4257	Insuffisance rénale, avec dialyse, âge inférieur à 70 ans sans CMA
4258	Insuffisance rénale, avec dialyse, âge supérieur à 69 ans et/ou CMA
4271	Insuffisance rénale, avec dialyse, âge inférieur à 70 ans sans CMA
4272	Insuffisance rénale, avec dialyse, âge supérieur à 69 ans et/ou CMA
4273	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 1
4274	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 2
4275	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 3
4276	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 4
4277	Insuffisance rénale, avec dialyse, en ambulatoire
9500	Entraînements à la dialyse péritonéale automatisée, en séances
9501	Entraînements à la dialyse péritonéale continue ambulatoire, en séances
9502	Entraînements à l'hémodialyse, en séances
9503	Hémodialyse en centre ou unité indifférencié
9504	Dialyse péritonéale automatisée, en séances
9505	Dialyse péritonéale continue ambulatoire, en séances
9520	Hémodialyse en centre
9522	Hémodialyse en unité dialyse médicalisée
9602	Entraînements à la dialyse péritonéale automatisée, en séances
9603	Entraînements à la dialyse péritonéale continue ambulatoire, en séances
9604	Entraînements à l'hémodialyse, en séances
9617	Hémodialyse, en séances
9618	Hémodialyse, en séances

► **Sélection des patients transplantés et porteurs d'un greffon rénal**

Dans le PMSI, les patients transplantés et porteurs d'un greffon rénal ont été repérés à partir :

- des codes GHM correspondant aux séjours de transplantation rénale, suivi ou rejet de greffe.

**Tableau 7. Liste des GHM/forfaits pour repérer les patients transplantés dans le PMSI**

Code GHM	Libellé
27C061, 27C062, 27C063, 27C064	Transplantations rénales, niveau 1, 2, 3 et 4
11M171, 11M172, 11M173, 11M174	Surveillances de greffes de rein, niveau 1, 2, 3 et 4
21M151, 21M152, 21M153, 21M154, 21M15T	Rejets de greffe, niveau 1, 2, 3, 4 et très courte durée, associés au diagnostic principal T861 « Échec et rejet d'une greffe de rein »

- ou d'un code acte CCAM correspondant aux séjours de transplantation rénale

**Tableau 8. Acte CCAM pour repérer les patients greffés dans le PMSI**

Code acte CCAM	Libellé
JAEA003	Transplantation du rein

Dans le SNIIRAM-DCIR, les patients porteurs d'un greffon rénal ont été repérés à partir :

- des codes CIP d'immunosuppresseurs

Tableau 9. Liste des codes CIP d'immunosuppresseurs pour repérer les patients porteurs d'un greffon rénal

CIP	NOM	PRODUIT	CODE ATC	CLASSE ATC
3052500	IMUREL 50 MG CPR 100	IMUREL	L04AX01	AZATHIOPRINE
3545131	AZATHIOPRINE MERCK 50 MG CPR 100	AZATHIOPRINE MERCK	L04AX01	AZATHIOPRINE
3641490	IMUREL 50 MG CPR PELLICULÉ 100	IMUREL	L04AX01	AZATHIOPRINE
3641432	IMUREL 25 MG CPR PELLICULÉ 50	IMUREL	L04AX01	AZATHIOPRINE
3740938	AZATHIOPRINE IVAX 50 MG 1 BOÎTE DE 100 COMPRIMÉS	AZATHIOPRINE IVAX	L04AX01	AZATHIOPRINE
3792007	AZATHIOPRINE TEVA 50 MG 1 BOÎTE DE 100 COMPRIMÉS	AZATHIOPRINE TEVA	L04AX01	AZATHIOPRINE
3854990	AZATHIOPRINE EG 50 MG 1 BOÎTE DE 100 COMPRIMÉS PE	AZATHIOPRINE EG	L04AX01	AZATHIOPRINE
3463077	NÉORAL 10 MG CAPSULE 60	NÉORAL	L04AD01	CICLOSPORINE
3463060	NÉORAL 100 MG CAPSULE 60	NÉORAL	L04AD01	CICLOSPORINE
3463054	NÉORAL 50 MG CAPSULE 60	NÉORAL	L04AD01	CICLOSPORINE
3463048	NÉORAL 25 MG CAPSULE 60	NÉORAL	L04AD01	CICLOSPORINE
3463031	SANDIMMUN 50 MG CAPSULE 50	SANDIMMUN	L04AD01	CICLOSPORINE
3463025	SANDIMMUN 25 MG CAPSULE 50	SANDIMMUN	L04AD01	CICLOSPORINE
3463019	SANDIMMUN 100 MG CAPSULE 100	SANDIMMUN	L04AD01	CICLOSPORINE
3463002	SANDIMMUN 100 MG/ML SOL BUV 50 ML 1/50 ML	SANDIMMUN	L04AD01	CICLOSPORINE
3463315	NÉORAL 100 MG/ML SOL BUV FL 50 ML 1/50 ML	NÉORAL	L04AD01	CICLOSPORINE
3641030	CERTICAN 0,75 MG CPR 60	CERTICAN	L04AA18	ÉVÉROLIMUS
3641159	CERTICAN 0,1 MG CPR DISPERSIBLE 60	CERTICAN	L04AA18	ÉVÉROLIMUS
3641188	CERTICAN 0,25 MG CPR	CERTICAN	L04AA18	ÉVÉROLIMUS

CIP	NOM	PRODUIT	CODE ATC	CLASSE ATC
	DISPERSIBLE 60			
3641113	CERTICAN 0,25 MG CPR 60	CERTICAN	L04AA18	ÉVÉROLIMUS
3641082	CERTICAN 0,50 MG CPR 60	CERTICAN	L04AA18	ÉVÉROLIMUS
3595258	CELLCEPT 250 MG GÉLULE 100	CELLCEPT	L04AA06	MYCOPHÉNOLOGIQUE ACIDE
3595270	CELLCEPT 500 MG CPR 50	CELLCEPT	L04AA06	MYCOPHÉNOLOGIQUE ACIDE
3630919	MYFORTIC 360 MG CPR 120	MYFORTIC	L04AA06	MYCOPHÉNOLOGIQUE ACIDE
3630871	MYFORTIC 180 MG CPR 120	MYFORTIC	L04AA06	MYCOPHÉNOLOGIQUE ACIDE
3595293	CELLCEPT 1 G/5 ML PDR ORALE 1/110 G	CELLCEPT	L04AA06	MYCOPHÉNOLOGIQUE ACIDE
3568847	RAPAMUNE 1 MG/1 ML SOL BUV FL 60 ML 1/60 ML	RAPAMUNE	L04AA10	SIROLIMUS
3595301	RAPAMUNE 1 MG CPR 30	RAPAMUNE	L04AA10	SIROLIMUS
3615682	RAPAMUNE 2 MG CPR 30	RAPAMUNE	L04AA10	SIROLIMUS
3589571	PROGRAF 1 MG GÉLULE 50	PROGRAF	L04AD02	TACROLIMUS
3589588	PROGRAF 0,5 MG GÉLULE 50	PROGRAF	L04AD02	TACROLIMUS
3587572	PROGRAF 5 MG GÉLULE 50	PROGRAF	L04AD02	TACROLIMUS
3806962	ADVAGRAF 1 MG (TACROLIMUS) 1 BOÎTE DE 30 GÉLULES	ADVAGRAF	L04AD02	TACROLIMUS
3806927	ADVAGRAF 0,5 MG (TACROLIMUS) 1 BOÎTE DE 30 GÉLULE	ADVAGRAF	L04AD02	TACROLIMUS
3806991	ADVAGRAF 5 MG (TACROLIMUS) 1 BOÎTE DE 30 GÉLULES	ADVAGRAF	L04AD02	TACROLIMUS

Les algorithmes d'identification des patients traités pour IRCT ont été élaborés en collaboration avec la CNAMTS.

Les patients ayant eu, dans la période de l'étude, au moins une séance/séjour pour dialyse, entraînement, transplantation rénale, surveillance/rejet de greffon ou insuffisance rénale avec dialyse renseigné dans le PMSI ou le SNIIRAM-DCIR ou un traitement d'immunosuppresseurs remboursé dans le SNIIRAM-DCIR ont été sélectionnés, soit 83 305 patients sélectionnés.

Parmi ces 83 305 patients sélectionnés, 65 476 avaient des informations à la fois dans le SNIIRAM-DCIR et le PMSI ; 9 943 n'étaient présents que dans le SNIIRAM-DCIR et 7 886 n'étaient présents que dans le PMSI.

### ► Sélection de la population d'analyse (critères d'exclusion)

Le nombre de patients répondant à chacun des critères d'exclusion présentés dans l'analyse sont les suivants :

- les patients ayant des séances de dialyse sans consommation de soins de ville remboursée par l'Assurance maladie sur la période de l'étude (7 892 patients) ;
- les patients de moins de 18 ans (812 patients) ;
- les patients dont les séances de dialyse et les séjours d'hospitalisation ne sont pas remboursés par l'Assurance maladie ou ne sont pas valorisés (erreur de codage, séjour mal chaîné) (451 patients) ;
- les patients identifiés comme ayant une atteinte rénale, sans séance de dialyse, avec moins de 3 prescriptions d'immunosuppresseurs durant la période de l'étude (identifié initialement comme potentiellement porteurs de greffon (836 patients) ;
- les patients non classés dans une modalité de traitement (4 832 patients) ;
- les patients dont les informations sur l'âge, la présence de diabète et le mois de décès étaient manquantes (657 patients). Les informations sur l'âge et la présence de diabète ont été identifiées à la fois dans les bases PMSI et SNIIRAM-DCIR.
  - Pour l'âge : les données ont été recherchées en priorité dans le PMSI. Si l'information était manquante ou si le patient n'avait pas été hospitalisé durant la période de l'étude, alors l'information était récupérée dans le SNIIRAM-DCIR.
  - Pour la présence de diabète : les données ont été récupérées dans le SNIIRAM-DCIR en utilisant l'algorithme fourni par la CNAMTS. En cas de donnée manquante, l'information était recherchée dans le PMSI.
- Les patients étaient identifiés comme atteint d'une insuffisance rénale aiguë (2 163 patients). De façon plus précise, il s'agit de patients pour lesquels la durée de traitement est inférieure à 45 jours sur la période d'étude. Par ailleurs, les patients correspondant aux critères suivants ont également été exclus :
  - lorsque la date de première dialyse est antérieure au mois de janvier 2010 (afin de pouvoir constater la fin de traitement fixée à 45 jours maximum). En effet, un patient avec une date de première dialyse à la fin de la période d'étude (janvier ou février 2010) peut être un patient incident ;
  - ou, pour les patients décédés, lorsque le délai entre la date de première dialyse et le mois de décès est supérieur à 2 mois. En effet, si le patient n'est pas traité jusqu'à son décès, il est fort probable que les séances de dialyse aient été réalisées dans le cadre d'une insuffisance rénale aiguë.

La population d'analyse comportait ainsi 65 662 patients traités pour IRCT, dont 2 265 patients qui ont bénéficié d'une transplantation rénale sur la période de l'étude.



## 1.2 Classement des patients dans une ou plusieurs modalités de traitement sur la période de l'étude

Étant donné que les modalités de traitement n'étaient pas repérables dans les mêmes bases, il a été nécessaire de procéder en deux étapes pour connaître le temps passé par modalité par chacun des patients par :

- l'estimation du temps passé dans les modalités de traitement repérables dans le PMSI pour les établissements publics ;
- l'estimation du temps passé dans les modalités de traitement repérables dans le SNIIRAM-DCIR pour les établissements à statut privé ou associatif.

Les changements de traitement des patients (ou trajectoires), dans les dix différentes modalités, ont été identifiés à partir des dates « entrée-sortie » des séjours hospitaliers (PMSI) et du mois de soins pour l'ambulatoire (DCIR). Pour chaque patient, le temps passé dans chaque modalité de traitement a été estimé afin de les classer dans une ou plusieurs modalités de traitement sur la période considérée.

Pour estimer le temps passé dans les modalités de traitement repérables dans le PMSI et dans le SNIIRAM-DCIR, les hypothèses suivantes ont été retenues :

- la durée entre deux séances ne peut pas dépasser 7 jours ;
- il est possible que deux séances de dialyse soit réalisées le même jour ;
- pour les séances facturées à l'unité, la durée entre deux séances est supposée être de 2,3 jours et il n'est pas possible d'avoir plus de 31 séances par mois ;
- pour les séances facturées à la semaine, il n'est pas possible d'avoir plus de 6 semaines de dialyse dans le mois ;
- le temps total de traitement sur l'année ne peut pas dépasser 400 jours<sup>3</sup>.

### 1.2.1 Estimation du temps passé, par patient, dans chaque modalité de traitement, pour les établissements publics

Le temps passé dans chaque modalité de traitement dans les établissements publics a été estimé à partir des séjours enregistrés dans le PMSI.

#### ► Calcul d'une durée de séjour à partir de la date d'entrée du séjour et la date de sortie

##### *Date de début du séjour*

Certains séjours pour IRCT dans le PMSI ont une date renseignée de début antérieure au 1<sup>er</sup> mars 2009. Afin de ne pas fausser le calcul de la durée passée dans chaque modalité sur une période d'1 an, la date de début a été fixée au 1<sup>er</sup> mars 2009 pour tous les séjours.

La durée de chaque séjour correspond à la différence entre la date de sortie du séjour et la date d'entrée du séjour :

$$duree = (date\_fin - date\_deb) + 1$$

##### *Concordance entre la durée calculée du séjour et le nombre de séances réalisées*

Les durées calculées et le nombre de séances réalisées n'étaient pas concordants dans tous les cas. Par exemple, un séjour d'une durée de 3 mois avec seulement 10 séances de dialyse renseignées n'est pas réaliste pour un patient traité pour IRCT : soit la durée du séjour a été surestimée, soit le nombre de séances a été sous-estimé.

<sup>3</sup> Dans certains cas, la somme des durées passées dans chaque modalité de traitement pouvaient être supérieure au temps de suivi d'un an. Ces sommes de durées ont été ajustées, afin de ne pas dépasser 400 jours pour un patient donné, sur la période de l'étude.



Afin d'assurer une bonne concordance entre la durée du séjour et le nombre de séances réalisées, l'hypothèse suivante a été posée : un patient ne devrait pas avoir des séances de dialyse espacées de plus de 7 jours.

$$0.8 > \frac{\textit{durée}}{\textit{nombre\_de\_séances}} > 7$$

Normalement, il n'est pas possible de faire plus d'une séance de dialyse par jour. Cependant, afin de prendre en compte le maximum d'information, la borne de 0,8 séance a été retenue. Ainsi, les séjours qui avaient une ou deux fois deux séances de dialyse par jour, ont été conservés.

Les séjours pour lesquels l'intervalle entre deux séances de dialyse est inférieur à 0,8 jour ou supérieur à 7 jours posaient problème. Il n'était pas possible de savoir si c'était la durée du séjour qui était correcte ou le nombre de séances renseigné. La seule information qui pouvait être jugée comme correcte était la valorisation du séjour réalisée par l'ATIH.

Pour ces séjours, une durée de séjour à partir de la valorisation du séjour (montant du GHS remboursé par l'Assurance maladie) a été recalculée :

$$\textit{nombre\_séances\_estimées} = \frac{\textit{mnt\_am\_ghs}}{\textit{cout\_unitaire\_séance}}$$

$$\textit{durée\_estimée} = \textit{nombre\_séances\_estimées} * 2.3$$

Avec comme hypothèse, qu'une séance de dialyse était réalisée tous les 2,3 jours (hypothèse conservatrice).

Le coût unitaire d'une séance a été fixé au tarif 2009 des GHS par modalité de traitement.

- Pour les séances d'hémodialyse en centre (GHM 28Z04Z et GHS 9605), le coût unitaire d'une séance était de 349,12 €.
- Pour les séances d'hémodialyse en UDM (GHM 28Z04Z et GHS9618), le coût unitaire d'une séance était de 251,09 €.
- Pour les séances d'entraînement à la DPA (GHM 28Z01Z), le coût unitaire d'une séance était de 423,19 €.
- Pour les séances d'entraînement à la DPCA (GHM 28Z02Z), le coût unitaire d'une séance était de 396,55 €.
- Pour les séances d'entraînement à l'HD (GHM 28Z03Z), le coût unitaire d'une séance était de 673,79 €.

#### *La règle de facturation choisie par l'établissement impacte la durée du séjour*

Les durées de séjours sont différentes selon le mode de facturation utilisé par l'établissement. L'établissement a le choix de facturer à chaque séance de dialyse (dans ce cas, un séjour = une séance) ou bien de facturer en une fois, en général par mois, plusieurs séances de dialyse d'une même modalité de traitement (dans ce cas, un séjour = plusieurs séances).

Pour les séances de dialyse facturées à la séance, la durée passée dans cette modalité de traitement a été sous-estimée par rapport aux séances de dialyse qui sont facturées au mois ou plus.

En effet, pour les séjours correspondant à une séance de dialyse, la durée calculée dans la modalité de traitement était de 1 jour. Pour les séjours correspondant à plusieurs séances de dialyse, la durée calculée dans la modalité de traitement correspondait à la différence entre la première et la dernière séance. Dans ce cas, le temps entre chaque séance était pris en compte.

Pour les séjours qui n'avaient qu'une séance facturée, l'hypothèse suivante a été posée : une séance de dialyse était réalisée tous les 2,3 jours. Ainsi la durée considérée pour une modalité de traitement avec une séance était de 2,3 jours.

## ► Calcul du temps total passé dans chaque modalité de traitement par patient et calcul du temps total de traitement dans le PMSI

### *Temps total de traitement par patient*

Un patient traité pour IRCT a pu avoir plusieurs séjours (un séjour peut comprendre une ou plusieurs séances) dans une ou plusieurs modalités de traitement. Sachant qu'un séjour est affecté à une seule modalité de traitement, le calcul du temps total de traitement par patient, renseigné dans le PMSI sur la période de l'étude, a été effectué en deux étapes :

- Temps total passé dans chaque modalité de traitement :

$$D_{AP_1} = \sum_{i=1}^n d_{iAP_1} \text{ avec } d_i \text{ la durée du séjour } i \text{ dans la modalité de traitement A pour le patient } P_1, n \text{ le nombre total de séjour dans la modalité de traitement A pour le patient } P_1.$$

- Temps total de traitement :

$$D_{tot} = \sum_{j=1}^N D_{jP_1} \text{ avec } D_j \text{ la durée totale passée dans la modalité de traitement } j \text{ pour le patient } P_1, N \text{ (N = modalité de traitement A, B...) le nombre total de modalité de traitement.}$$

### *Contrôle de l'estimation du temps total de traitement par patient*

Le temps total estimé de traitement par patient (Dtot) qui correspond à la somme des durées passées dans chaque modalité de traitement pouvait être supérieur au temps de suivi qui est d'un an. Le temps total de traitement était supérieur à 400 jours pour 250 patients.

Pour ces patients, le calcul suivant a été réalisé :

pour connaître le « surplus » de temps estimé pour ces patients, un coefficient a été calculé en considérant que la durée totale de traitement pouvait aller jusqu'à 400 jours :

$$\Delta = 400 / D_{tot}$$

Ce coefficient  $\Delta$  a été appliqué aux durées de traitement en centre et en UDM afin que les durées de traitement soient diminuées proportionnellement au temps passé dans chacune des modalités.

Au final, aucune durée de traitement dans le PMSI ne dépassait 400 jours pour un patient donné, sur la période de l'étude.

## **1.2.2 Estimation du temps passé, par patient, dans chaque modalité de traitement, pour les établissements à statut privé ou associatif**

Le temps passé, dans chaque modalité de traitement dans les établissements à statut privé ou associatif, a été estimé à partir des soins enregistrés dans le SNIIRAM-DCIR.

### ► Calcul d'une durée à partir du mois de soins

Le classement des patients, dans une ou plusieurs modalités de traitement, a été réalisé par mois de soins. Ce classement a été réalisé lors de la sélection générale de la population.

### *Concordance entre les durées de traitement et les montants remboursés*

Pour certains mois de soins, les montants remboursés par l'Assurance maladie indiquaient que le traitement ne durait pas un mois complet. En effet, le montant remboursé ne correspondait pas au

nombre de séances réalisés dans un mois complet de soins, mais pouvait correspondre à 2 ou 3 semaines de soins.

Par ailleurs, pour certains séjours, les montants remboursés par mois étaient largement supérieurs à ce qui devrait être normalement remboursé sur un mois de soins complets.

Pour estimer une durée de traitement la plus correcte possible, la durée de traitement a été recalculée à partir des montants remboursés par l'Assurance maladie dans chaque modalité, pour les séances de dialyse.

Les montants remboursés pour chaque modalité de traitement ont été divisés par le montant du forfait afin d'obtenir un nombre de séances ou un nombre de semaine de traitement.

Les forfaits utilisés ont été les suivants :

- Forfait d'HD en centre (D09) : 293,86 €.
- Forfait d'HD en UDM (D11) : 252,96 €.
- Forfait d'entraînement HD à domicile et autodialyse (D17) : 355,27 €.
- Forfait d'entraînement DPA (D18) : 363,98 €.
- Forfait d'entraînement DPCA (D19) : 338,93 €.
- Forfait d'entraînement DPA – à domicile et autodialyse (D20) : 363,97 €.
- Forfait d'entraînement DPCA – à domicile et autodialyse (D21) : 338,93 €.

Pour les séances d'entraînement, DPA et DPCA (D18, D19, D20, D21), un forfait moyen a été calculé : 351,45 €.

- Forfait d'autodialyse simple (D12) : 216,97 €.
- Forfait d'autodialyse assistée (D13) : 222,77 €.

Pour les séances d'autodialyse (D12 et D13), un forfait moyen a été calculé : 219,87 €.

- Forfait d'HD à domicile (D14) : 195,62 €.
- Forfait de DPA (à la semaine) (D15) : 664,02 €.
- Forfait de DPCA (à la semaine) (D16) : 515,70 €.
- Forfait dialyse tierce personne (DTP) (permet l'identification des personnes autonomes) : 23,73 €.

Un supplément DTP à 23,73 € a été appliqué pour chaque séance de traitement pour l'HD à domicile, en sus du forfait de l'HDD, trois suppléments DTP à 23,73 € ont été appliqués pour chaque semaine de traitement pour la DP en sus du forfait de DPA et DPCA.

#### *Contrôle des durées de traitement estimées*

Pour les séances de dialyse remboursées à la séance par l'Assurance maladie, lorsque le nombre de séances par mois était supérieur à 31 (une séance de dialyse quotidienne étant possible), la durée mensuelle du traitement a été forcée à 31 jours.

Pour les séances de dialyse remboursées à la semaine par l'Assurance maladie, lorsque le nombre de semaine par mois était supérieur à 6 (5 semaines étant envisageables certains mois + des rattrapages), la durée mensuelle du traitement a été forcée à 6 semaines.

#### *Homogénéisation des unités de temps pour les durées estimées de traitement*

Les unités de temps étaient différentes entre les modalités de traitement, selon le mode de tarification, à la séance ou à la semaine.

Pour avoir la même unité que les durées de traitement estimées dans le PMSI, les durées de traitement estimées en semaine ont été transformées en jour.

## ► Calcul du temps total passé dans chaque modalité de traitement par patient et calcul du temps total de traitement dans le SNIIRAM-DCIR

### *Temps total de traitement par patient*

Une durée de traitement (en jour) a été estimée pour chaque modalité de traitement par mois de soins et par patient, sachant que, dans un même mois de soins, un patient a pu être traité par plusieurs modalités de traitement.

Le temps passé dans chaque modalité de traitement et le temps total de traitement par patient, renseigné dans le DCIR sur la période de l'étude, ont été calculés :

- Temps total passé dans chaque modalité de traitement :

$$D_{AP_1} = \sum_{i=3}^{14} d_{iAP_1}$$

avec  $d_i$  la durée de traitement dans le mois de soins  $i$  dans la modalité de traitement A pour le patient P1, le mois de soins  $i$  allant du mois 3 (mars 2009) au mois 14 (février 2010).

- Temps total de traitement :

$$D_{tot} = \sum_{j=1}^N D_{jP_1}$$

Avec  $D_j$ , la durée totale passée dans la modalité de traitement  $j$  pour le patient P1,  $N$  ( $N =$  modalité de traitement A, B...) le nombre total de modalité de traitement.

### *Contrôle de l'estimation du temps total de traitement par patient*

De même que pour l'estimation des durées de traitement dans le PMSI, le temps total estimé de traitement par patient dans le SNIIRAM-DCIR ( $D_{tot}$ ), qui correspond à la somme des durées passées dans chaque modalité de traitement, pouvait être supérieur au temps de suivi d'un an. Le temps total de traitement était supérieur à 400 jours pour 202 patients.

Pour ces patients, le même calcul que pour le PMSI a été réalisé.

Pour connaître le « surplus » de temps estimé pour ces patients, un coefficient a été calculé en considérant que la durée totale de traitement pouvait aller jusqu'à 400 jours.

$$\Delta = 400 / D_{tot}$$

Ce coefficient  $\Delta$  a été appliqué aux durées de chaque modalité de traitement, afin que les durées de traitement soient diminuées proportionnellement au temps passé dans chacune d'entre elles.

Au final, aucune durée de traitement dans le SNIIRAM-DCIR ne dépassait 400 jours pour un patient donné, sur la période de l'étude.

## 1.2.3 Repérage et analyse des patients greffés

Les patients, transplantés au cours de la période de l'étude, ont été distingués de ceux qui étaient porteur de greffon au début de la période de l'étude ; la modalité « porteur de greffon » étant considérée comme une modalité de traitement à part entière.

### ► Patients greffés dans la période de l'étude

Les patients transplantés au cours de la période de l'étude correspondent aux patients pour lesquels un séjour pour transplantation rénale était codé dans le PMSI. Ces patients ont été identifiés exclusivement par le PMSI, à partir des GHM 27C061, 27C062, 27C063 et 27C064.

Ces séjours ont été traités à part. Ils ont permis d'estimer le coût de transition pour une transplantation et l'évolution des coûts de prise en charge sur les 12 mois suivants la transplantation (ensemble des consommations remboursées pour des séjours hospitaliers et des soins de ville).

#### ► Patients porteurs de greffon sur la période de l'étude

Les patients porteurs de greffon sur la période de l'étude ont eu un séjour de transplantation rénale avant le 1<sup>er</sup> mars 2009. Ils n'ont donc pas été identifiés par le PMSI mais par le DCIR. Ces patients avaient des prescriptions d'immunosuppresseurs, et ils ont pu avoir des séances de dialyse sur la période de l'étude. Par ailleurs, ils pouvaient également avoir des séjours dans le PMSI, mais pour d'autres motifs que l'insuffisance rénale.

Pour qu'un patient soit considéré comme véritablement porteur d'un greffon, il devait avoir au moins 3 prescriptions d'immunosuppresseurs, c'est-à-dire au moins 3 mois de traitement remboursé sur la période de l'étude.

836 patients avaient moins de 3 mois de prescriptions d'immunosuppresseurs sur la période de l'étude ; ils n'ont donc pas été considérés comme des patients porteurs de greffon. Si ces patients avaient des séjours pour suivi ou rejet de greffe renseignés dans le PMSI, alors les durées de ces séjours n'ont pas été prises en compte (durées des séjours pour suivi ou rejet de greffe = 0 pour ces patients).

#### ► Application d'une durée à la modalité « porteur de greffon »

Afin de prendre en compte le temps passé dans cette modalité « porteur de greffon », une durée pour chaque patient porteur de greffon a été calculée à partir des dates de prescription d'immunosuppresseurs :

durée – ttx = date de la dernière prescription – date de la première prescription.

### 1.2.4 Classement des patients dans les modalités de traitement dans le champ complet PMSI-DCIR

En dehors des patients caractérisés comme transplantés durant la période de l'étude, les patients classés dans les modalités de traitement identifiées dans le PMSI et dans le SNIIRAM-DCIR ont été mis en commun.

Les données du SNIIRAM-DCIR permettaient de renseigner les modalités de traitement qui étaient codées en « erreur » dans le PMSI et les séances de dialyse qui n'étaient remontées que *via* le SNIIRAM-DCIR (séjours de dialyse réalisés dans des associations ou des établissements privés), et de renseigner les patients porteurs de greffons stables qui n'avaient pas de séances de dialyse ou de séjours de suivi ou de rejet de greffe durant la période de l'étude.

Les deux bases n'étant pas superposables, seuls les patients présents au moins dans le DCIR avec des remboursements en ambulatoire ont été pris en considération dans la population d'analyse. Les patients n'ayant que des séances de dialyse renseignées dans le PMSI ou dans le SNIIRAM-DCIR, sans aucun remboursement de soins de ville, ont été exclus.

Le classement des patients dans les modalités de traitement a été effectué après avoir calculé le temps total passé dans chaque modalité et la part de chaque modalité de traitement dans le temps total de traitement pour dialyse.

#### ► Temps total passé dans chaque modalité de traitement

Pour chaque patient, une durée totale passée dans chaque modalité de traitement et un temps total de traitement ont été calculés, à partir des données du PMSI et du SNIIRAM-DCIR.

Le temps total estimé de traitement par patient dans le PMSI couplé au SNIIRAM-DCIR a été contrôlé, afin qu'il ne soit pas supérieur à la période de suivi (inférieur à 400 jours).

### ► Part de chaque modalité de traitement dans le temps total de traitement pour dialyse

Pour chaque patient, la part passée dans chaque modalité de traitement dans le temps total de traitement pour dialyse a été calculée.

Les parts des modalités de traitement suivantes dans le temps total de traitement de chaque patient ont été calculées :

- part des séances d'entraînement pour DP ;
- part des séances pour DPA assistée/non assistée ;
- part des séances pour DPA assistée/non assistée ;
- part des séances d'entraînement pour HD ;
- part des séances de dialyse en centre ;
- part des séances de dialyse en UDM ;
- part des séances d'HDD ;
- part des séances d'autodialyse ;
- part dans l'état « porteur de greffon ».

### Classement des patients dans une modalité de traitement

Les patients pouvaient passer d'une modalité de traitement à une autre au cours de la période de l'étude. Afin de classer les patients dans une ou plusieurs modalités de traitement, la règle suivante a été fixée :

- les patients, pris en charge par la même modalité de traitement pendant plus de 75 % du temps total de traitement, sont considérés comme ayant une prise en charge « stable », avec une seule modalité de traitement sur la période de l'étude ;
- les patients, ne passant pas plus de 75 % de leur temps total de traitement dans une seule modalité de traitement, sont considérés comme ayant une prise en charge « mixte », avec plusieurs modalités de traitement sur la période de l'étude. Les parcours des patients « mixtes » ont été étudiés avec les modalités de traitement HD, DP et porteur de greffon.

Cette règle de classement à 75 % du temps total de traitement a fait l'objet d'une analyse de sensibilité avec un seuil fixé à 90 % (cf. Annexe 2, partie résultats, Section 2.1.4).

## 1.3 Ajustement des petits effectifs

Dans un premier temps ont été distingués les patients prévalents, incidents et décédés sur la période de l'étude. Dans un second temps, la population d'analyse a été stratifiée selon l'âge et la présence ou non de diabète.

Lorsque l'effectif des groupes de patients était inférieur à 10, les coûts moyens ont été ajustés en posant les règles explicitées ci-dessous.

### ► Par catégorie prévalent/incident/décédé/incident-décédé

L'écart de coûts moyens entre la DPCA assistée chez les patients incidents-décédés et les patients décédés a été utilisé pour estimer le coût de la DPA assistée, la DPA non assistée et la DPCA non assistée chez les patients incidents-décédés.

L'écart de coût moyens entre les patients incidents-décédés et les patients décédés a été calculé pour les modalités HD en centre et HD en UDM. Cet écart moyen a été utilisé pour estimer le coût médian de l'autodialyse et l'HD domicile chez les patients incidents-décédés.

L'écart de coût moyen, entre les patients incidents et les patients prévalents, a été calculé pour les modalités d'hémodialyse en centre, UDM et autodialyse. Cet écart moyen a été utilisé pour estimer le coût médian de l'HD domicile chez les patients incidents.



L'écart de coût moyen entre les patients décédés et les patients prévalents a été calculé pour les modalités d'hémodialyse en centre, UDM et autodialyse. Cet écart moyen a été utilisé pour estimer le coût médian de l'HD domicile chez les patients décédés.

#### ► Par catégorie d'âge et présence de diabète

L'écart de coût moyen entre la DP assistée et la DP autonome a été calculé dans les groupes d'âge supérieur à 44 ans. Cet écart moyen a été utilisé pour estimer le coût de la DP assistée par rapport au coût de la DP autonome chez les patients de 18-44 ans.

L'écart de coût moyen entre l'HD domicile et l'HD autodialyse a été calculé dans les groupes de patients non diabétiques. Cet écart moyen a été utilisé pour estimer le coût de l'HD domicile par rapport au coût de l'HD autodialyse chez les patients diabétiques.

L'écart de coût moyen entre la DPCA autonome chez les 18-44 diabétiques et les non diabétiques a été utilisé pour estimer le coût de la DP assistée et la DPA autonome chez les patients de 18-44 ans diabétiques.

## 1.4 Classement des hospitalisations

Parallèlement aux séjours liés aux séances de dialyse ou pour motif de transplantation rénale et rejet de greffe, les autres hospitalisations ont été étudiées.

Un classement des hospitalisations, selon leur motif, a été effectué à partir des diagnostics principaux des séjours. Les codes CIM-10 cibles pour classer les séjours dépendent de la modalité de traitement des patients.

Les causes d'hospitalisations suivantes ont été identifiées.

Les infections, liées au traitement, concernent tous les séjours avec les diagnostics principaux suivants :

- pour les patients porteurs de greffon (toutes infections) : A00-B99, G00-G09, I33, J00-J22, L00-L08, M00-M03, M86, R50 ;
- pour les patients avec une modalité de DP (péritonite et septicémie) : K65, A40, A41, T81.4 ;
- pour les patients avec une modalité d'HD (infection de cathéter et septicémie) : A40, A41, T81.4.

Les autres infections, non liées au traitement, concernent tous les séjours avec les diagnostics principaux suivants :

- pour les patients avec une modalité de DP : A00-B99, G00-G09, I33, J00-J22, L00-L08, M00-M03, M86, R50, excepté les codes K65, A40, A41 et T81.4 ;
- pour les patients avec une modalité d'HD : A00-B99, G00-G09, I33, J00-J22, L00-L08, M00-M03, M86, R50, excepté les codes A40, A41 et T81.4.

Les cancers, liés au traitement pour les patients porteur de greffon, concernent les séjours avec les diagnostics principaux suivants : C00-D48, Z08, Z51.0, Z51.1, Z51.2, Z54.1, Z54.2.

Les cancers, non liés au traitement pour les patients pris en charge par les autres modalités de traitement, concernent les séjours avec les diagnostics principaux suivants : C00-D48, Z08, Z51.0, Z51.1, Z51.2, Z54.1, Z54.2.

Les pathologies cardio-vasculaires non liées au traitement, concernent les séjours avec les diagnostics principaux suivants : I00-I99, G45-G46, excepté les codes I74.2, I77.0, I82.8 et I33.

Les séjours pour soins palliatifs ont également été recherchés (diagnostic principal Z51.5), mais aucun séjour de ce type n'a pu être identifié.

## 1.5 Mesure des coûts

### 1.5.1 Forfaits et tarifs 2009

Tableau 10. Liste des forfaits et tarifs 2009

Code	Libellé	Tarifs privé	Tarifs public
d09	Forfait d'hémodialyse en centre	293,86	
d10	Forfait d'hémodialyse en centre pour enfant	341,08	
d11	Forfait d'hémodialyse en unité de dialyse médicalisée	252,96	
dtp	Dialyse tierce personne (permet l'identification des personnes autonome)	23,73	
d12	Forfait d'autodialyse simple	216,97	232,64
d13	Forfait d'autodialyse assistée	222,77	238,87
d14	Forfait d'autodialyse à domicile	195,62	206,38
d15	Forfait de dialyse péritonéale automatisée (DPA)	664,02	700,54
d16	Forfait de dialyse péritonéale continue ambulatoire (DPCA)	515,70	544,06
d17	Forfait d'entraînement à l'hémodialyse à domicile et autodialyse	355,27	
d18	Forfait d'entraînement à la dialyse péritonéale automatisée	363,98	
d19	Forfait d'entraînement à la dialyse péritonéale continue ambulatoire	338,93	
D20	Forfait d'entraînement à la dialyse péritonéale automatisée	363,97	426,62
D21	Forfait d'entraînement à dialyse péritonéale continue ambulatoire	338,93	399,77



Tableau 11. Liste des GHS – GHM et tarifs de 2009

GHS	GHM	Libellé	Établissements publics						Établissements privés					
			DS borne basse	DS borne haute	Tarif	Forfait EXB	Tarif EXB	Tarif EXH	DS borne basse	DS borne haute	Tarif	Forfait EXB	Tarif EXB	Tarif EXH
4273	11K021	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 1	2	8	2 176,12	1 507,87		197,5	3	14	899,14	694,36		39,80
4274	11K022	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 2	6	33	7 060,44	4 884,32		226,43	5	28	1 132,50	233,36		39,54
4275	11K023	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 3	9	53	12 226,17	5 165,73		194,58	7	40	1 627,00	494,50		38,63
4276	11K024	Insuffisance rénale, avec dialyse, niveau 4	12	73	16 117,79	3 891,62		412,01	10	62	2 476,77	849,77		74,85
4277	11K02J	Insuffisance rénale, avec dialyse, en ambulatoire			668,25						204,78			
9602	28Z01Z	Entraînements à la dialyse péritonéale automatisée, en séances			423,19									
9603	28Z02Z	Entraînements à la dialyse péritonéale continue ambulatoire, en séances			396,55									
9604	28Z03Z	Entraînements à l'hémodialyse, en séances			673,79									
9605	28Z04Z	Hémodialyse, en séances			349,12									
9617	28Z04Z	Hémodialyse, en séances			391,34									
9618	28Z04Z	Hémodialyse, en séances			251,09									
8922	27C061	Transplantations rénales, niveau 1	6	35	12 566,85		2 094,48	190,15						
8923	27C062	Transplantations rénales, niveau 2	8	44	14 278,18	1 711,33		336,36						
8924	27C063	Transplantations rénales,	10	59	21 146,52	6 868,34		249,56						

		niveau 3												
8925	27C064	Transplantations rénales, niveau 4	13	80	26 387,27	5 240,74		615,07						
4336	11M171	Surveillances de greffes de rein, niveau 1			808,34					423,37				
4337	11M171	Surveillances de greffes de rein, niveau 2	3	13	2 987,34	2 179,00		195,71		1 564,64				
4338	11M171	Surveillances de greffes de rein, niveau 3	4	20	4 357,28	1 369,94		405,17		2 265,37				
4339	11M171	Surveillances de greffes de rein, niveau 4			5 424,34					3 414,36				
7604	21M151	Rejets de greffe, niveau 1	2	7	1 749,77	1 046,00		285,95		417,92				
7605	21M152	Rejets de greffe, niveau 2	6	31	8 612,53	6 862,77		513,72		1 642,82				
7606	21M153	Rejets de greffe, niveau 3	8	44	16 814,89	8 202,36		677,07		2 324,91				
7607	21M154	Rejets de greffe, niveau 4	12	72	35 772,84	18 957,95		921,1		3 559,21				
7608	21M15T	Rejets de greffe, très courte durée			703,77					252,90				

### **1.5.2 Valorisation des séjours hospitaliers et séances de dialyse par l'ATIH**

Les montants suivants ont été fournis à la HAS par l'ATIH :

- Montant des GHS (total et remboursé par l'Assurance maladie) :
  - pour les établissements publics (STC et DGF) : montant total du GHS multiplié par le coefficient de transition comprenant les montants GHS, EXH, EXB, réhospitalisations dans le même GHS, PO, suppléments de dialyse, suppléments de radiothérapie et caissons ;
  - pour les établissements privés : montant BR du fichier RSFB comprenant les codes GHS, EXH, PO1 à PO9, D01 à D21 + DTP.
- Montant des suppléments (total et remboursé par l'assurance maladie) :
  - pour les établissements publics (STC et DGF) : montant total multiplié par le coefficient de transition comprenant les suppléments journaliers : NN1, NN2, NN3, SI, SC, REA, REP ;
  - pour les établissements privés : montant BR du fichier RSFB comprenant les codes de suppléments journaliers REA, SRA, REP, STF, SSC, SRC, NN1, NN2, NN3 et les autres codes (hors GHS, EXH, PO1 à PO9, D01 à D21 + DTP, suppléments journaliers, MON et DMI).
- Montant des médicaments et dispositifs médicaux implantables en sus des GHS :
  - pour les établissements STC : montants valorisés des médicaments et dispositifs médicaux implantables ;
  - pour les établissements DGF : pas de médicaments ni de dispositifs médicaux implantables ;
  - pour les établissements privés : correspondent aux montants remboursables du fichier RSFB et respectivement aux codes PHJ, PH1, PH4, PH7, PHH, PHS, PH8, EMI, PH2, PH, PHC pour les médicaments, et MAD, PA, POC, PII, PME, ETI, PII1, PII6, PII7 pour les dispositifs médicaux implantables.

## 2. Résultats complémentaires de l'étude des coûts

### 2.1 Résultats complémentaires correspondant à la présentation de la population d'analyse

#### 2.1.1 Caractéristiques de la population d'analyse

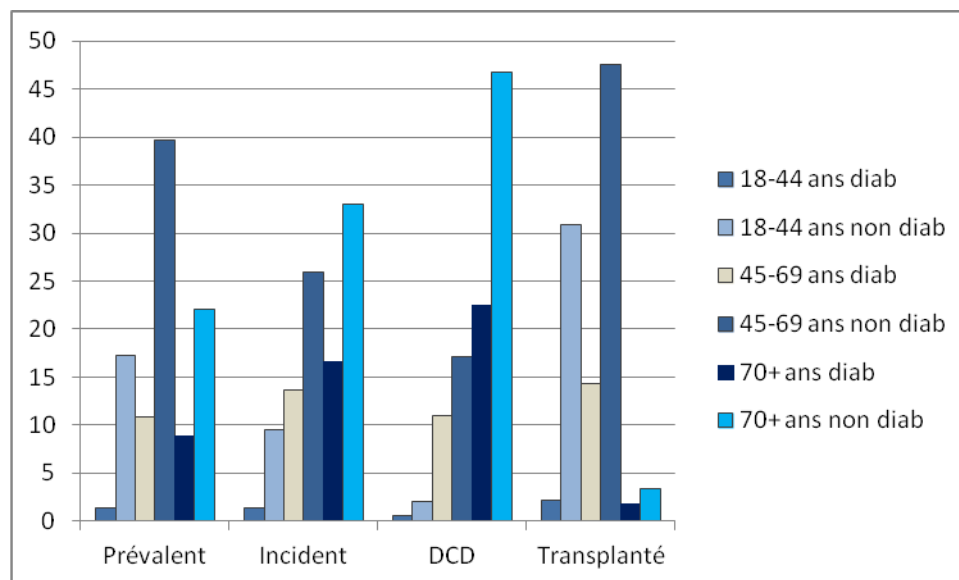
##### ► Selon l'âge et la présence de diabète

Tableau 12. Répartition de la population d'analyse selon l'âge et la présence de diabète

Âge et présence de diabète	Fréquence	Pourcentage
18-44 ans diabétiques	873	1,3
18-44 ans non diabétiques	10 371	15,8
45-69 ans diabétiques	7 395	11,3
45-69 ans non diabétiques	24 174	36,8
70+ ans diabétiques	6 878	10,5
70+ ans non diabétiques	15 971	24,3
Total	65 662	100

##### ► Selon le statut du patient sur la période de l'étude

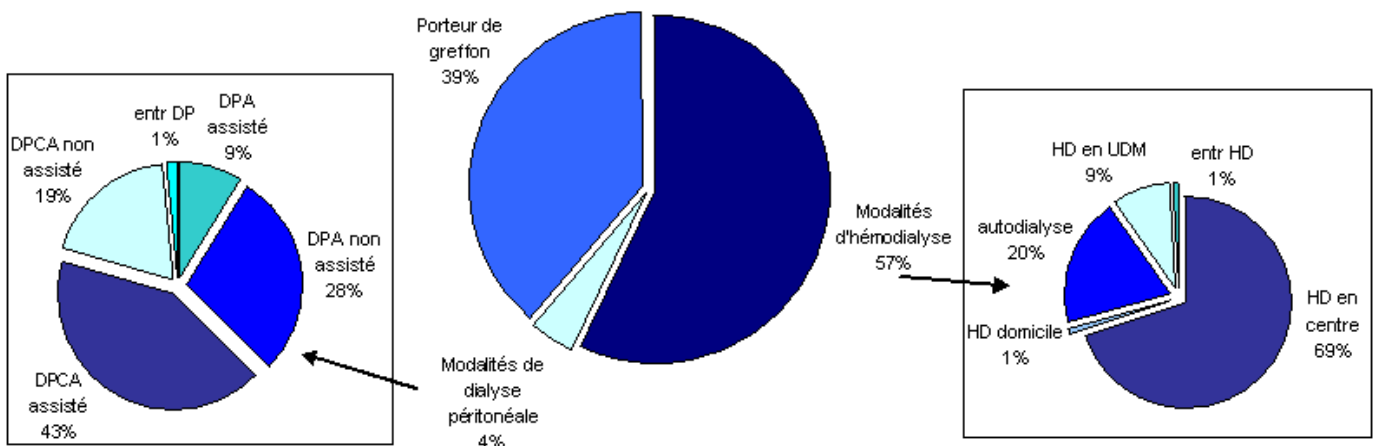
Figure 1. Répartition (en %) des patients par statut, selon l'âge et la présence de diabète



## 2.1.2 Classement des patients par modalité de traitement

### ► Classement des patients avec une prise en charge stable sur la période de l'étude

Figure 2. Répartition (en %) des patients avec une prise en charge stable par modalités de traitement



### Selon l'âge et la présence de diabète

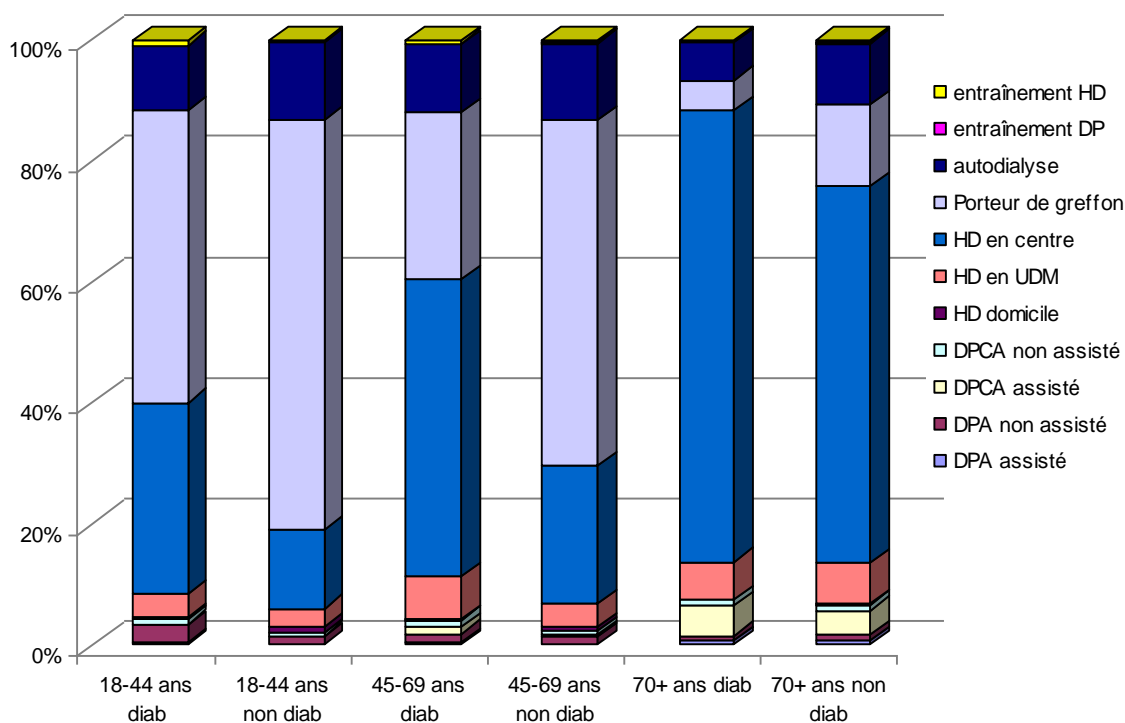
Tableau 13. Répartition (% colonne) des patients stables selon les modalités de traitement, l'âge et la présence de diabète

Modalité de traitement	18-44 ans diabétiques	18-44 ans non diabétiques	45-69 ans diabétiques	45-69 ans non diabétiques	70+ ans diabétiques	70+ ans non diabétiques
DPA assistée	0,4	0,1	0,4	0,1	0,7	0,7
DPA non assistée	2,8	1,4	1,4	1,3	0,8	1,0
DPCA assistée	0,3	0,1	1,1	0,3	5,1	4,0
DPCA non assistée	0,8	0,5	1,2	0,6	1,0	1,0
HD domicile	0,3	0,9	0,2	0,6	0,0	0,1
HD UDM	3,9	3,1	7,1	3,9	6,2	6,9
HD centre	31,6	13,0	49,0	22,8	74,7	62,2
Porteur de greffon	48,3	67,7	27,7	57,1	4,9	13,4
HD autodialyse	10,7	12,8	11,3	12,7	6,3	10,2
Entraînement DP	0,0	0,1	0,0	0,1	0,0	0,1
Entraînement HD	0,9	0,4	0,6	0,5	0,4	0,5
Total	747	9 011	6 384	21 505	6 335	14 664

**Tableau 14. Effectifs des patients stables selon les modalités de traitement, l'âge et la présence de diabète**

Modalité de traitement	18-44 ans diabétique	18-44 ans non diabétique	45-69 ans diabétique	45-69 ans non diabétique	70+ ans diabétique	70+ ans non diabétique	Total
DPA assisté	3	8	27	29	47	109	223
DPA non assisté	21	125	89	272	48	144	699
DPCA assisté	2	5	68	69	321	580	1045
DPCA non assisté	6	49	76	137	61	141	470
HD domicile	2	77	11	136	1	19	246
HD UDM	29	281	456	841	394	1 004	3 005
HD centre	236	1 173	3 126	4 897	4 730	9 129	23 291
Porteur de greffon	361	6 098	1 771	12 272	309	1 957	22 768
HD autodialyse	80	1 154	719	2 736	399	1 496	6 584
Entraînement DP	0	5	1	11	2	17	36
Entraînement HD	7	36	40	105	23	68	279
Total	747	9 011	6 384	21 505	6 335	14 664	58 646

**Figure 3. Répartition (en %) des patients stables selon les modalités de traitement, l'âge et la présence de diabète**



## Selon le statut du patient sur la période de l'étude

**Tableau 15. Répartition (% colonne) des patients stables selon les modalités de traitement et le statut du patient sur la période de l'étude**

Modalité de traitement	Prévalent	Incident	Décédé	Incident-décédé
DPA assistée	0,31	0,64	0,84	0,38
DPA non assistée	1,11	1,95	1,01	0,19
DPCA assistée	1,22	4,37	4,22	4,36
DPCA non assistée	0,64	1,86	1,15	0,00
HD domicile	0,49	0,03	0,20	0,00
HD UDM	5,19	5,18	4,53	2,66
HD centre	31,60	76,43	73,40	90,51
Porteur de greffon	46,97	0,00	6,81	0,00
HD autodialyse	12,26	6,51	7,55	0,76
Entraînement DP	0,00	0,47	0,00	0,57
Entraînement HD	0,20	2,56	0,28	0,57
Effectif	47 961	6 606	3 552	527

## ► Patients transplantés sur la période de l'étude

**Tableau 16. Répartition des patients transplantés selon la modalité de traitement avant la transplantation**

Modalité de traitement avant la greffe	Fréquence	Pourcentage
DPA assisté	3	0,17
DPA non assisté	121	6,67
DPCA assisté	3	0,17
DPCA non assisté	46	2,54
HD domicile	14	0,77
HD en UDM	162	8,94
HD en centre	554	30,56
MIXTE	221	12,19
Autodialyse	661	36,46
Entraînement DP	6	0,33
Entraînement HD	22	1,21

**Tableau 17. Répartition (en % colonne) des patients transplantés selon la modalité de traitement avant la transplantation, l'âge et la présence de diabète**

Modalité de traitement	18-44 ans diabétique	18-44 ans non diabétique	45-69 ans diabétique	45-69 ans non diabétique	70+ ans diabétique	70+ ans non diabétique
DPA assisté	0	0,36	0,37	0	0	0
DPA non assisté	2,38	8,77	4,46	6,43	6,45	3,57
DPCA assisté	0	0,18	0	0,12	3,23	0
DPCA non assisté	0	2,68	1,86	2,92	0	1,79
HD domicile	0	1,43	0	0,7	0	0
HD UDM	<b>9,52</b>	<b>6,98</b>	<b>11,52</b>	<b>9,23</b>	<b>12,9</b>	<b>8,93</b>
HD centre	<b>33,33</b>	<b>27,01</b>	<b>41,26</b>	<b>28,62</b>	<b>45,16</b>	<b>33,93</b>
MIXTE	11,9	11,99	10,78	12,03	19,35	19,64
HD autodialyse	<b>42,86</b>	<b>38,46</b>	<b>29,74</b>	<b>38,08</b>	<b>12,9</b>	<b>32,14</b>
Entraînement DP	0	0,54	0	0,35	0	0
Entraînement HD	0	1,61	0	1,52	0	0
MIXTES	11,9	11,99	10,78	12,03	19,35	19,64

### 2.1.3 Synthèse sur les caractéristiques et classement de la population d'analyse

**Tableau 18. Répartition (en % colonne) de la population d'analyse selon la prise en charge, l'âge et la présence de diabète**

Âge et présence de diabète	Patients avec une prise en charge stable	Patients avec une prise en charge mixte	Patients transplantés sur la période de l'étude
18-44 ans diabétiques	1,27	1,6	2,21
18-44 ans non diabétiques	15,37	13,93	30,82
45-69 ans diabétiques	10,89	14,46	14,30
45-69 ans non diabétiques	36,67	33,51	47,55
70+ ans diabétiques	10,8	10,57	1,81
70+ ans non diabétiques	25	25,93	3,31
Total	58 646	4 751	2 265



**Tableau 19. Répartition de la population d'analyse selon la prise en charge et le statut du patient sur la période de l'étude**

Statut du patient	Patients avec une prise en charge stable		Patients avec une prise en charge mixte		Patients transplantés sur la période de l'étude	
	Effectif	% colonne	Effectif	% colonne	Effectif	% colonne
Décédé	3 552	6,06	271	5,70	54	2,4
Incident	6 606	11,26	1 205	25,36	236	10,4
Incident-décédé	527	0,90	27	0,57	5	0,2
Prévalent	47 961	81,78	3 248	68,36	1 970	87
Total	58 646		4 751		2 265	

### 2.1.4 Analyse de sensibilité sur la règle de classement

Dans la méthodologie d'analyse des données, la règle de classement des patients a été fixée à 75 %. Les patients qui passaient au moins 75 % de leur temps de traitement dans la même modalité ont été considérés comme ayant une prise en charge stable, et ont été classés dans cette modalité. L'hypothèse retenue de 75 % a été discutée.

Une règle de classement à 90 % du temps de traitement passé dans la même modalité a été testée (cf. Tableau 20). Avec cette règle de classement à 90 %, le pourcentage de patients avec une prise en charge mixte passait de 7,2 % à 11,8 %. Parmi les patients avec une prise en charge stable, la répartition était relativement équivalente à celle avec la règle de classement à 75 %. Toutes les modalités de traitement voyaient leur part légèrement diminuer, au profit du groupe des patients mixtes.

Afin de conserver le maximum d'information, pour l'estimation d'un coût moyen mensuel d'un patient prévalent stable et des effectifs suffisants dans chaque groupe, la règle de classement à 75 % a été maintenue.

**Tableau 20. Répartition de la population d'analyse par modalité de traitement, selon la règle de classement**

Modalité de traitement	75 %		90 %	
	Fréquence	Pourcentage	Fréquence	Pourcentage
HD centre	23 291	35,5	22 386	34,1
Porteur de greffon	22 768	34,7	22 666	34,5
HD autodialyse	6 584	10,0	5 645	8,6
HD UDM	3 005	4,6	2 473	3,8
DPCA assistée	1 045	1,6	896	1,4
DPA non assistée	699	1,1	574	0,9
DPCA non assistée	470	0,7	377	0,6
Entraînement HD	279	0,4	212	0,3
HD domicile	246	0,4	189	0,3
DPA assistée	223	0,3	181	0,3

	75 %		90 %	
Entraînement DP	36	0,05	31	0,05
Transplanté de l'année	2 265	3,5	2 265	3,5
MIXTES	4 751	7,2	7 767	11,8
Total	65 662	100,0	65 662	100,0

## 2.2 Coût mensuel d'un patient prévalent stable sur la période de l'étude

### 2.2.1 Coût mensuel d'un patient prévalent stable selon la modalité de traitement

Les coûts moyens mensuels étaient très variables, notamment pour les modalités de traitement d'hémodialyse en centre et pour les porteurs de greffon. Pour ces deux modalités, les distributions des coûts étaient asymétriques à droite, avec un coefficient de symétrie (*skewness*) de 4,55 pour l'hémodialyse en centre et de 6,44 pour les porteurs de greffon. Le graphique ci-dessous indique la dispersion des coûts mensuels selon la modalité de traitement : les modalités HD en centre et porteur de greffon ont une forte dispersion, avec des valeurs extrêmes en termes de coûts mensuels. Les autres modalités de traitement ont une dispersion raisonnable des coûts mensuels.

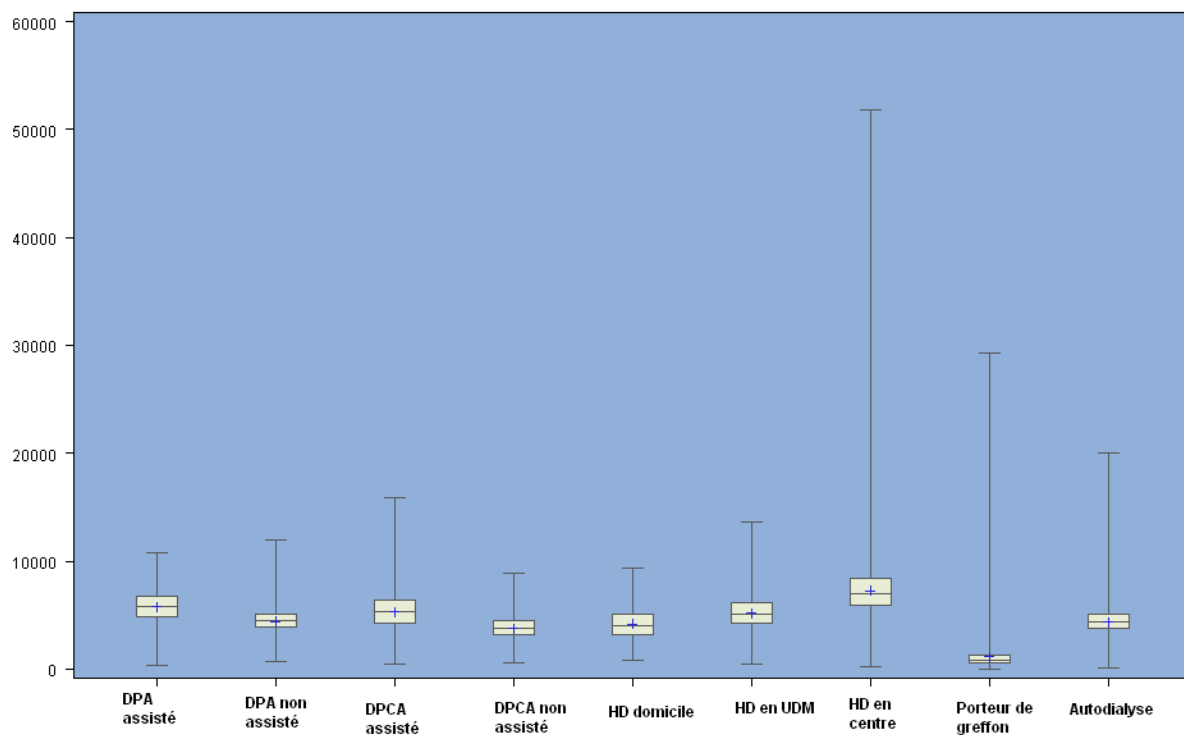
Pour les modalités « HD en centre et porteur de greffon », la forte dispersion des coûts mensuels a amené à réaliser une analyse des données extrêmes afin de s'assurer qu'il ne s'agissait pas de valeurs aberrantes.

Concernant la prise en charge en hémodialyse en centre, 3 patients avaient des coûts mensuels extrêmes supérieurs à 30 000 €. Ces patients avaient des profils médicaux associés à des coûts d'hospitalisation et de médicaments sur la liste en sus pouvant être observés en pratique.

Concernant la modalité « porteur de greffon », 5 patients avaient des coûts mensuels extrêmes supérieurs à 20 000 €. Ces coûts extrêmes correspondaient à des dépenses élevées de pharmacie, d'autres transplantations et de séances de chimiothérapie qui, d'un point de vue médical, semblaient réalistes.

Étant donné que ces données extrêmes ne paraissaient pas être des données aberrantes, elles ont été conservées dans l'analyse des coûts, et ont permis ainsi de prendre en compte la dispersion qui existait dans la prise en charge en vie réelle.

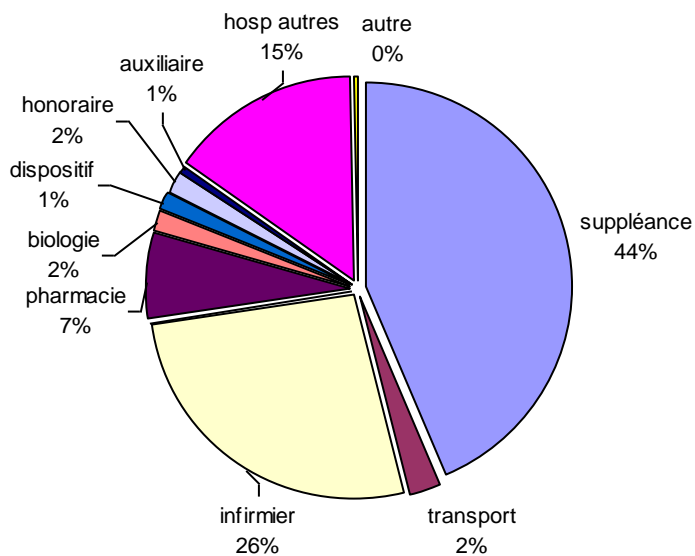
Figure 4. Variabilité des coûts mensuels par modalité de traitement



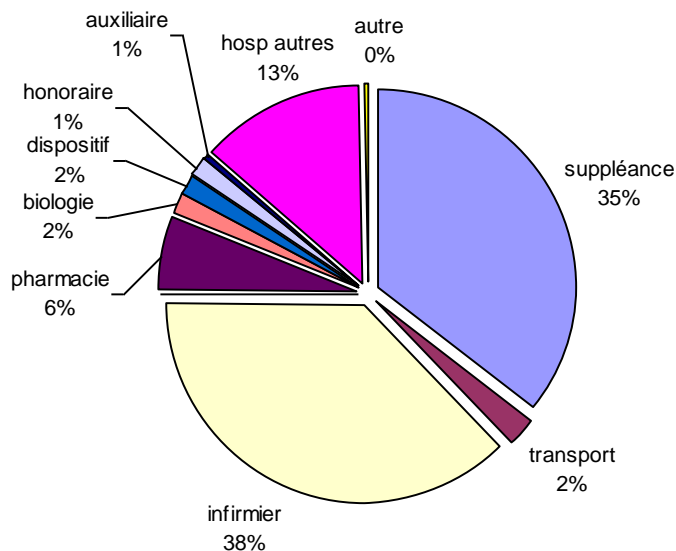
## 2.2.2 Coût mensuel d'un patient prévalent stable par poste de coût

Figure 5. Répartition (en %) des coûts mensuels par poste de coût, pour chaque modalité de traitement

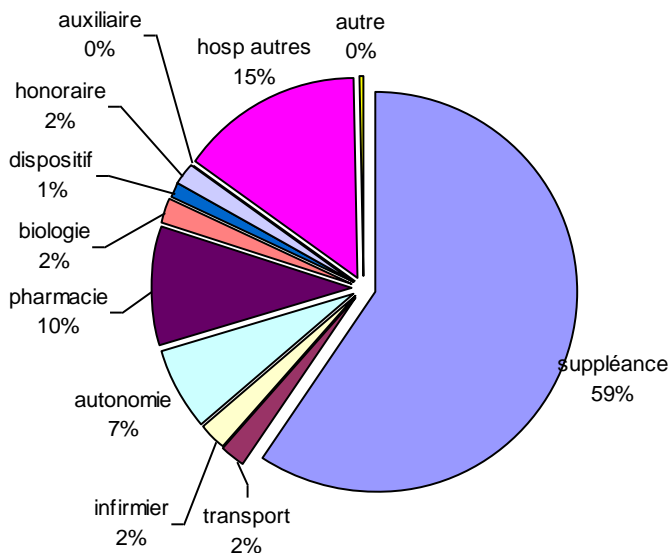
DPA assisté (Coût mensuel moyen tot = 5744€)



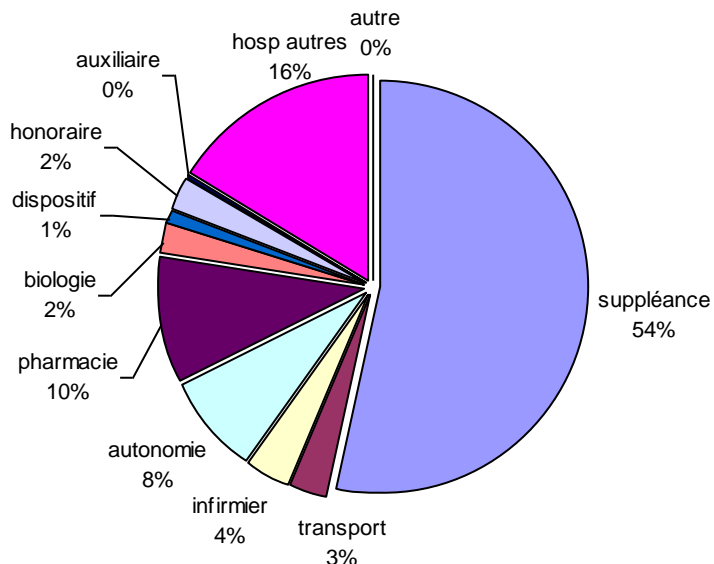
DPCA assisté (Coût mensuel moyen tot = 5337€)



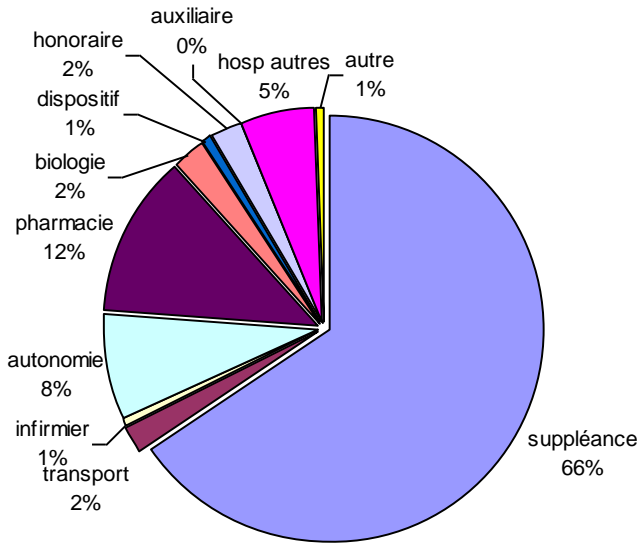
DPA non assisté (Coût mensuel moyen tot = 4419€)



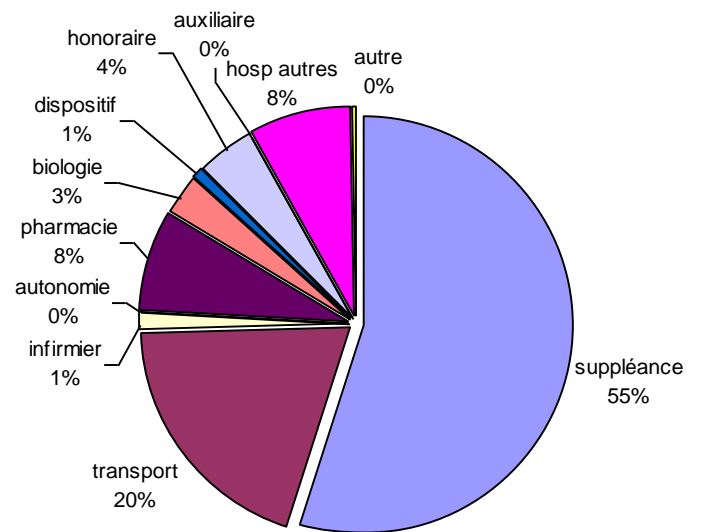
DPCA non assisté (Coût mensuel moyen tot = 3774€)



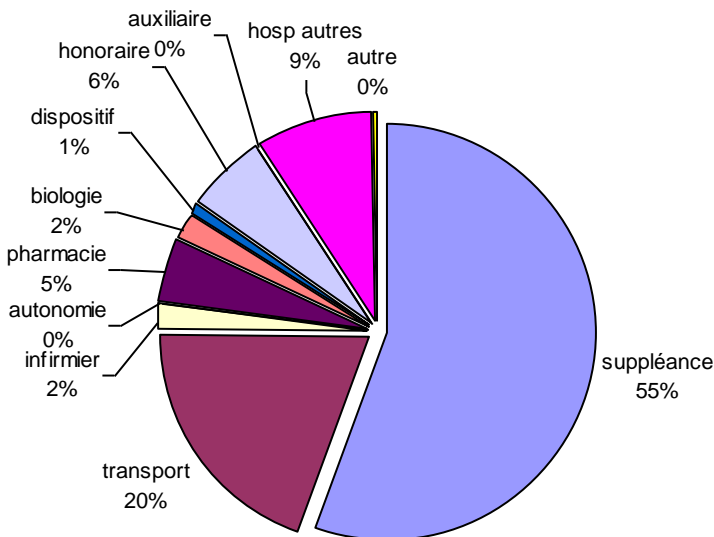
HD domicile (Coût mensuel moyen tot = 4173€)



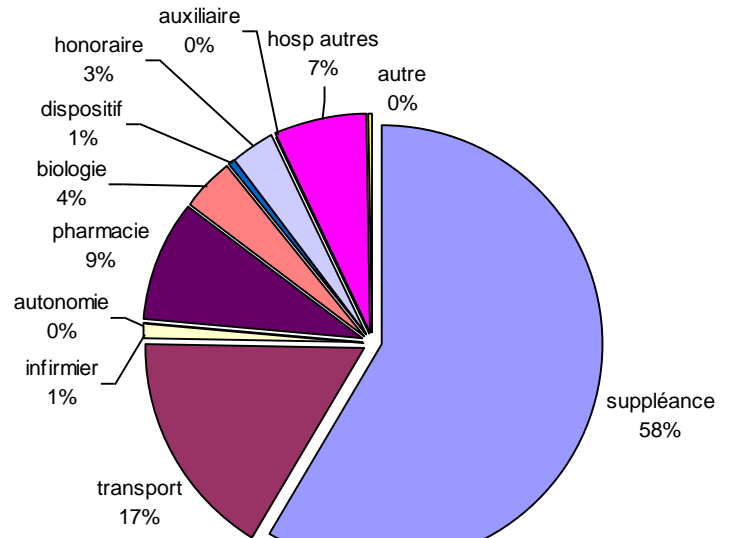
HD en UDM (Coût mensuel moyen = 5196€)



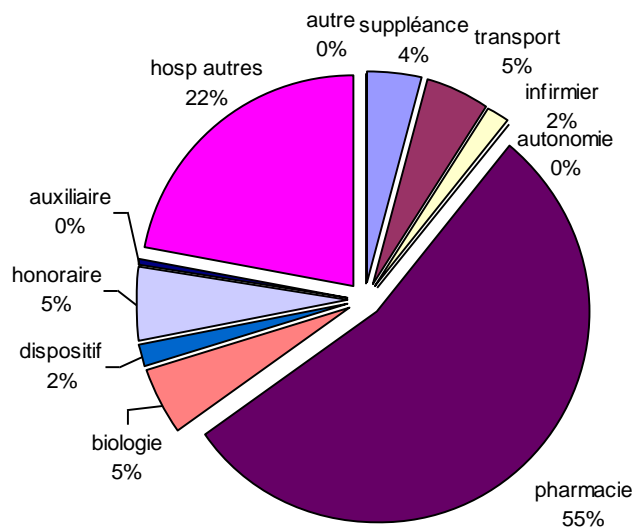
HD en centre (Coût mensuel moyen tot = 7253€)



Autodialyse (Coût mensuel moyen = 4 377€)



Porteur de greffon (Coût mensuel moyen = 1128€)



► **Focus sur la répartition des postes de coûts pour les patients prévalents stables pris en charge en HD centre**

**Tableau 21. Coût moyen mensuel et répartition (% colonne) d'un patient prévalent stable pris en charge en HD centre, par poste de dépense**

Poste de dépense	18-44 diabétique	18-44 non diabétique	45-69 diabétique	45-69 non diabétique	70+ ans diabétique	70+ ans non diabétique
Effectif	162	799	2 117	3 308	2 990	5 782
Traitement de suppléance	4 127	4 219	4 070	4 045	4 044	3 954
	49,7 %	61,0 %	50,9 %	58,1 %	52,3 %	57,2 %
Hospitalisations	1 251	515	916	630	720	518
	15,1 %	7,5 %	11,5 %	9,1 %	9,3 %	7,5 %
Transport	1 433	1 173	1 551	1 187	1 616	1 439
	17,3 %	17,0 %	19,4 %	17,0 %	20,9 %	20,8 %
Soins infirmiers	195	25	241	52	292	91
	2,3 %	0,4 %	3,0 %	0,8 %	3,8 %	1,3 %
Forfait dialyse tierce personne	0	0	0	0	0	0
	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %
Pharmacie	541	426	428	418	337	297
	6,5 %	6,2 %	5,4 %	6,0 %	4,4 %	4,3 %
Forfait dialyse tierce personne	0	0	0	0	0	0
	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %
Biologie	132	132	144	138	142	135
	1,6 %	1,9 %	1,8 %	2,0 %	1,8 %	2,0 %
Dispositif médicaux	176	34	133	46	91	49
	2,1 %	0,5 %	1,7 %	0,7 %	1,2 %	0,7 %
Honoraires	427	375	470	420	459	411
	5,1 %	5,4 %	5,9 %	6,0 %	5,9 %	5,9 %
Soins d'auxiliaires	10	2	16	7	22	12
	0,1 %	0,0 %	0,2 %	0,1 %	0,3 %	0,2 %
Autre	5	12	23	20	13	9
	0,1 %	0,2 %	0,3 %	0,3 %	0,2 %	0,1 %
Total	8 298	6 915	7 991	6 964	7 736	6 916

### 2.2.3 Analyse des causes d'hospitalisation des patients prévalents stables

Tableau 22. Répartition (effectif et % ligne) du coût associé à chaque cause d'hospitalisation, par modalité de traitement

Modalité de traitement	Infection liée au traitement	Infection non liée au traitement	Cancer	Cardio-vasculaire	Autre
DPA assisté	17 6 %	11 8 %	39 5 %	35 15 %	619 67 %
DPA non assisté	184 13 %	25 2 %	107 3 %	131 12 %	2 205 71 %
DPCA assisté	125 11 %	52 4 %	55 1 %	144 12 %	1 928 71 %
DPCA non assisté	104 14 %	16 3 %	71 4 %	88 16 %	955 63 %
HD domicile	4 3 %	13 5 %	49 6 %	57 28 %	185 58 %
HD en UDM	77 4 %	192 7 %	340 4 %	963 26 %	3 109 59 %
HD en centre	641 4 %	1 800 6 %	2 611 4 %	7 830 25 %	27 916 60 %
HD autodialyse	62 2 %	258 4 %	907 6 %	1 554 26 %	5 855 62 %
Porteur de greffon	1 951 11 %	0 0 %	5 368 14 %	2 000 12 %	20 067 63 %

### 2.3 Coût mensuel de prise en charge d'un patient transplanté

Tableau 23. Coût moyen le mois de la transplantation et le 6<sup>e</sup> mois, selon l'âge des patients et la présence de diabète

Âge et présence de diabète	Mois de la greffe		6 <sup>e</sup> mois de la greffe	
	Effectif	Moyenne	Effectif	Moyenne
18-44 ans diabétiques	50	27 009	20	2 751
18-44 ans non diabétiques	698	24 831	384	2 556
45-69 ans diabétiques	324	28 406	159	3 900
45-69 ans non diabétiques	1 077	25 263	571	2 486
70+ ans diabétiques	41	33 887	19	4 035
70+ ans non diabétiques	75	26 110	52	2 628



**Tableau 24. Poids (en %) des postes de dépenses dans les coûts moyens mensuels, le mois de la transplantation et les 6 mois suivants**

Part de chaque poste de dépense	Mois de la transplantation	Mois 1	Mois 2	Mois 3	Mois 4	Mois 5	Mois 6
Coût mensuel moyen (€)	25 802	6 363	5 229	4 458	3 565	2 974	2 730
Traitement de suppléance	89,7 %	14,9 %	15,1 %	18,4 %	14,7 %	12,4 %	12,7 %
Hospitalisations	1,8 %	26,2 %	25,1 %	23,7 %	27,3 %	24,3 %	22,2 %
Pharmacie	4,6 %	36,3 %	34,9 %	34,0 %	35,3 %	39,3 %	39,8 %
Transports	2,3 %	11,9 %	12,1 %	11,0 %	9,0 %	9,1 %	9,1 %
Biologie	0,8 %	5,3 %	6,4 %	6,6 %	7,2 %	7,2 %	7,8 %
Dispositif	0,2 %	1,3 %	1,4 %	1,3 %	1,2 %	1,8 %	1,7 %
Honoraire	0,5 %	2,4 %	2,9 %	2,9 %	3,1 %	3,4 %	3,9 %
IDE	0,1 %	1,6 %	2,1 %	2,0 %	2,1 %	2,4 %	2,7 %
Auxiliaires	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,1 %	0,1 %	0,1 %	0,1 %
Autres	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,1 %
Forfait dialyse tierce personne	0,1 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %	0,0 %

## 2.4 Coût mensuel de prise en charge d'un patient incident

**Tableau 25. Coût mensuel des patients incidents, par mois de traitement**

Mois	Effectif	Moyenne	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur	Écart-type
1 <sup>er</sup> mois de traitement	7 133	8 258	6 326	3 765	10 114	8 717
2 <sup>e</sup> mois de traitement	6 474	6 854	6 264	4 241	8 492	4 908
3 <sup>e</sup> mois de traitement	5 544	6 766	6 262	4 007	8 443	6 319
4 <sup>e</sup> mois de traitement	4 928	6 529	6 044	3 736	8 199	5 276
5 <sup>e</sup> mois de traitement	4 272	6 176	5 905	3 504	7 961	4 771
6 <sup>e</sup> mois de traitement	3 652	6 474	5 965	3 605	7 980	8 489
7 <sup>e</sup> mois de traitement	3 014	6 212	5 932	3 484	8 003	4 512
8 <sup>e</sup> mois de traitement	2 490	5 996	5 791	3 415	7 604	4 909
9 <sup>e</sup> mois de traitement	1 935	6 129	5 790	3 348	7 712	5 487
10 <sup>e</sup> mois de traitement	1 335	5 891	5 856	3 529	7 723	3 592
11 <sup>e</sup> mois de traitement	761	5 309	5 461	3 321	7 012	3 018

**Tableau 26. Coût de démarrage par poste de dépense, correspondant au 1<sup>er</sup> mois de traitement d'un patient incident**

Poste de dépense	Moyenne	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur	Écart-type
Coût mensuel total	8 258	6 326	3 765	10 114	8 717
Traitement de suppléance	3 105	2 062	713	3 595	4 987
Hospitalisations	2 993	631	0	3 789	7 007
Transports	751	420	114	1 059	934
Pharmacie	339	230	81	456	478
Biologie	230	88	0	342	389
Honoraires	608	192	40	683	1 041
IDE	136	5	0	68	335
Dispositif	70	0	0	64	206
Auxiliaires	13	0	0	0	60
Autres	7	0	0	0	142
Forfait dialyse tierce personne	4	0	0	0	33

Le tableau ci-dessous est utilisé pour le calcul du coût additionnel lié au démarrage de la dialyse dans le modèle évaluant l'efficacité. Pour calculer ce coût additionnel, les coûts moyens mensuels des patients prévalents stables par âge et présence de diabète selon la modalité HD ou DP (cf. tableau ci-dessous) ont été retranchés aux coûts du 1<sup>er</sup> mois de traitement des patients incidents.

**Tableau 27. Coût moyen mensuel de traitement des patients prévalents stables selon l'âge, la présence de diabète et la technique de traitement DP et HD, utilisé pour le calcul du coût additionnel lié au démarrage de la dialyse**

Âge et présence de diabète	Modalité	Effectif	Moyenne	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur	Écart-type
18-44 ans diabétiques	DP	21	5 664,53	5 755,69	3 980,40	6 064,10	2 242,71
	HD	259	7 275,00	6 992,43	5 579,18	8 517,90	2 624,47
18-44 ans non diabétiques	DP	120	4 051,20	4 164,95	3 373,26	4 999,98	1 499,57
	HD	2 170	5 213,84	4 928,46	3 906,35	6 324,33	2 374,14
45-69 ans diabétiques	DP	172	5 251,96	4 878,38	4 073,65	6 306,64	1 965,07
	HD	3 156	7 109,65	6 915,83	5 460,05	8 664,33	2 491,33
45-69 ans non diabétiques	DP	360	4 394,57	4 372,09	3 610,71	5 159,83	1 561,76
	HD	6 680	5 719,90	5 555,26	4 325,69	6 899,01	2 364,44
70+ ans diabétiques	DP	289	5 559,08	5 543,24	4 503,78	6 529,60	1 868,44
	HD	3 642	7 270,06	7 150,29	5 861,56	8 628,78	2 210,24
70+ ans non diabétiques	DP	611	4 562,17	4 623,42	3 539,41	5 565,72	1 625,40
	HD	7 955	6 291,32	6 204,24	4 996,52	7 515,60	2 050,55

### **Annexe 3. Caractéristiques et étapes de construction du modèle à compartiments**

## 1. Objectif de la modélisation

L'objectif était d'évaluer l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge de l'IRCT, en prenant en compte les trajectoires des patients entre les modalités de traitement au cours du temps.

Pour répondre à cet objectif, une modélisation de changements d'états sur données groupées en temps continu (ou modèle à compartiments), a été mise en œuvre. Elle permet de modéliser, à partir d'une cohorte de patients incidents en IRCT, les changements de volume des différents compartiments ou des transitions entre ces compartiments ; un compartiment étant défini comme un volume de patients dans une modalité de traitement donnée à un instant donné.

Ce type de modèle a permis dans un premier temps d'estimer, à partir des données observées dans REIN, les taux de transitions entre les différents compartiments et, dans un deuxième temps, de faire des simulations sur le devenir d'une cohorte de patients incidents.

De nouveaux scénarios de pratiques ont pu ainsi être envisagés et leurs impacts, en termes d'espérance de vie et de coût, estimés.

La complexité de ce type de modèle et le nombre important de paramètres à estimer a nécessité de procéder en plusieurs étapes.

Ce modèle a été construit par deux ingénieurs du Service de biostatistique des hospices civils de Lyon (P<sup>r</sup> Ecochard), dans le cadre d'un contrat de sous-traitance établi par la HAS. Ce contrat se justifiait par la nécessité d'avoir recours à des compétences spécifiques d'une équipe de biostatisticiens spécialisés dans les modèles complexes.

## 2. Données utilisées dans le modèle : les données du registre REIN (Réseau Épidémiologie et Information en Néphrologie).

Les données sources, permettant d'alimenter le modèle et d'estimer les paramètres, provenaient des données du registre REIN des traitements de suppléance en France (40).

### 2.1 Présentation des données du registre REIN

#### ► Organisation du réseau

Le « Réseau Épidémiologie et Information en Néphrologie » (REIN) est un système d'information d'intérêt commun aux malades et aux professionnels de santé, et plus largement aux acteurs, décideurs et institutions concernés par les problématiques que soulèvent les traitements de suppléance de l'insuffisance rénale chronique dans le champ de la santé publique. REIN a pour finalité de contribuer à l'élaboration et à l'évaluation de stratégies sanitaires, visant à améliorer la prévention et la prise en charge de l'insuffisance rénale chronique. Son objectif général est de décrire l'incidence et la prévalence des traitements de suppléance de l'insuffisance rénale chronique, les caractéristiques de la population traitée, la mortalité et les modalités de traitement au moyen d'un enregistrement exhaustif et continu d'informations sur les patients.

L'organisation du REIN repose sur une collaboration étroite entre les professionnels de santé, l'Assurance maladie, le ministère de la Santé, l'Agence de la biomédecine, l'Institut de veille sanitaire, la Haute Autorité de Santé, l'Inserm, les universités, les sociétés savantes et les patients, tant au niveau national qu'au niveau régional. L'Agence de la biomédecine constitue le support institutionnel du réseau. L'organisation se construit autour d'un dispositif contractuel qui définit les modalités de collaboration et la contribution de chacun (41).

L'échelon national comporte un Groupe de pilotage, un Conseil scientifique et une Cellule de coordination nationale. Le Groupe de pilotage est l'instance de gouvernance du réseau. Le Conseil scientifique oriente la politique scientifique du réseau. Il est le garant auprès de la communauté néphrologique de la bonne utilisation des données du registre, conformément à la charte de l'information.

Les échelons locaux du réseau sont les unités de prise en charge des patients qui recueillent les informations.

#### ► Organisation du recueil des informations

Le recueil des informations se fait dans les unités de prise en charge des patients, à partir du dossier médical. Les informations sont ensuite saisies sur une base informatique, selon diverses modalités soit de façon délocalisée dans les unités de prise en charge, soit de façon regroupée au niveau d'un point de saisie régional.

Le recueil des informations concernant la greffe se fait par l'application CRISTAL (application nationale de gestion de la liste d'attente de greffe et de l'attribution d'organes) développée à l'Agence de la biomédecine (42).

Pour les données concernant la dialyse, le respect des dynamiques régionales existantes a conduit au développement d'outils de recueil variables selon les régions (informatique ou papier, centralisé ou délocalisé). Cette approche pragmatique a eu pour avantage d'accélérer le démarrage du dispositif et son appropriation mais, pour inconvénient, outre les coûts de développement et de maintenance, de rendre plus complexe l'agrégation des données, avec un risque d'hétérogénéité des données qui doit être géré. À terme, l'ensemble des régions se servira de l'outil DIADEM développé par l'Agence de la biomédecine, actuellement disponible dans 25 régions (dernière région

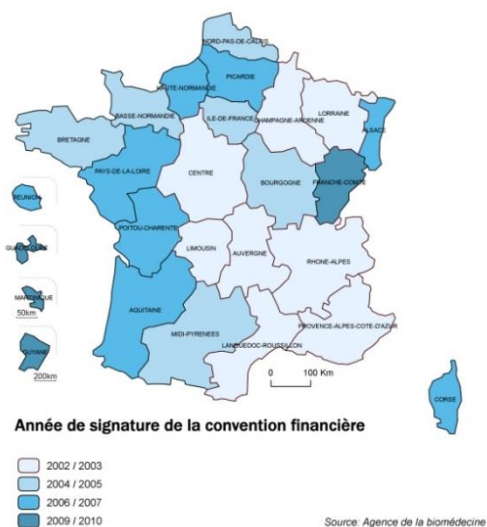
en cours de migration : Île-de-France). Cette application s'intègre dans le système d'information de l'Agence de la biomédecine, de manière à utiliser les dispositifs de sécurité et de confidentialité déjà mis en place (portail d'accès et authentification des utilisateurs) et les applications déjà existantes (gestion des annuaires et référentiels). En outre, cette application DIADEM partage des ressources avec CRISTAL, notamment en ce qui concerne l'identification unique des patients et la gestion des formulaires de saisie, permettant une approche par trajectoire.

### ► Informations disponibles

Depuis 2002, le Réseau Épidémiologie et Information en Néphrologie s'est développé progressivement sur l'ensemble du territoire français (figure 1). Début 2011, les 26 régions françaises avaient intégré le Réseau.

REIN repose sur l'enregistrement continu et exhaustif d'un nombre limité d'informations pour l'ensemble des malades. Les informations recueillies comportent des données relatives à l'identification des malades et des structures de prise en charge, la maladie rénale initiale, l'état clinique, les modalités de traitement, ainsi que les données relatives au donneur en cas de greffe rénale. Ces malades sont également suivis, au moyen de l'enregistrement continu d'un certain nombre d'événements (changements de méthode ou de modalité de prise en charge en dialyse, transferts entre structure, arrêt du traitement pour récupération de la fonction rénale, greffe rénale, arrêt fonctionnel du greffon, décès) et d'un point annuel.

**Figure 6. Régions participant au registre REIN selon l'année de signature de la convention financière**



## 2.2 Utilisation des données du registre REIN dans le modèle

Un travail important de préparation de la base de données à partir des informations disponibles dans le registre REIN a été nécessaire.

La base de données étudiée contient des informations sur 37 142 patients incidents (patients pour lesquels la date de début de traitement est postérieure à la date d'entrée dans le registre) et 30 141 patients prévalents (patients pour lesquels la date de début de traitement est antérieure à la date d'entrée dans le registre).

La trajectoire de chaque patient a été reconstituée mois après mois<sup>4</sup> en distinguant plusieurs états :

- traités par une hémodialyse en centre, en unité de dialyse médicalisée, en autodialyse ou à domicile (4 états d'hémodialyse) ;
- traités par une dialyse péritonéale automatisée ou continue ambulatoire, assistée ou non par une infirmière (4 états de dialyse péritonéale) ;
- greffé à partir d'un donneur vivant ou d'un donneur cadavérique (2 états) ;
- décédés (état absorbant) ;
- sevrés (récupération de la fonction rénale permettant l'arrêt de la dialyse) ou perdu de vue (transfert dans une région non encore dans le registre) ;
- tronqués : représentant les patients vivants au 31/12/2010 (état absorbant).

<sup>4</sup> Afin de suivre les patients chaque mois après leur mise en traitement, les données de chaque patient ont été découpées en intervalle de 30,4375 jours (365,25/12). De plus, en cas de changement(s) d'état au cours d'un mois, la ligne est à nouveau décomposée afin de prendre en compte la contribution du patient dans chacun des états.

### 3. Apport d'un modèle statistique dans l'analyse des trajectoires des patients en IRCT

#### 3.1 Limites d'une analyse descriptive basée uniquement sur les volumes observés

L'observation du nombre de patients par techniques ou modalités à différents pas de temps ne permettait pas de rendre compte des passages d'un traitement de suppléance vers un autre. Les flux (entrants et sortants) de patients par technique et/ou modalités apparaissaient comme des données essentielles à prendre en compte dans l'analyse de la prise en charge et de l'offre de soins.

La mise en œuvre d'un modèle à compartiments a permis de modifier les taux de transition entre différentes modalités de traitement, et ainsi de permettre d'évaluer les impacts de changements de prise en charge.

#### 3.2 Description des trajectoires de patients en IRCT

La trajectoire complète d'un patient en IRCT, c'est-à-dire la succession des différentes modalités de traitement reçues, commence le jour du premier traitement de suppléance et se termine le jour du décès.

Au moment de l'étude, il n'était pas possible de décrire, à partir des données du registre REIN, l'ensemble des trajectoires des patients en IRCT. En effet, la reconstruction des trajectoires à partir des données disponibles dans le registre posait les deux difficultés majeures suivantes :

► **Un certain nombre de trajectoires observées sur les patients incidents sont dites « tronquées à droite »**

Afin de démarrer la description des trajectoires, il convenait idéalement de ne considérer que les nouveaux patients à partir de la date de leur premier traitement. Pour les premières régions ayant démarré en 2002, le recul n'était pas assez important pour avoir le temps d'observer des trajectoires complètes (jusqu'au décès) pour les patients avec une survie prolongée. Au 31/12/2010, le délai observé, sur l'ensemble de la cohorte de nouveaux patients dans REIN, entre le premier événement (démarrage du traitement de suppléance) et le dernier événement n'était que de 15,2 mois en médiane (avec un maximum de 103 mois).

Ainsi, des trajectoires complètes n'étaient disponibles que pour les patients avec une survie courte, soit essentiellement les patients âgés avec de nombreuses comorbidités. Ces patients ont souvent des trajectoires simples (peu de changement de modalités). Pour les autres patients, l'information sur leur trajectoire s'arrêtait à la date des dernières informations disponibles (« troncature à droite »). De ce fait, la place de la transplantation rénale pouvait notamment être sous-estimée en raison du délai nécessaire pour accéder à un greffon.

► **Les trajectoires observées sur les patients prévalents sont dites « tronquées à gauche »**

Le registre possède également des données sur les patients présents au moment du démarrage de la région dans le registre. On ne possède pas d'information sur leurs trajectoires entre le jour du premier traitement de suppléance et le jour de l'inclusion dans REIN (« troncature à gauche »), cependant ce délai est connu. A partir de leur inclusion dans le registre, il est possible de suivre leur trajectoire.



Les informations sur ces patients prévalents ont permis d'avoir une projection des données sur des trajectoires allant jusqu'à plus de 30 ans, et ainsi de diminuer l'incertitude sur les « fins » de trajectoires.

► **Contourner le problème lié aux troncatures**

Afin de contourner ce problème, il existe des modèles statistiques qui permettent de tenir compte de ce phénomène de données incomplètes. Chaque patient participe à l'information globale sur la période d'observation dont on dispose pour lui.

Un modèle statistique adapté aux phénomènes dynamiques permet d'introduire de l'information provenant des patients incidents et des patients prévalents (*late entry*). Les patients prévalents sont considérés dans le modèle en tenant compte de leur ancienneté depuis leur premier traitement.

## 4. Principales étapes de la construction du modèle à compartiments

Pour faire face à la complexité inhérente à ce type de modèle, une démarche progressive a été adoptée afin de vérifier, à chaque étape, la faisabilité, la pertinence des résultats et leur cohérence avec ce que l'on pouvait observer dans la pratique.

Dans un premier temps, une étude de faisabilité a été réalisée en ne prenant en compte que 3 modalités de traitement. Les taux de transition ont été estimés à partir d'un modèle de Markov, sur la base des données observées dans le registre REIN ; la simulation d'une cohorte de patients incidents (modèle de prédiction) a été réalisée à partir d'un modèle de Markov caché. Cette première étape a permis de tester la méthode et de mettre en évidence les difficultés liées à la complexification du modèle.

Dans un second temps, un modèle prenant en compte les 10 modalités de traitement a été réalisé. Avec 10 modalités de traitement, il n'a pas été possible d'estimer en même temps l'ensemble des taux de transitions entre les différents compartiments (modèle complet). Les taux de transitions ont donc été estimés par des modèles mono-compartiments (1 modèle pour chaque modalité de traitement et par intervalle de temps). La simulation d'une cohorte de patients incidents (modèle de prédiction) a été réalisée à partir d'un modèle structurel déterministe.

L'estimation des paramètres a été réalisée sur les 180 premiers mois de suivi. L'unité de temps utilisé était le mois.

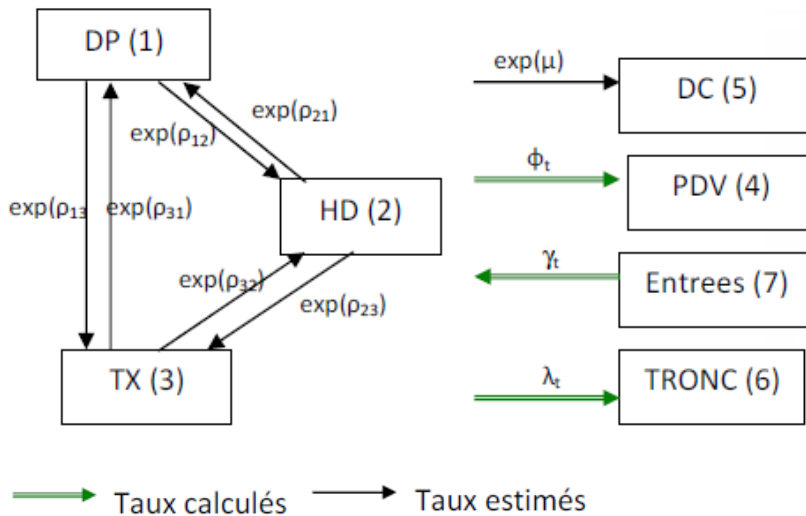
### 4.1 Étude de faisabilité : modèle simple avec trois modalités de traitement

Un premier modèle « simple » prenant en compte uniquement 3 modalités de traitement (hémodialyse toutes modalités de prise en charge confondues, dialyse péritonéale sans distinction des techniques, greffe rénale tout donneur) a été développé (cf. Figure 2).

Outre les 3 compartiments associés aux 3 modalités de traitement, les autres compartiments pris en compte dans ce modèle simple étaient les suivants :

- le compartiment « décédé » (« DC ») ; il s'agissait d'un état absorbant, aucun flux ne sortait de ce compartiment ;
- le compartiment « TRONC » représentait les patients tronqués à droite : patients vivants au 31/12/2010 ; il s'agissait aussi d'un état absorbant ;
- le compartiment « PDV » représentait les patients perdus de vue : patients sortis de l'étude au cours de leur suivi, mais susceptibles de revenir dans l'étude ;
- le compartiment « Entrées » représentait les patients prévalents ou perdus de vue qui revenaient dans le suivi.

Figure 7. Schéma simplifié du modèle à compartiments



Deux étapes étaient nécessaires à la construction de l'outil de simulation :

- **Étape 1 : Estimation des paramètres du modèle**

L'estimation des paramètres du modèle ( $\rho_{12}$ ,  $\rho_{21}$ ,  $\rho_{13}$ ,  $\rho_{31}$ ,  $\rho_{12}$ ,  $\rho_{21}$ ,  $\rho_{23}$ ,  $\rho_{32}$ ,  $\mu_1$ ,  $\mu_2$ ,  $\mu_3$ ,  $\lambda_t$ ,  $\Phi_t$ ,  $\gamma_t$ ), c'est-à-dire des taux de transition entre les compartiments, a été faite à partir d'un modèle de Markov, sur la base des données du registre REIN.

En pratique, on part de la valeur observée au temps  $t$  pour estimer le temps  $t + 1$ . Autrement dit, on utilise les effectifs réels des compartiments au temps  $t$  pour estimer leurs effectifs au temps  $t + 1$ . Ce modèle permet d'estimer les paramètres qui déterminent les flux entre les compartiments.

Les équations à résoudre lors de l'estimation des paramètres étaient les suivantes :

$$\frac{dDP}{dt} = -\exp(\rho_{12})DP_t + \exp(\rho_{21})HD_t - \exp(\rho_{13})DP_t + \exp(\rho_{31})TX_t - \exp(\mu_1)DP_t - \lambda_t^{DP} DP_t - \phi_t^{DP} DP_t + \gamma_t^{DP} ENTREES_t$$

$$\frac{dHD}{dt} = -\exp(\rho_{21})HD_t + \exp(\rho_{12})DP_t - \exp(\rho_{23})HD_t + \exp(\rho_{32})TX_t - \exp(\mu_2)HD_t - \lambda_t^{HD} HD_t - \phi_t^{HD} HD_t + \gamma_t^{HD} ENTREES_t$$

$$\frac{dTX}{dt} = -\exp(\rho_{31})TX_t + \exp(\rho_{13})DP_t - \exp(\rho_{32})TX_t + \exp(\rho_{23})HD_t - \exp(\mu_3)TX_t - \lambda_t^{TX} TX_t - \phi_t^{TX} TX_t + \gamma_t^{TX} ENTREES_t$$

$$\frac{dDC}{dt} = \exp(\mu_1)DP_t + \exp(\mu_2)HD_t + \exp(\mu_3)TX_t + \gamma^{DC} ENTREES_t$$

Les taux vers les compartiments TRONC ( $\lambda_t$ ) et PDV ( $\phi_t$ ) ainsi que les taux d'Entrées ( $\gamma_t$ ) n'ont pas été estimés, dans la mesure où il s'agissait des taux réels calculés pour chaque mois.

Le calcul des taux du compartiment Entrées vers les autres compartiments consistait à prendre en compte l'information disponible dans les données du registre REIN concernant les patients prévalents. L'introduction de ces informations a permis de renseigner avec davantage de fiabilité les fins de trajectoire (jusqu'à 180 mois), notamment pour les trajectoires longues. Au-delà de 15 ans de suivi, les effectifs étaient trop faibles pour estimer avec confiance les taux de transition.

- **Étape 2 : Prédiction du modèle**

Cette étape de simulation a permis de simuler le devenir d'une cohorte de patients incidents au cours des 15 premières années du traitement de suppléance (180 mois).

Les paramètres estimés avec le modèle précédant (étape 1) ont été utilisés pour alimenter un modèle de Markov caché et ainsi prédire le nombre moyen de personnes dans chacun des compartiments par mois.

Dans ce modèle, les effectifs au temps d'ancienneté 0 dans les différents compartiments correspondent à ceux observés dans le registre REIN à partir de laquelle les paramètres ont été estimés. Ces effectifs ont été utilisés pour prédire les valeurs aux temps suivants.

Les troncatures, les perdus de vue et les entrées n'ont pas été modélisés, car ces observations étaient liées à la construction du registre REIN et à la disponibilité des données selon les modes de recueil.

Les équations à résoudre à partir des paramètres estimés précédemment étaient les suivantes :

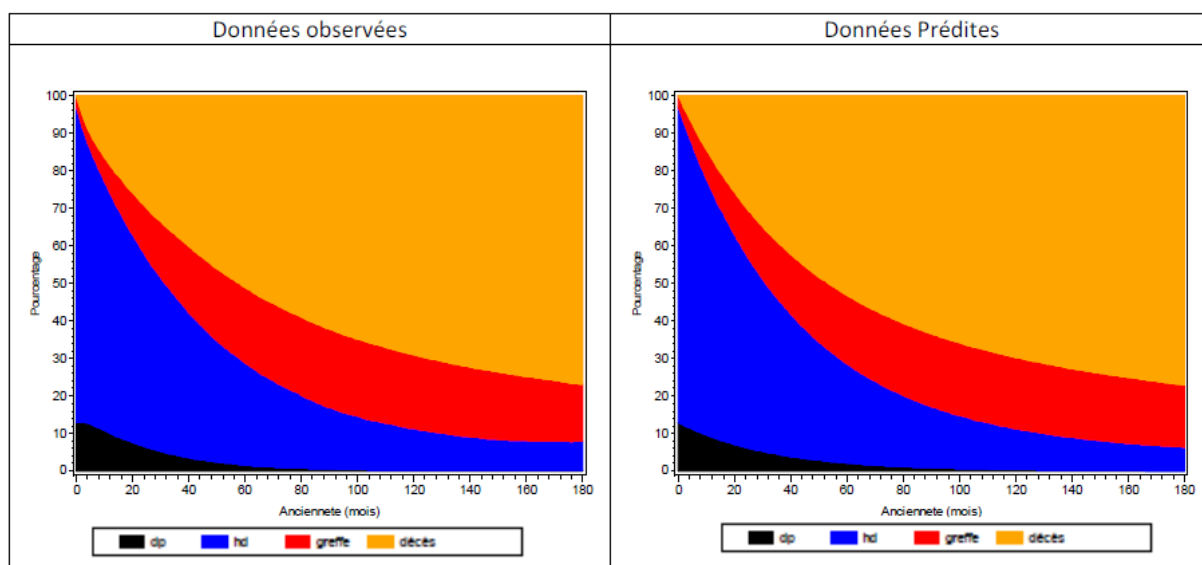
$$\frac{dDP}{dt} = -\exp(\rho_{12})DP_t + \exp(\rho_{21})HD_t - \exp(\rho_{13})DP_t + \exp(\rho_{31})TX_t - \exp(\mu_1)DP_t$$

$$\frac{dHD}{dt} = -\exp(\rho_{21})HD_t + \exp(\rho_{12})DP_t - \exp(\rho_{23})HD_t + \exp(\rho_{32})TX_t - \exp(\mu_2)HD_t$$

$$\frac{dTX}{dt} = -\exp(\rho_{31})TX_t + \exp(\rho_{13})DP_t - \exp(\rho_{32})TX_t + \exp(\rho_{23})HD_t - \exp(\mu_3)TX_t$$

$$\frac{dDC}{dt} = \exp(\mu_1)DP_t + \exp(\mu_2)HD_t + \exp(\mu_3)TX_t$$

La comparaison des effectifs obtenus aux effectifs observés dans les compartiments associés aux 3 modalités de traitement et au décès a permis de vérifier visuellement l'adéquation du modèle pour chaque pas de temps (mois).



## 4.2 Modèle avec 10 modalités de traitement

Le modèle a par la suite été étendu à l'ensemble des 10 modalités de traitement :

- hémodialyse en centre, en unité de dialyse médicalisée, en autodialyse et à domicile : 4 compartiments d'hémodialyse ;
- dialyse péritonéale automatisée ou continue ambulatoire, assistée ou non par une infirmière : 4 compartiments de dialyse péritonéale ;
- transplantation à partir d'un donneur vivant ou d'un donneur cadavérique : 2 compartiments.

Du fait de différences de trajectoires selon l'âge des patients et la présence ou non de diabète, six sous-populations ont été définies : présence d'un diabète oui/non et âge [18–45], [45–70], 70 et plus, à l'initiation du traitement de suppléance.

- **Étape 1 : Estimation des paramètres du modèle**

- Estimation des paramètres à l'aide des modèles monocompartment

Avec dix modalités de traitement et un compartiment décès, il n'a pas été possible d'estimer en même temps (modèle complet) l'ensemble des taux de transitions entre les différents compartiments. Si aucune transition n'est fixée à zéro, cela implique l'estimation de 100 taux de transitions entre les compartiments.

L'avantage du modèle à compartiments est qu'il peut être divisé en sous-modèles indépendants les uns des autres (modèle monocompartment), grâce aux règles associées aux modèles de Markov : des solutions exactes (dites explicites) existent pour estimer de façon non paramétrique les paramètres de chaque sous-modèle.

Cette méthode permet d'estimer les taux moyens de sorties d'un compartiment représentant une modalité de traitement vers les autres compartiments sur un intervalle de temps, en utilisant un modèle de survie avec risques concurrents. Le nombre de patients par mois à risque de sortir d'un compartiment donné sur un intervalle de temps a été calculé à partir des données du registre REIN.

Étant donné l'évolution des taux de transitions au cours du temps, ces estimations ont été réalisées pour l'ensemble des taux sur 7 intervalles de temps : [0 mois–6 mois], [6 mois–12 mois], [12 mois–18 mois], [18 mois–24 mois], [24 mois–36 mois], [36 mois–60 mois] et [60 mois–180 mois]. Ce sont ainsi 700 taux de transitions qui ont été estimés dans chacun des 6 sous-groupes de patients, soit plus de 3 000 taux de transitions.

- Calcul des paramètres des compartiments Sorties et Entrées dans le modèle complet

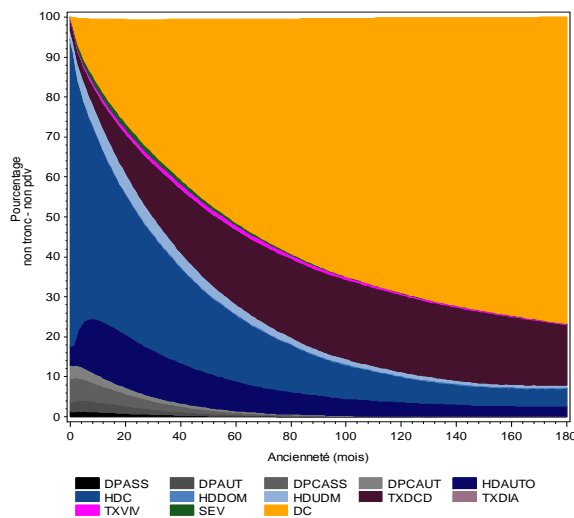
Le modèle prédit les effectifs au temps  $t+1$  à partir des patients présents au temps  $t$ . Au cours de cet intervalle de temps, plusieurs patients sont tronqués à droite ou perdus de vue, de même sont introduits les patients prévalents à leur date d'ancienneté (troncature à gauche ou *late-entry*).

Les taux vers le compartiment Sorties et Entrées ont été calculés à chaque pas de temps. La méthode utilisée pour calculer ces taux sur le modèle complet était la même que celle utilisée dans le modèle simple à 3 modalités de traitement.

De même que dans le modèle à 3 modalités, le calcul des taux du compartiment Entrées vers les autres compartiments a permis de prendre en compte l'information sur les prévalents, et de renseigner les fins de trajectoire jusqu'à 180 mois.

La répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en insuffisance rénale terminale est représentée dans la Figure 8.

**Figure 8. Répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en insuffisance rénale terminale (données observées)**



- **Étape 2 : Prédiction du modèle**

Cette étape de simulation a permis de prédire le devenir d'une cohorte de patients incidents au cours des 15 premières années sans traitement de suppléance (180 mois), en prenant en compte l'ensemble des modalités de traitement et les caractéristiques des patients (selon l'âge et la présence ou non de diabète).

Les paramètres estimés dans les modèles monocompartiments (étape 1) ont été utilisés dans un modèle structurel déterministe dans le cas des 10 modalités de traitement. Ce modèle n'introduit pas d'aléas, les flux prédits entre les compartiments sont des flux moyens, mais il permet de prédire le nombre moyen de personnes dans chacun des compartiments par intervalle de temps. Les sorties, les perdus de vue et les entrées n'ont pas été modélisés en prédiction, car ces observations étaient liées à la construction du registre REIN et à la disponibilité des données selon les modes de recueil.

Dans ce modèle, seules les valeurs observées au temps 0 d'ancienneté ont été utilisées pour prédire les valeurs aux temps suivants.

Pour des raisons de temps de calcul et de convergence, en présence de 700 transitions mises en œuvre à chaque simulation, un modèle de Markov caché n'a pas été utilisé à ce stade.

Cet outil de simulation, alimenté par les paramètres estimés, peut servir à simuler des scénarios de changement. En pratique, ces scénarios « alternatifs » ont consisté à modifier la répartition initiale des patients dans les différents compartiments au temps 0 ou à modifier un ou plusieurs taux de transition entre les modalités de traitement.

## **5. Résultats et contrôle de l'adéquation du modèle avec l'ensemble des modalités de traitement**

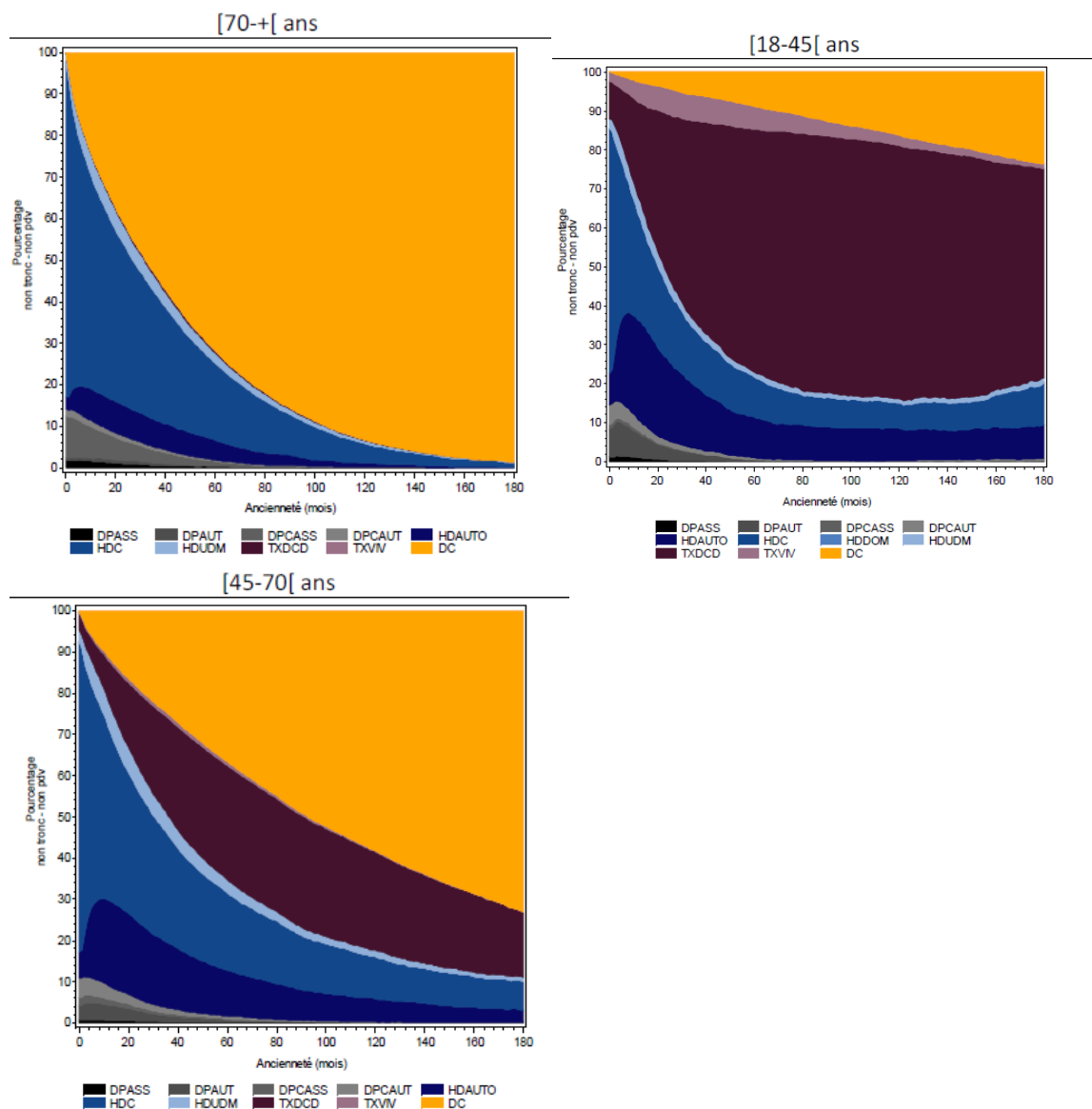
### **5.1 Données observées dans le registre**

La description des données du registre REIN, prenant en compte les 10 modalités de traitement, a été représentée sous forme de graphiques. Ces graphiques représentaient les proportions de patients dans les compartiments correspondants aux modalités de traitement et au décès, pour chacun des temps d'ancienneté, en supprimant les patients tronqués ou perdus de vue jusqu'à 180/mois de suivi (soit 15 ans).

La description des données a été présentée dans un document annexe, réalisé par l'équipe du service de biostatistiques des HCL, et transmis à la HAS en mars 2012.

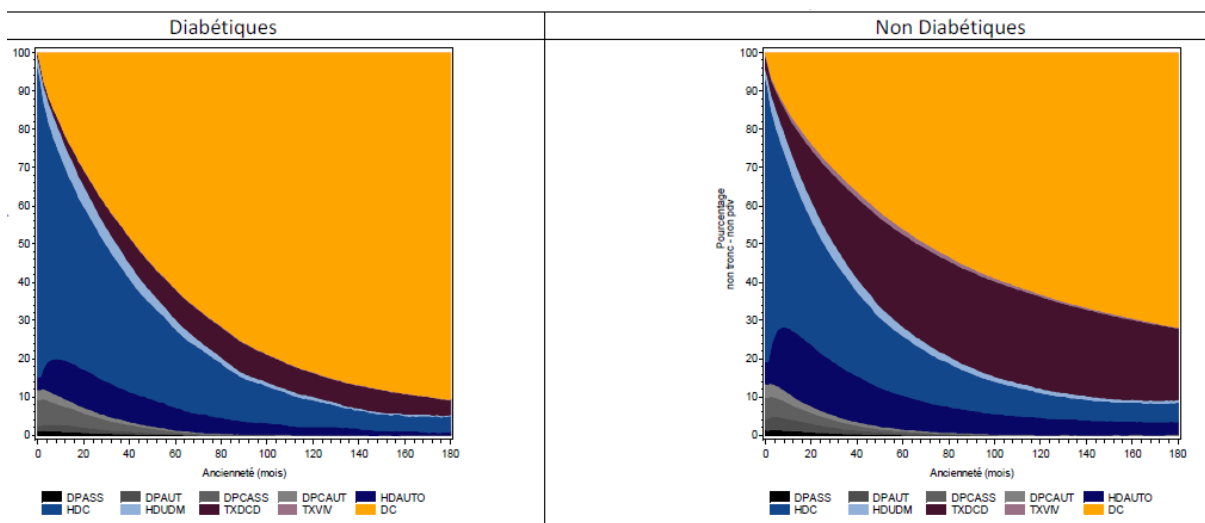
Les Figure 9 et Figure 10 (ci-dessous) illustrent les effets de l'âge et de la présence de diabète sur le devenir d'une cohorte de patients démarrant un traitement de suppléance, justifiant a posteriori le choix d'un travail en sous-groupe.

Figure 9. Répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en insuffisance rénale terminale et selon l'âge à l'initiation du traitement de suppléance (données observées)





**Figure 10. Répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en insuffisance rénale terminale et selon le statut diabétique à l'initiation du traitement de suppléance (données observées)**



## 5.2 Paramètres estimés

Les estimations des paramètres ont été réalisées à partir de l'ensemble des informations disponibles du registre REIN pour les 67 283 patients.

À titre d'exemple, dans la Figure 11 sont représentés les taux calculés entre le compartiment DPA autonome et le compartiment décès, en fonction du temps.

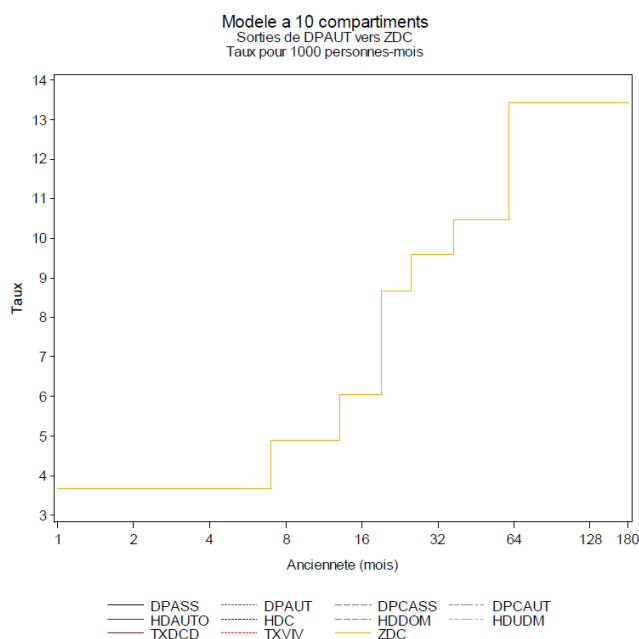
Sur les 6 premiers mois, le taux était proche de 4, soit 4 décès observés pour 1 000 personnes traités pendant 1 mois ; puis le taux augmentait. Au-delà de 60 mois, le taux avoisinait les 13 décès pour 1 000 personnes/mois.

Dans la Figure 12 sont représentés les taux calculés entre le compartiment HD autodialyse et les compartiments transplantation (donneur vivant et décédé), en fonction du temps.

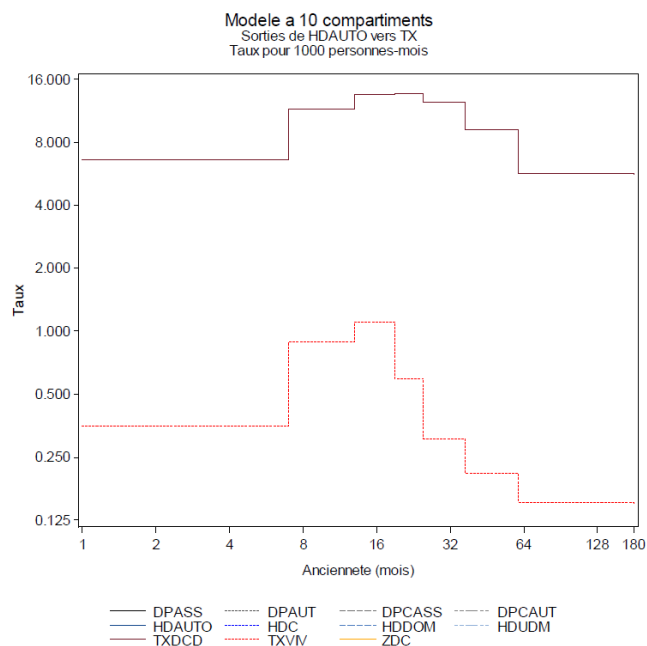
Les taux vers la transplantation à partir de donneur vivant étaient faibles, aux alentours de 0,5 pour 1 000 patients/mois alors qu'ils étaient 20 fois plus élevés pour les taux vers la transplantation à partir de donneur cadavérique.

Les taux de transferts vers la transplantation à partir de donneurs vivants étaient les plus élevés entre 6 et 18 mois, pour baisser rapidement ensuite. À l'inverse, les transferts vers la transplantation à partir de donneurs décédés étaient relativement stables entre 6 et 60 mois

**Figure 11. Représentation des taux calculés entre le compartiment DPA autonome et le compartiment décès, en fonction du temps**



**Figure 12. Représentation des taux calculés entre le compartiment HD autodialyse et les compartiments transplantation, en fonction du temps**



### 5.3 Contrôle de l'adéquation du modèle à compartiments avec l'ensemble des modalités de traitement

La population initiale a été séparée en deux échantillons, la première partie a été utilisée pour estimer les taux de transition à l'aide des modèles monocompartmentaux et l'autre a été utilisée pour

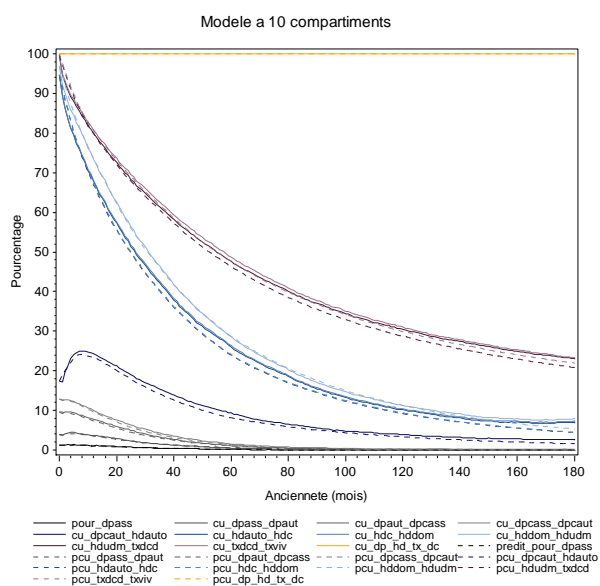
prédire les effectifs dans chacun des compartiments à l'aide du modèle structurel déterministe et des taux calculés à partir de la première moitié de la population.

La séparation du jeu de données a été réalisée en prenant un individu sur deux. Chacun des deux sous-groupes de données contenait 32 094 individus.

La Figure 13 représente sur un même graphique la répartition observée (trait plein) et la répartition prédite (lignes pointillées) des patients dans les différents compartiments en fonction du temps.

La comparaison des effectifs obtenus aux effectifs observés a permis de vérifier visuellement l'adéquation du modèle.

**Figure 13. Répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en insuffisance rénale terminale. Données observées (trait plein), données simulées (lignes pointillées)**



## Annexe 4. Listes des tableaux et figures

Tableau 1. Tableau de synthèse de l'analyse critique des études de coût .....	11
Tableau 2. Tableau de synthèse de l'analyse critique des études de coût résultat .....	30
Tableau 3. Liste des GHM / forfaits pour repérer les patients dialysés dans le PMSI .....	50
Tableau 4. Liste des actes CCAM pour repérer les patients dialysés dans le PMSI .....	50
Tableau 5. Liste des forfaits pour repérer les patients dialysés dans le SNIIRAM-DCIR .....	50
Tableau 6. Liste des GHS pour repérer les patients dialysés dans le SNIIRAM-DCIR .....	51
Tableau 7. Liste des GHM / forfaits pour repérer les patients transplantés dans le PMSI .....	52
Tableau 8. Acte CCAM pour repérer les patients greffés dans le PMSI .....	52
Tableau 9. Liste des codes CIP d'immunosuppresseurs pour repérer les patients porteurs d'un greffon rénal .....	53
Tableau 10. Liste des forfaits et tarifs 2009.....	64
Tableau 11. Liste des GHS – GHM et tarifs de 2009 .....	65
Tableau 12. Répartition de la population d'analyse selon l'âge et la présence de diabète .....	68
Tableau 13. Répartition ( % colonne) des patients stables selon les modalités de traitement, l'âge et la présence de diabète .....	69
Tableau 14. Effectifs des patients stables selon les modalités de traitement, l'âge et la présence de diabète .....	70
Tableau 15. Répartition ( % colonne) des patients stables selon les modalités de traitement et le statut du patient sur la période de l'étude .....	71
Tableau 16. Répartition des patients transplantés selon la modalité de traitement avant la transplantation .....	71
Tableau 17. Répartition (en % colonne) des patients transplantés selon la modalité de traitement avant la transplantation, l'âge et la présence de diabète .....	72
Tableau 18. Répartition (en % colonne) de la population d'analyse selon la prise en charge, l'âge et la présence de diabète .....	72
Tableau 19. Répartition de la population d'analyse selon la prise en charge et le statut du patient sur la période de l'étude .....	73
Tableau 20. Répartition de la population d'analyse par modalité de traitement, selon la règle de classement.....	73
Tableau 21. Coût moyen mensuel et répartition ( % colonne) d'un patient prévalent stable pris en charge en HD centre, par poste de dépense.....	79

Tableau 22. Répartition (effectif et % ligne) du coût associé à chaque cause d'hospitalisation, par modalité de traitement .....	80
Tableau 23. Coût moyen le mois de la transplantation et le 6ème mois, selon l'âge des patients et la présence de diabète .....	80
Tableau 24. Poids (en %) des postes de dépenses dans les coûts moyens mensuels, le mois de la transplantation et les 6 mois suivants.....	81
Tableau 25. Coût mensuel des patients incidents, par mois de traitement.....	81
Tableau 26. Coût de démarrage par poste de dépense, correspondant au 1er mois de traitement d'un patient incident.....	82
Tableau 27. Coût moyen mensuel de traitement des patients prévalents stables selon l'âge, la présence de diabète et la technique de traitement DP et HD, utilisé pour le calcul du coût additionnel lié au démarrage de la dialyse .....	82
Figure 1. Répartition (en %) des patients par statut, selon l'âge et la présence de diabète .....	68
Figure 2. Répartition (en %) des patients avec une prise en charge stable par modalités de traitement.....	69
Figure 3. Répartition (en %) des patients stables selon les modalités de traitement, l'âge et la présence de diabète .....	70
Figure 4. Variabilité des coûts mensuels par modalité de traitement.....	76
Figure 5. Répartition (en %) des coûts mensuels par poste de coût, pour chaque modalité de traitement ....	77
Figure 6. Régions participant au registre REIN selon l'année de signature de la convention financière .....	86
Figure 7. Schéma simplifié du modèle à compartiments.....	91
Figure 8. Répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en insuffisance rénale terminale (données observées). .....	94
Figure 9. Répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en insuffisance rénale terminale et selon l'âge à l'initiation du traitement de suppléance (données observées). .....	96
Figure 10. Répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en insuffisance rénale terminale et selon le statut diabétique à l'initiation du traitement de suppléance (données observées). .....	97
Figure 11. Représentation des taux calculés entre le compartiment DPA autonome et le compartiment décès, en fonction du temps.....	98
Figure 12. Représentation des taux calculés entre le compartiment HD autodialyse et les compartiments Transplantation, en fonction du temps.....	98

Figure 13. Répartition des patients dans les compartiments en fonction de l'ancienneté de l'entrée en  
insuffisance rénale terminale. Données observées (trait plein), données simulées (lignes pointillées) .....99

## Références

1. Benain J, Faller B, Briat C, Jacquelinet C, Brami M, Aoustin M, *et al.* Coût de la prise en charge de la dialyse en France. *Nephrologie Ther* 2007;3(3):96-106.
2. Blotière PO, Tuppin P, Weill A, Ricordeau P, Allemand H. Coût de la prise en charge de l'IRCT en France en 2007 et impact potentiel d'une augmentation du recours à la dialyse péritonéale et à la greffe. *Nephrol Ther* 2010;6(4):240-7.
3. Hallinen T, Soini Erkki JO, Martikainen JA, Ikäheimo R, Ryyänänen O. Costs and quality of life effects of the first year of renal replacement therapy in one Finnish treatment centre. *J Med Econ* 2009;12(2):136-40.
4. Malmström RK, Roine RP, Heikkilä A, Räsänen P, Sintonen H, Muroma-Karttunen R, *et al.* Cost analysis and health-related quality of life of home and self-care satellite haemodialysis. *Nephrol Dial Transplant* 2008;23(6):1990-6.
5. Salonen T, Reina T, Oksa H, Sintonen H, Pasternack A. Cost analysis of renal replacement therapies in Finland. *Am J Kidney Dis* 2003;42(6):1228-38.
6. Lee H, Manns B, Taub K, Ghali WA, Dean S, Johnson D, *et al.* Cost analysis of ongoing care of patients with end-stage renal disease: the impact of dialysis modality and dialysis access. *Am J Kidney Dis* 2002;40(3):611-22.
7. McFarlane PA, Pierratos A, Redelmeier DA. Cost savings of home nocturnal versus conventional in-center hemodialysis. *Kidney Int* 2002;62(6):2216-22.
8. Soroka SD, Kiberd BA, Jacobs P. The marginal cost of satellite versus in-center hemodialysis. *Hemodial Int* 2005;9(2):196-201.
9. Barnieh L, Manns BJ, Klarenbach S, McLaughlin K, Yilmaz S, Hemmelgarn BR. A description of the costs of living and standard criteria deceased donor kidney transplantation. *Am J Transplant* 2011;11(3):478-88.
10. Chui BK, Manns B, Pannu N, Dong J, Wiebe N, Jindal K, *et al.* Health care costs of peritoneal dialysis technique failure and dialysis modality switching. *Am J Kidney Dis* 2013;61(1):104-11.
11. Shih Y, Guo A, Just PM, Mujais S. Impact of initial dialysis modality and modality switches on Medicare expenditures of end-stage renal disease patients. *Kidney Int.* 2005;68(1):319-29.
12. Mohr PE, Neumann PJ, Franco SJ, Marainen J, Lockridge R, Ting G. The case for daily dialysis: its impact on costs and quality of life. *Am J Kidney Dis* 2001;37(4):777-89.
13. Lamas Barreiro JM, Alonso Suárez M, Saavedra Alonso JA, Gandara MA. Costs and added value of haemodialysis and peritoneal dialysis outsourcing agreements. *Nefrologia* 2011;31(6):656-63.
14. Villa G, Rodríguez-Carmona A, Fernández-Ortiz L, Cuervo J, Rebollo P, Otero A, *et al.* Cost analysis of the Spanish renal replacement therapy programme. *Nephrol Dial Transplant* 2011;26(11):3709-14.
15. Baboolal K, McEwan P, Sondhi S, Spiewanowski P, Wechowski J, Wilson K. The cost of renal dialysis in a UK setting--a multicentre study. *Nephrol Dial Transplant* 2008;23(6):1982-9.
16. Kerr M, Bray B, Medcalf J, O'Donoghue DJ, Matthews B. Estimating the financial cost of chronic kidney disease to the NHS in England. *Nephrol Dial Transplant* 2012;27(Suppl 3):iii73-iii80.
17. Tediosi F, Bertolini G, Parazzini F, Mecca G, Garattini L. Cost analysis of dialysis modalities in Italy. *Health Serv Manage Res.* 2001;14(1):9-17.
18. Agar JW, Knight RJ, Simmonds RE, Boddington JM, Waldron CM, Somerville CA. Nocturnal haemodialysis: an Australian cost comparison with conventional satellite haemodialysis. *Nephrology* 2005;10(6):557-70.
19. Olsen J, Bonnevie B, Palmhøj-Nielsen C, Povlsen JV. Economic consequences of an increased number of patients on outgoing dialysis. *Scand J Urol Nephrol* 2010;44(6):452-8.
20. Cleemput I, De Laet C. Analysis of the costs of dialysis and the effects of an incentive mechanism for low-cost dialysis modalities. *Health Policy* 2013;110(2-3):172-9.

21. Komenda P, Gavaghan MB, Garfield SS, Poret AW, Sood MM. An economic assessment model for in-center, conventional home, and more frequent home hemodialysis. *Kidney Int* 2012;81(3):307-13.
22. Cogny Van Weydevelt F, Bacquaert-Dufour K, Benevent D, Lavaud S, Beaud JM, Allard B, *et al.* A cost-effectiveness analysis of continuous ambulatory peritoneal dialysis vs. self-care in-center hemodialysis in France. *Dialysis Transplant* 1999;28(2):70-4.
23. Mowatt G, Vale L, Perez J, Wyness L, Fraser C, MacLeod A, *et al.* Systematic review of the effectiveness and cost-effectiveness, and economic evaluation, of home versus hospital or satellite unit haemodialysis for people with end-stage renal failure. *Health Technol Assess* 2003;7(2):1-174.
24. de Wit GA, Ramsteijn PG, de Charro FT. Economic evaluation of end stage renal disease treatment. *Health Policy* 1998;44(3):215-32.
25. Gonzalez-Perez JG, Vale L, Stearns SC, Wordsworth S. Hemodialysis for end-stage renal disease: a cost-effectiveness analysis of treatment-options. *Int J Technol Assess Health Care*. 2005;21(1):32-9.
26. Kirby L, Vale L. Dialysis for end-stage renal disease. Determining a cost-effective approach. *Int J Technol Assess Health Care* 2001;17(2):181-9.
27. Kroeker A, Clark WF, Heidenheim AP, Kuenzig L, Leitch R, Meyette M, *et al.* An operating cost comparison between conventional and home quotidian hemodialysis. *Am J Kidney Dis* 2003;42(1 Suppl):49-55.
28. McFarlane PA, Bayoumi AM, Pierratos A, Redelmeier DA. The quality of life and cost utility of home nocturnal and conventional in-center hemodialysis. *Kidney Int* 2003;64(3):1004-11.
29. McFarlane PA, Bayoumi AM, Pierratos A, Redelmeier DA. The impact of home nocturnal hemodialysis on end-stage renal disease therapies: a decision analysis. *Kidney Int* 2006;69(5):798-805.
30. McFarlane PA, Pierratos A, Redelmeier DA. Cost savings of home nocturnal versus conventional in-center hemodialysis. *Kidney Int*. 2002;62(6):2216-22.
31. Whiting JF, Kiberd B, Kalo Z, Keown P, Roels L, Kjerulf M. Cost-effectiveness of organ donation: evaluating investment into donor action and other donor initiatives. *Am J Transplant* 2004;4(4):569-73.
32. Kontodimopoulos N, Niakas D. An estimate of lifelong costs and QALYs in renal replacement therapy based on patients' life expectancy. *Health Policy* 2008;86(1):85-96.
33. Salonen T, Reina T, Oksa H, Rissanen P, Pasternack A. Alternative strategies to evaluate the cost-effectiveness of peritoneal dialysis and hemodialysis. *Int Urol Nephrol* 2007;39(1):289-98.
34. Sennfält K, Magnusson M, Carlsson P. Comparison of hemodialysis and peritoneal dialysis—a cost-utility analysis. *Perit Dial Int* 2002;22(1):39-47.
35. Haller M, Gutjahr G, Kramar R, Harnoncourt F, Oberbauer R. Cost-effectiveness analysis of renal replacement therapy in Austria. *Nephrol Dial Transplant* 2011;26(9):2988-95.
36. Wong G, Howard K, Chapman JR, Chadban S, Cross N, Tong A, *et al.* Comparative survival and economic benefits of deceased donor kidney transplantation and dialysis in people with varying ages and co-morbidities. *PLoS One* 2012;7(1):e29591.
37. Shimizu U, Saito S, Lings Y, Iino N, Kazama JJ, Akazawa K. Cost-effectiveness achieved through changing the composition of renal replacement therapy in Japan. *J Med Econ* 2012;15(3):444-53.
38. Snyder RA, Moore DR, Moore DE. More donors or more delayed graft function? A cost-effectiveness analysis of DCD kidney transplantation. *Clin Transplant* 2013;27(2):289-96.
39. Cortés-Sanabria L, Paredes-Ceseña CA, Herrera-Llamas RM, Cruz-Bueno Y, Soto-Molina H, Pazarín L, *et al.* Comparison of cost-utility between automated peritoneal dialysis and continuous ambulatory peritoneal dialysis. *Arch Med Res* 2013;44(8):655-61.
40. Couchoud C, Stengel B, Landais P, Aldigier JC, de Cornelissen F, Dabot C, *et al.* The renal epidemiology and information network (REIN): a new registry for end-stage renal disease in France. *Nephrol Dial Transplant* 2006;21(2):411-8.
41. Objectifs et organisation du REIN. *Nephrol Ther* 2009;5(Suppl 2):S145-76.



42. Strang WN, Tuppin P, Atinault A, Jacquelinet C.  
The French organ transplant data system. Stud Health  
Technol Inform 2005;116:77-82.

~





Toutes les publications de la HAS sont téléchargeables sur :  
[www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)