

**HAS**

HAUTE AUTORITÉ DE SANTÉ

 **agence de la  
biomédecine**

**RAPPORT D'ÉVALUATION MÉDICO-ÉCONOMIQUE**

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

**Octobre 2014**

Ce rapport 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

## Liste des abréviations

Abréviation	
ACB	Analyse coût-bénéfice
ACE	Analyse coût-efficacité
ACU	Analyse coût-utilité
CEESP	Commission évaluation économique et santé publique
CNAMTS	Caisse nationale d'assurance maladie des travailleurs salariés
DFG	Débit de filtration glomérulaire
DGOS	Direction générale de l'offre de soins
DP	Dialyse péritonéale
DP	Dialyse péritonéale
DPA	Dialyse péritonéale automatisée
DPCA	Dialyse péritonéale continue ambulatoire
GHM	Groupe homogène de malades
GHS	Groupe homogène de séjours
HD	Hémodialyse
IRC	Insuffisance rénale chronique
IRCT	Insuffisance rénale chronique
MCO	Médecine – chirurgie – obstétrique
MRC	Maladie rénale chronique
PMSI	Programme de médicalisation des systèmes d'information
PRS	Projets régionaux de santé
QALY	<i>Quality adjusted life year</i>
RDCR	Ratio différentiel coût résultat
REIN	Registre épidémiologie et information en néphrologie
SEESP	Service évaluation économique et santé publique
SIOS	Schéma interrégional d'organisation sanitaire
SNIIRAM	Système national d'information inter-régimes de l'Assurance maladie
SROS	Schémas régionaux d'organisation des soins
UDM	Unité de dialyse médicalisée

# Sommaire

Liste des abréviations .....	3
Introduction .....	8
<b>1. Méthode de travail .....</b>	<b>12</b>
1.1 Évaluation économique .....	12
1.1.1 Choix du thème de travail .....	12
1.1.2 Cadrage du sujet .....	12
1.1.3 Groupes de travail .....	13
1.1.4 Groupe de lecture .....	13
1.1.5 Rédaction des conclusions par la CEESP et le Collège de la HAS .....	13
1.1.6 Validation par le Collège de la HAS .....	13
1.1.7 Diffusion .....	13
1.1.8 Travail interne à la HAS .....	14
1.2 Gestion des conflits d'intérêt .....	14
1.3 Méthodes d'évaluation .....	14
1.3.1 Revue de la littérature .....	14
1.3.2 Analyse de bases de données .....	15
1.3.3 Modélisation .....	15
1.3.4 Étapes et calendrier de réalisation .....	16
<b>2. Contexte et objectif de l'évaluation .....</b>	<b>18</b>
2.1 Contexte et traitements de suppléance de l'IRCT .....	18
2.1.1 Épidémiologie de l'insuffisance rénale chronique terminale .....	18
2.1.2 Modalités de traitement et caractéristiques des patients .....	20
2.1.3 Cadre réglementaire lié à l'organisation de l'offre de soins en France .....	25
2.1.4 Évolution de la démographie médicale en néphrologie .....	26
2.1.5 Coût élevé de la prise en charge de l'IRCT .....	27
2.2 État des lieux des pratiques de prise en charge et possibilités d'évolutions .....	28
2.2.1 Hétérogénéité des pratiques de prise en charge en France et dans les autres pays .....	28
2.2.2 Facteurs associés aux disparités interrégionales dans les pratiques de prise en charge en dialyse .....	30
2.3 Problématique et objectif de l'évaluation .....	32
<b>3. Revue de la littérature sur l'évaluation médico-économique de la prise en charge des patients en IRCT .....</b>	<b>34</b>
3.1 Méthode .....	35
3.1.1 Stratégie de recherche documentaire .....	35
3.1.2 Critères de sélection et d'exclusion des articles .....	36
3.1.3 Résultat de la sélection des articles .....	38
3.2 Analyses des études de coût .....	39
3.2.1 Terminologie .....	39
3.2.2 Panorama des études identifiées .....	40
3.2.3 Caractéristiques et résultats des revues systématiques .....	40
3.2.4 Caractéristiques et résultats des études de coût françaises .....	41
3.2.5 Caractéristiques et résultats des études de coût étrangères .....	43
3.2.6 Synthèse des résultats des études .....	49
3.2.7 Analyse critique des études de coût .....	52
3.2.8 Conclusions de l'analyse des études de coûts .....	61
3.3 Analyses des études de coût-résultat .....	62
3.3.1 Analyse quantitative .....	62
3.3.2 Caractéristiques et résultats des revues systématiques .....	63
3.3.3 Caractéristiques et résultats des études de coût-résultat étrangères .....	64
3.3.4 Synthèse des résultats des études .....	68
3.3.5 Analyse critique des études de coût-résultat .....	71
3.3.6 Conclusions de l'analyse des études de coût-résultat .....	82
3.4 Conclusion de la revue de la littérature .....	83
<b>4. Coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement et analyse des facteurs de variation .....</b>	<b>85</b>
4.1 Méthode .....	86
4.1.1 Objectifs de l'étude de coût .....	86

4.1.2	Méthodologie d'analyse des données .....	86
4.2	<b>Résultats : coût de la prise en charge d'un patient en traitement de suppléance pour IRCT .....</b>	<b>94</b>
4.2.1	Population d'analyse .....	94
4.2.2	Coût mensuel de prise en charge d'un patient prévalent stable sur la période de l'étude .....	99
4.2.3	Coût mensuel de prise en charge d'un patient transplanté sur la période de l'étude .....	106
4.2.4	Coût mensuel de prise en charge d'un patient incident sur la période de l'étude .....	108
4.2.5	Coût mensuel de prise en charge d'un patient décédé sur la période de l'étude .....	109
4.2.6	Coût mensuel d'un patient ayant une prise en charge mixte sur la période de l'étude .....	111
4.3	<b>Conclusion : discussion des résultats et des limites de la méthodologie de l'étude .....</b>	<b>112</b>
<b>5.</b>	<b>Evaluation médico-économique des stratégies de prises en charge de l'IRCT en France.....</b>	<b>117</b>
5.1	<b>Objectif et méthode .....</b>	<b>118</b>
5.1.1	Objectif .....	118
5.1.2	Choix méthodologiques pour l'évaluation médico-économique .....	119
5.1.3	Type de modèle et structure .....	123
5.1.4	Stratégies évaluées .....	125
5.1.5	Modélisation des trajectoires : construction du modèle à compartiments .....	130
5.1.6	Présentation et interprétation des résultats de l'évaluation économique .....	137
5.2	<b>Résultats de l'évaluation économique.....</b>	<b>141</b>
5.2.1	Patients de 18-44 ans, non diabétiques .....	141
5.2.2	Patients de 18-44 ans, diabétiques .....	154
5.2.3	Patients de 45-69 ans, non diabétiques .....	165
5.2.4	Patients de 45-69 ans, diabétiques .....	177
5.2.5	Patients de 70 ans et plus, non diabétiques .....	190
5.2.6	Patients de 70 ans et plus, diabétiques .....	202
5.3	<b>Analyse de l'incertitude associée aux résultats de l'évaluation .....</b>	<b>216</b>
5.3.1	Incertitude liée aux choix structurants .....	216
5.3.2	Incertitude liée à la structure du modèle retenu .....	217
5.3.3	Incertitude liée aux données sources alimentant le modèle .....	218
5.3.4	Incertitude liée à la définition des stratégies évaluées.....	220
5.3.5	Incertitude sur les résultats de santé du modèle .....	221
5.4	<b>Synthèse des résultats de l'évaluation.....</b>	<b>224</b>
5.4.1	Patients âgés de 18 à 44 ans, non diabétiques.....	225
5.4.2	Patients âgés de 18 à 44 ans, diabétiques .....	228
5.4.3	Patients âgés de 45 à 69 ans, non diabétiques.....	230
5.4.4	Patients âgés de 45 à 69 ans, diabétiques .....	234
5.4.5	Patients âgés de 70 ans et plus, non diabétiques .....	237
5.4.6	Patients âgés de 70 ans et plus, diabétiques .....	239
<b>6.</b>	<b>Discussion des résultats de l'évaluation médico-économique et conclusions .....</b>	<b>243</b>
6.1	<b>Axes d'évolutions de la prise en charge actuelle des patients en IRCT.....</b>	<b>244</b>
	<i>Axes de développement de la transplantation rénale.....</i>	<i>244</i>
A.	La transplantation rénale, stratégie efficiente pour tous les groupes de patients.....	246
	<i>Axes de développement de la dialyse hors centre .....</i>	<i>254</i>
B.	Les alternatives à la prise en charge en hémodialyse en centre pour les patients souhaitant être traités à domicile.....	256
C.	Les alternatives à la prise en charge en hémodialyse en centre pour les patients souhaitant être traités hors du domicile.....	261
D.	Les stratégies portant sur le développement conjoint de plusieurs modalités de traitement de dialyse hors centre .....	266
6.2	Perspective sur le développement de la télémédecine dans la définition des stratégies de prise en charge de l'IRCT en France .....	269
<b>7.</b>	<b>Avis du groupe de travail et conclusions de la HAS .....</b>	<b>284</b>
7.1	Avis du groupe de travail .....	284
7.2	Conclusions de la HAS.....	291
	<b>Annexes 296</b>	
	<b>Liste des Tableaux et Figures .....</b>	<b>297</b>

Références .....	303
Participants .....	317
Remerciements.....	321



## Introduction

L'insuffisance rénale chronique (IRC) est une maladie progressive longtemps silencieuse qui peut évoluer vers un stade terminal entraînant la mise en place d'un traitement de suppléance par dialyse (hémodialyse ou dialyse péritonéale) ou transplantation rénale.

L'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT) affecte une part croissante de la population française : en 2012, la prévalence était de 1 127 par million d'habitants, soit 73 491 patients avec un traitement de suppléance (+4 % par an).

Le coût humain de l'IRCT est particulièrement élevé en termes de morbi-mortalité, d'impact sur la qualité de vie du patient et de conséquences pour l'entourage.

La prise en charge de cette maladie chronique représente également un enjeu économique majeur pour la plupart des pays développés. En France, l'Assurance maladie a estimé son coût à plus de 4 milliards d'euros à partir de 61 000 patients traités pour IRCT en 2007 et à 5 milliards d'euros d'ici 2025, du seul fait du vieillissement de la population, sans prendre en compte l'augmentation de la prévalence (1).

Le système de santé français offre, aux patients insuffisants rénaux chroniques terminaux, une grande variété de modalités de traitements de suppléance qui se distinguent par la technique mais aussi par l'organisation de la prise en charge, de la plus médicalisée à la plus autonome, permettant ainsi une graduation de l'offre de soins (2). Les dix modalités de traitement les plus courantes sont :

- l'hémodialyse en centre, en unité de dialyse médicalisée (UDM), en unité d'autodialyse, à domicile ;
- la dialyse péritonéale : dialyse péritonéale automatisée (DPA) et dialyse péritonéale continue ambulatoire (DPCA) assistée ou non assistée par une infirmière ;
- la transplantation rénale à partir de donneur décédé ou vivant.

Le cadre réglementaire et les orientations de la politique de santé, sans déterminer une orientation selon le profil des patients et en insistant sur la liberté de choix, a marqué la volonté de limiter le développement de l'hémodialyse en centre au profit du développement de la transplantation rénale et d'une expansion de la prise en charge hors centre de dialyse et à domicile.

Du point de vue de l'Assurance maladie, il est primordial de « proposer aux différentes catégories de patients l'ensemble des traitements disponibles et donc le mode de traitement le mieux adapté pour chacun, tout en rendant plus efficiente la prise en charge de cette affection » (journée du 9 mars 2010) (1). La question de l'efficacité<sup>1</sup> de la prise en charge de cette pathologie chronique est donc centrale.

Dans ce contexte, la Caisse Nationale d'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés (CNAMTS) et la Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS) ont saisi la HAS concernant la demande suivante.

---

<sup>1</sup> L'efficacité est un critère qui permet de mettre en relation l'efficacité de l'intervention de santé évaluée avec le coût.



### Encadré 1. Demande initiale inscrite au programme de travail de la HAS

**« Réalisation d'une évaluation médico-économique du parcours de soins d'un patient en insuffisance rénale chronique terminale, dans tous les aspects de la prise en charge, traité par épuration extra-rénale ou greffe rénale ».**

Cette demande s'inscrit dans le cadre d'un programme de travail pluriannuel articulé en 2 étapes.

**1<sup>re</sup> étape :** la demande porte sur l'évaluation médico-économique des traitements de l'IRCT : hémodialyse, dialyse péritonéale et greffe.

- l'évaluation médico-économique des différentes modalités de prise en charge des patients devra être mise en œuvre à partir de la description des indications des techniques de traitement et du lieu de prise en charge (centre, UDM, autodialyse, domicile) en fonction des caractéristiques des patients ;
- l'évaluation des possibilités de développement de la dialyse hors centre et au domicile, et en particulier, de la dialyse péritonéale, devront être étudiées ;
- concernant la greffe rénale, les possibilités de développement, notamment avec donneur vivant, devront être analysées ;
- l'apport de la télémédecine devra être étudié dans la prise en charge des patients traités par épuration extra-rénale, en dehors des centres, et des patients greffés, en continuité avec le travail réalisé sur les « *conditions de mise en œuvre de la télémédecine dans l'organisation des soins des patients traités en unités de dialyse médicalisée* ».

**2<sup>e</sup> étape :** la demande porte sur l'étude de la prévention de l'insuffisance rénale chronique et du dépistage de l'insuffisance rénale chronique terminale qui pourra donner lieu à l'élaboration de recommandations de bonne pratique.

La demande initiale a été discutée lors de la réunion de cadrage du 3 juin 2010, réunissant les principales parties prenantes de l'Assurance maladie, la Direction Générale de l'Offre de Soins, la Société de Néphrologie et la Société Francophone de Dialyse ainsi que des représentants des associations de patients et d'usagers. Cette réunion a permis de préciser les objectifs de la saisine concernant la mise en œuvre de l'évaluation médico-économique (1<sup>re</sup> étape), d'analyser sa faisabilité et de la mettre en perspective avec les attentes des demandeurs et celles des professionnels de santé. Par ailleurs, il a été convenu qu'à l'issue de la publication du présent rapport, une autre réunion de cadrage serait organisée sur l'opportunité de conduire un travail pouvant donner lieu à l'élaboration d'une recommandation de bonne pratique sur la prévention de l'insuffisance rénale chronique et le dépistage de l'insuffisance rénale chronique terminale (2<sup>e</sup> étape de la saisine).

La note de cadrage, publiée sur le site de la HAS en septembre 2010, a ainsi analysé la pertinence de la demande et précisé les objectifs de l'évaluation ainsi que les modalités de sa réalisation<sup>2</sup>.

La mise en œuvre d'une évaluation médico-économique des différentes modalités de prise en charge à partir de la description des indications des techniques de traitement et de leurs articulations a été particulièrement discutée. La proposition des autorités sanitaires de réaliser une typologie des techniques de traitement en fonction des caractéristiques des patients n'est pas

<sup>2</sup> [http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2010-10/note\\_cadrage\\_irct\\_vf.pdf](http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2010-10/note_cadrage_irct_vf.pdf)

nouvelle. Plusieurs groupes de travail se sont succédé ces dix dernières années sans succès. Les arguments suivants ont été mis en évidence concernant la faisabilité d'une typologie de patients en fonction des indications et des techniques de traitement.

- Bien que la plupart des patients n'aient pas de contre-indication à l'utilisation de l'une ou de l'autre des techniques, les différentes techniques de traitement (hémodialyse, dialyse péritonéale, DPCA et DPA et la greffe rénale) ne sont pas substituables. Par conséquent, il semble difficile de disposer de données comparatives sur l'efficacité des différentes techniques de traitement en fonction des caractéristiques des patients.
- En fonction de plusieurs facteurs liés principalement à l'évolution de son état de santé, un même patient peut passer par plusieurs techniques et/ou modes de prise en charge. Ainsi, chacune des modalités de traitement peut correspondre à une période de la vie du patient ; aussi, l'analyse des trajectoires des patients en fonction des modalités de traitement semble fondamentale.
- Enfin, le cadre réglementaire stipule que l'orientation d'un patient vers une technique de suppléance et un lieu de prise en charge (centre, UDM, unité d'autodialyse, domicile ou lieu de vie) doivent être le résultat d'une démarche fondée sur une information objective sur les avantages et les inconvénients de chaque modalité au regard du mode de vie et des préférences du patient et de son entourage.

En accord avec les demandeurs, l'évaluation médico-économique des modes de prise en charge de l'IRCT n'a pas été fondée sur une typologie des patients en fonction des techniques de traitement, mais sur une analyse des possibilités d'évolution de la prise en charge des patients traités pour IRCT entre les différentes modalités de traitements.

La question des parcours de soins des patients traités pour IRCT définie au sens de la trajectoire d'un patient, succession de différentes modalités de traitement entre le démarrage du traitement de suppléance et le décès, apparaissait comme centrale dans la conduite de l'évaluation. En effet, il ne s'agissait pas de comparer l'efficacité des modalités de traitement deux à deux, mais des stratégies de prise en charge fondées sur approche par trajectoires permettant de prendre en compte les différentes modalités de traitement reçues par les patients traités pour IRCT au cours du temps. Dans cette optique, l'analyse des données du registre Réseau Épidémiologie et Information en Néphrologie (REIN) a été indispensable, afin d'identifier ces trajectoires.

Dans une perspective d'aide à la décision publique, l'objectif principal était d'évaluer l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge des patients en IRCT, en tenant compte des possibilités d'évolution par rapport à la situation actuelle, en particulier, le développement de la transplantation rénale, le développement de la prise en charge hors centre de dialyse et à domicile.

Le champ de l'évaluation concernait les patients adultes en IRCT ainsi que toutes les modalités de traitement<sup>3</sup>.

Pour répondre à l'objectif de l'évaluation, la mise en œuvre de démarches méthodologiques différentes a été nécessaire : analyse de la littérature, analyse de bases de données, mise en œuvre d'une modélisation et réalisation d'une enquête sur les expérimentations de télémédecine.

Ce rapport d'évaluation se structure en six chapitres.

Le premier chapitre évoque de façon générale la méthode de travail sur laquelle se fonde l'évaluation économique. Par ailleurs, les différentes méthodologies mobilisées ont été explicitées tout au long de l'argumentaire, et détaillées dans un document annexe.

---

<sup>3</sup> Une prise en charge fondée sur un traitement conservateur sans traitement de suppléance n'a pas été envisagée dans cette évaluation.

Un second chapitre présente le contexte de l'évaluation. Il renseigne sur l'épidémiologie de la maladie, définit les différentes modalités traitements de l'IRCT et propose un état des lieux des pratiques de prise en charge en France et une analyse comparative par rapport aux autres pays qui met en évidence l'existence de possibilités d'évolutions. Cet état des lieux des principaux constats établis, concernant la prise en charge de l'IRCT, permet de problématiser la demande et de préciser ses objectifs.

Le troisième chapitre est relatif à la revue de la littérature qui a été conduite dès le commencement de ce travail afin de réaliser un état des connaissances sur l'évaluation médico-économique de la prise en charge de cette pathologie chronique. Elle a permis de montrer la nécessité de fonder l'évaluation économique sur la mise en œuvre d'une modélisation et d'étudier le coût de la prise en charge des patients en IRCT, dans le contexte français, en fonction des différentes modalités de traitement. Elle a également mis en évidence l'importance de conduire un travail à part entière sur « *l'analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale en France* » qui a ainsi fait l'objet d'un volet spécifique de cette évaluation publié en septembre 2012 (3).

Le quatrième chapitre concerne l'étude du coût de la prise en charge en fonction des différentes modalités de traitement et l'analyse des facteurs de variation. Elle a été effectuée à partir des bases de données médico-administratives de l'Assurance maladie et du PMSI pour pallier un manque de données disponibles concernant les 10 modalités de traitement prises en compte dans l'évaluation médico-économique.

Le cinquième chapitre est consacré à l'évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge des patients traités pour IRCT en France fondée sur une modélisation permettant de simuler des modifications au cours du temps dans les trajectoires des patients entre les différentes modalités de traitement.

Dans le sixième chapitre, les résultats de l'évaluation sont interprétés dans une perspective d'aide à la décision publique au regard de l'identification d'axes d'évolutions de la prise en charge actuelle des patients en IRCT, d'éléments de discussion sur l'impact des stratégies simulées et sur leur faisabilité.

L'avis du groupe de travail et les conclusions de la HAS sont présentés dans le septième et dernier chapitre.

Ce rapport d'évaluation a été réalisé avec l'appui d'un groupe de travail pluridisciplinaire et multiprofessionnel associant des représentants des patients et usagers du système de santé.

Il a été conduit dans le cadre d'un partenariat entre la HAS et l'Agence de la Biomédecine.

## 1. Méthode de travail

### 1.1 Évaluation économique

Les rapports d'évaluation médico-économique consistent à émettre des avis ou conclusions sur les stratégies de soins, de prescription ou de prise en charge les plus efficaces.

L'évaluation économique s'inscrit dans un cadre d'aide à la décision publique. D'un point de vue méthodologique, elle se fonde sur les principes de la HAS décrits dans le document « *Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS* » (4).

La réalisation de la présente évaluation a nécessité la mise en œuvre de démarches méthodologiques différentes : analyse de la littérature, analyse de bases de données, modélisation. Elle repose également sur l'avis d'un groupe pluridisciplinaire de professionnels et de représentants d'usagers ou de patients concernés par le thème de l'évaluation.

La coordination de l'ensemble du travail ainsi que la rédaction de l'argumentaire présentant l'ensemble des données sont assurées par les chefs de projet de la HAS. La présente évaluation a été réalisée au sein du Service Évaluation Économique et Santé Publique (SEESP) en partenariat avec la Coordination nationale de REIN de l'Agence de la Biomédecine.

#### 1.1.1 Choix du thème de travail

Les thèmes de travail sont choisis par le Collège de la HAS. Ce choix tient compte des priorités de santé publique et des demandes exprimées par les ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale. Le Collège de la HAS peut également retenir des thèmes proposés par des sociétés savantes, l'Institut national du cancer, l'Union nationale des caisses d'assurance-maladie, l'Union nationale des professionnels de santé, des organisations représentatives des professionnels ou des établissements de santé, des associations agréées d'usagers.

Pour chaque thème retenu, la méthode de travail comprend les étapes suivantes.

#### 1.1.2 Cadrage du sujet

Un cadrage du sujet est réalisé par le chef de projet du Service Évaluation Économique et Santé Publique (SEESP), afin d'évaluer l'intérêt de la question posée et la disponibilité de la littérature, de définir le périmètre de l'étude, les méthodes d'évaluation et le calendrier envisagé, de proposer les axes de réponse aux objectifs poursuivis.

Au vu de l'analyse préliminaire de la littérature et des données françaises, la demande initiale a été réorientée.

Les objectifs de l'évaluation ont été précisés au regard des axes d'orientation des plans d'action en cours d'élaboration par le groupe de concertation national GDR-IRCT piloté par la DGOS ; la méthode d'évaluation a également été précisée avec le service Études et Statistiques de la CNAMTS, en particulier, l'accès aux données exhaustives du SNIIRAM et le chaînage aux données du PMSI.

Une note de cadrage a été présentée à la Commission Évaluation Économique et Santé Publique (CEESP) pour validation le 6 juillet 2010. Elle a été validée par le Collège le 23 septembre 2010, et mise en ligne sur le site de la HAS<sup>4</sup> le 3 novembre 2010.

<sup>4</sup> [http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2010-10/note\\_cadrage\\_irct\\_vf.pdf](http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2010-10/note_cadrage_irct_vf.pdf)

### **1.1.3 Groupes de travail**

Ce travail d'évaluation a bénéficié du soutien scientifique et technique de deux groupes d'experts, intervenants à des moments différents de son élaboration.

Un groupe de travail multidisciplinaire et multiprofessionnel est constitué par la HAS spécifiquement sur le thème de l'évaluation et qui est intervenu tout au long du projet. Il est composé de professionnels de santé, ayant un mode d'exercice public, privé ou mixte, d'origine géographique ou d'écoles de pensée diverses, d'économistes de la santé et d'autres professionnels concernés (épidémiologistes, statisticiens, etc.) et de représentants d'associations de patients et d'usagers. Son rôle consiste à vérifier, discuter et compléter les éléments scientifiques présentés dans l'argumentaire et à donner un avis sur les choix retenus dans la démarche d'évaluation (en particulier, choix méthodologiques relatifs à l'analyse des bases de données et à l'élaboration du modèle). Il propose également un avis sur l'ensemble des données analysées dans la conduite de l'évaluation.

Le groupe de travail s'est réuni à sept reprises entre février 2011 et juin 2014.

Un groupe de travail constitué des économistes de la santé de la CEESP réuni dans la « sous-commission économie » est consulté autant que de besoin sur les aspects techniques de l'évaluation de l'efficacité. Son rôle est d'apporter un soutien méthodologique et de valider la méthode mobilisée sur ce critère. Dans le cadre de cette évaluation, la sous-commission économie de la CEESP a été consultée à trois reprises : en janvier 2012, en septembre 2013 et en octobre 2013.

### **1.1.4 Groupe de lecture**

Un groupe de lecture est constitué par la HAS selon les mêmes critères que le groupe de travail.

Il a été consulté en mars 2014 et s'est prononcé sur la qualité de l'argumentaire (sur le fond et dans la forme) ainsi que sur la pertinence de la discussion des résultats de l'évaluation.

Les commentaires du groupe de lecture sont ensuite analysés et discutés lors d'une dernière réunion de travail suite à laquelle les dernières modifications sont apportées à l'argumentaire et, la version finale des conclusions de l'évaluation économique et la synthèse, sont rédigées.

### **1.1.5 Rédaction des conclusions par la CEESP et le Collège de la HAS**

Le processus de réalisation et la version finale de l'argumentaire ainsi que les conclusions du rapport sont discutés par la CEESP. Les différents critères et arguments sont mis en perspective par le Collège de la HAS qui valide les conclusions sur proposition de la CEESP.

### **1.1.6 Validation par le Collège de la HAS**

Sur proposition de la CEESP (avis favorable du 8 juillet 2014), le Collège de la HAS a validé le rapport final ainsi que les conclusions, et a autorisé sa diffusion le 1<sup>er</sup> octobre 2014.

### **1.1.7 Diffusion**

La HAS met en ligne sur son site ([www.has-sante.fr](http://www.has-sante.fr)) l'intégralité de l'argumentaire, les recommandations et leur synthèse. La synthèse et les recommandations peuvent être éditées par la HAS.

### 1.1.8 Travail interne à la HAS

Un chef de projet de la HAS assure la conformité et la coordination de l'ensemble du travail suivant les principes méthodologiques de la HAS.

## 1.2 Gestion des conflits d'intérêt

Les déclarations publiques d'intérêt des membres du groupe de travail ont été communiquées à la HAS avant le démarrage des travaux, puis réactualisées chaque année.

Les déclarations publiques d'intérêt sont consultables en ligne sur le site internet de la HAS.

Les déclarations publiques d'intérêts ont été analysées au regard de la grille d'analyse des intérêts déclarés figurant dans le *Guide des déclarations d'intérêts et de gestion des conflits d'intérêts* en vigueur.

La constitution d'un groupe de travail exempt de tout conflit d'intérêts s'est révélée difficile compte tenu des liens d'intérêts des experts avec le sujet. L'avis du Groupe déontologie et expertise a été sollicité pour la constitution du groupe de travail (Avis n° 6/2011).

## 1.3 Méthodes d'évaluation

### 1.3.1 Revue de la littérature

Une analyse critique de la littérature a été réalisée pour la littérature médico-économique et aussi dans le cadre du volet spécifique au développement de la transplantation rénale. La sélection, l'analyse et la synthèse de la littérature pertinente sont réalisées selon les standards de rigueur et la transparence en vigueur.

#### ► Stratégie de recherche

Une recherche documentaire approfondie est effectuée par interrogation systématique des banques de données bibliographiques médicales et scientifiques sur une période adaptée à chaque thème. En fonction du thème traité, elle est complétée, si besoin, par l'interrogation d'autres bases de données spécifiques. Tous les sites internet utiles (agences gouvernementales, sociétés savantes, etc.) sont explorés. Les documents non accessibles par les circuits conventionnels de diffusion de l'information (littérature grise) sont recherchés par tous les moyens disponibles. Par ailleurs, les textes législatifs et réglementaires pouvant avoir un rapport avec le thème sont consultés. Les recherches initiales sont réalisées dès le démarrage du travail et permettent de construire l'argumentaire. Elles sont mises à jour régulièrement jusqu'au terme du projet. L'examen des références citées dans les articles analysés permet de sélectionner des articles non identifiés lors de l'interrogation des différentes sources d'information. Enfin, les membres des groupes de travail et de lecture peuvent transmettre des articles de leur propre fonds bibliographique. Les langues retenues sont le français et l'anglais.

Dans le cadre de la rédaction de la note de cadrage de l'évaluation, une première recherche bibliographique a été réalisée par la HAS, et a porté sur la période janvier 2000 – mars 2010.

Cette recherche documentaire a permis d'apprécier la quantité des données disponibles dans la littérature et issues des systèmes de surveillance épidémiologique en France ainsi que des *guidelines* existants afin de répondre aux différentes questions envisagées.

La recherche bibliographique a été étendue et complétée dans le cadre du rapport relatif au développement de la transplantation rénale (volet 1 de cette étude), et a concerné particulièrement certains thèmes comme les aspects éthiques, organisationnels, liés à la qualité de vie, ou des questions spécifiques relatives aux aspects juridiques.

Dans le cadre du présent rapport, la recherche complémentaire a concerné notamment les études économiques françaises et étrangères publiées entre janvier 2000 et mai 2014. La stratégie de recherche documentaire, la méthode de sélection et les résultats de cette recherche sont détaillés dans le chapitre 3 relatif à la revue de la littérature et dans le document annexe.

### **1.3.2 Analyse de bases de données**

Cette évaluation se fonde sur l'utilisation de données françaises qui ont été obtenues par l'analyse de deux sources de données principales.

#### **► Registre du Réseau Épidémiologie et Information en Néphrologie (REIN)**

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. Il a été créé en 2001 avec, comme objectifs, de décrire l'incidence et la prévalence des traitements de suppléance de l'IRCT, les caractéristiques de la population traitée, les modalités de prise en charge, la qualité du traitement ainsi que la mortalité des malades au moyen d'un enregistrement exhaustif et continu d'informations sur les patients. Le déploiement du réseau s'est fait progressivement dans les régions depuis 2002 pour atteindre l'exhaustivité de la couverture métropolitaine en 2009 et nationale en 2011.

#### **► Système national d'information inter-régimes de l'Assurance maladie (SNIIRAM) et le PMSI**

Le SNIIRAM est un système médicalisé d'informations mis en œuvre par la CNAMTS à compter du 1<sup>er</sup> janvier 2003, en application de l'article L. 161-28-1 du Code de la sécurité sociale.

Ce système d'information permet de restituer, au travers de différents produits informatiques, l'exhaustivité des données des soins remboursés par l'ensemble des régimes d'assurance maladie obligatoires. Ainsi, ce système d'information comporte :

- les données sociodémographiques des patients (sexe, âge, lieu de résidence, affiliation à la couverture maladie universelle) ;
- les éléments médico-administratifs de leurs consommations (médicaments, actes de biologie, prothèses et appareillage, actes techniques médicaux) ;
- les données sur les professionnels de santé et les établissements de soins ;
- ainsi que l'intégralité des données du Programme de Médicalisation des Systèmes d'Information (PMSI), notamment les diagnostics.

L'historique de la plupart de ces données porte sur deux années plus l'année en cours.

### **1.3.3 Modélisation**

La modèle statistique sur lequel se fonde l'évaluation économique a été réalisée par le service de Biostatistique des Hospices Civils de Lyon, laboratoire de Biostatistiques Santé UMR 5558.

L'enjeu était de développer un outil permettant de modéliser les trajectoires des patients entre les différentes modalités de traitement au cours du temps depuis le démarrage du traitement de suppléance, et ainsi d'évaluer l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge de l'IRCT.

Pour répondre à cet objectif, un modèle à compartiments déterministe a été mis en œuvre. Ce modèle à compartiments permet de simuler des changements dans les trajectoires des patients – modifications dans la part relative des différentes modalités de traitement au cours du temps – et ainsi d'en estimer l'impact en termes d'espérance de vie et de coûts moyens à partir d'une cohorte de patients incidents. Les résultats reviennent à comparer les pratiques existantes à ce qui se passerait, toutes choses égales par ailleurs, si l'on modifiait l'orientation des patients dans les différentes modalités de traitement au niveau macroéconomique.

### 1.3.4 Étapes et calendrier de réalisation

Tableau 1. Les principales étapes de réalisation du rapport d'évaluation

Étapes de réalisation	Période
<b>Cadrage de l'évaluation</b>	Réunion de cadrage : 3 juin 2010 Validation note de cadrage par le Collège de la HAS : septembre 2010
<b>Constitution du groupe de travail et gestion des conflits d'intérêts</b>	Octobre 2010 à janvier 2011 Avis du groupe déontologie et indépendance de l'expertise : 17 janvier 2011
<b>Contexte et objectif de l'évaluation</b>	Contextualisation de la demande, définition des objectifs de l'évaluation et réflexion sur la méthode : GT1 (09/02/2011) Actualisation des données tout au long du projet Envoi au groupe de lecture : février-mars 2014
<b>Revue de la littérature sur l'évaluation médico-économique de la prise en charge des patients en IRCT</b>	Présentation : GT1 (09/02/2011). Validation de l'avis du groupe de travail et des conclusions de la HAS : GT2 (14/06/2011) Veille de la littérature – actualisation tout au long du projet Envoi au groupe de lecture : février-mars 2014
<b>Analyse des possibilités de développement de la greffe rénale en France : volet spécifique du rapport d'évaluation publié en juillet 2012</b>	Revue de la littérature permettant d'éclairer la problématique du développement de la greffe dans le contexte actuel : première version présentée lors du GT2 (14/06/2011) Présentation des conclusions et rédaction de l'avis du groupe de travail GT3 (27/10/2011) Groupe de lecture réalisé entre le 24 février et le 22 mars 2012 Discussion des retours du groupe de lecture et élaboration des recommandations : GT4 (29/03/2012). Validation du rapport et préparation de l'avis de la Commission d'évaluation économique et de santé publique (22/05/2012) Présentation au Collège de la HAS le 27 juin 2012 Publication : juillet 2012
<b>Étude du coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement</b>	Présentation des objectifs, de la méthode d'évaluation, des bases de données et du plan d'analyse statistique : GT1 et GT2 Délai d'extraction des données du SNIIRAM et chaînage aux





## 2. Contexte et objectif de l'évaluation

### Encadré 2. Contexte et objectif de l'évaluation

#### Contexte

Les indicateurs de prise en charge analysés dans le registre REIN montrent une importante diversité dans l'utilisation des différentes modalités de traitement d'une région à l'autre, fruit des habitudes, des écoles, des caractéristiques cliniques des patients et de l'historique de l'offre de soins. Cette diversité s'observe également entre les pays.

Parallèlement est constatée dans tous les pays une hausse tendancielle des dépenses de santé et du nombre de patients en traitement de suppléance pour IRCT.

#### Points-clés

L'hétérogénéité des pratiques en France et à l'étranger ainsi que les facteurs explicatifs tentent à prouver **l'existence de marges de manœuvre dans l'évolution des pratiques de prise en charge des patients traités pour IRCT.**

Cet état des lieux des principaux constats établis concernant la prise en charge de l'IRCT en France et à l'étranger a permis de contextualiser la demande et de mettre en évidence ses objectifs.

À la demande de la CNAMTS et de la DGOS, l'objectif de cette évaluation était de comparer l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge des patients en IRCT, en tenant compte des possibilités d'évolution par rapport à la situation actuelle, dans une perspective d'aide à la décision publique.

La démarche adoptée pour conduire cette évaluation repose sur :

- une revue de la littérature, dont l'objectif était de réaliser un état des lieux des connaissances sur l'évaluation médico-économique de la prise en charge de l'IRCT (chapitre 3) ;
- une analyse du coût de la prise en charge des patients en IRCT, en fonction des différentes modalités de traitement en France et des caractéristiques des patients (chapitre 4) ;
- une modélisation, permettant de simuler différentes évolutions des pratiques à partir de laquelle se fonde l'évaluation de l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge en France (chapitre 5).

## 2.1 Contexte et traitements de suppléance de l'IRCT

### 2.1.1 Épidémiologie de l'insuffisance rénale chronique terminale

Le concept de maladie rénale chronique (MRC) a été développé en 2002 pour faciliter une approche de Santé publique et promouvoir la prévention du risque rénal et de ses complications (5). La MRC est définie comme une diminution progressive des fonctions rénales objectivée par une diminution permanente du débit de filtration glomérulaire (DFG). Elle est généralement classée en 5 stades de sévérité ; le stade 5 correspond à l'insuffisance rénale chronique terminale (IRCT) défini par un DFG inférieur à 15 mL/min/1,73 m<sup>2</sup> (6).

L'IRCT constitue une des complications de nombreuses maladies chroniques dont le diabète et l'hypertension artérielle qui représentent 50 % des causes initiales de démarrage d'un traitement de suppléance.

L'épidémiologie de cette pathologie est connue au travers des données REIN (Réseau Épidémiologie et Information en Néphrologie), registre français des traitements de suppléance de l'IRCT. Depuis 2011, 26 régions françaises (sauf Mayotte) participent au registre au moyen d'un enregistrement exhaustif et continu d'informations sur les patients en IRCT (Site : <http://www.agence-biomedecine.fr/Le-programme-REIN>). Les données citées ci-dessous sont extraites du rapport annuel 2012 (7).

L'incidence de l'IRCT en France était de 154 par million d'habitant en 2012, soit 10 048 nouveaux patients démarrant un traitement de suppléance. La tendance à la stabilisation de l'incidence semble se confirmer pour la cinquième année consécutive dans les 20 régions disposant de 5 ans de recul. Les personnes âgées constituent la majorité des patients incidents (l'âge médian à l'initiation du traitement était de 70,2 ans). Ces patients se caractérisent par des comorbidités associées fréquentes notamment le diabète (42 % des incidents) et les comorbidités cardio-vasculaires (57 % des incidents) dont la fréquence augmente avec l'âge des patients.

Au 31 décembre 2012, 73 491 personnes étaient en traitement de suppléance dont 40 983 (56 %) en dialyse et 32 508 (44 %) porteuses d'un greffon rénal fonctionnel. La prévalence augmente d'environ 4 % par an pour les patients greffés et 2 % par an pour les dialysés. La prévalence globale de l'IRCT était de 1 127 par million d'habitants. Elle est 1,6 fois plus élevée chez les hommes que chez les femmes, et connaît des variations régionales importantes : 3 régions métropolitaines (Île-de-France, Nord-Pas-de-Calais et Lorraine) et les 4 régions d'outre-mer (Guadeloupe, Guyane, Martinique et la Réunion) ont une prévalence globale significativement plus élevée que le taux national.

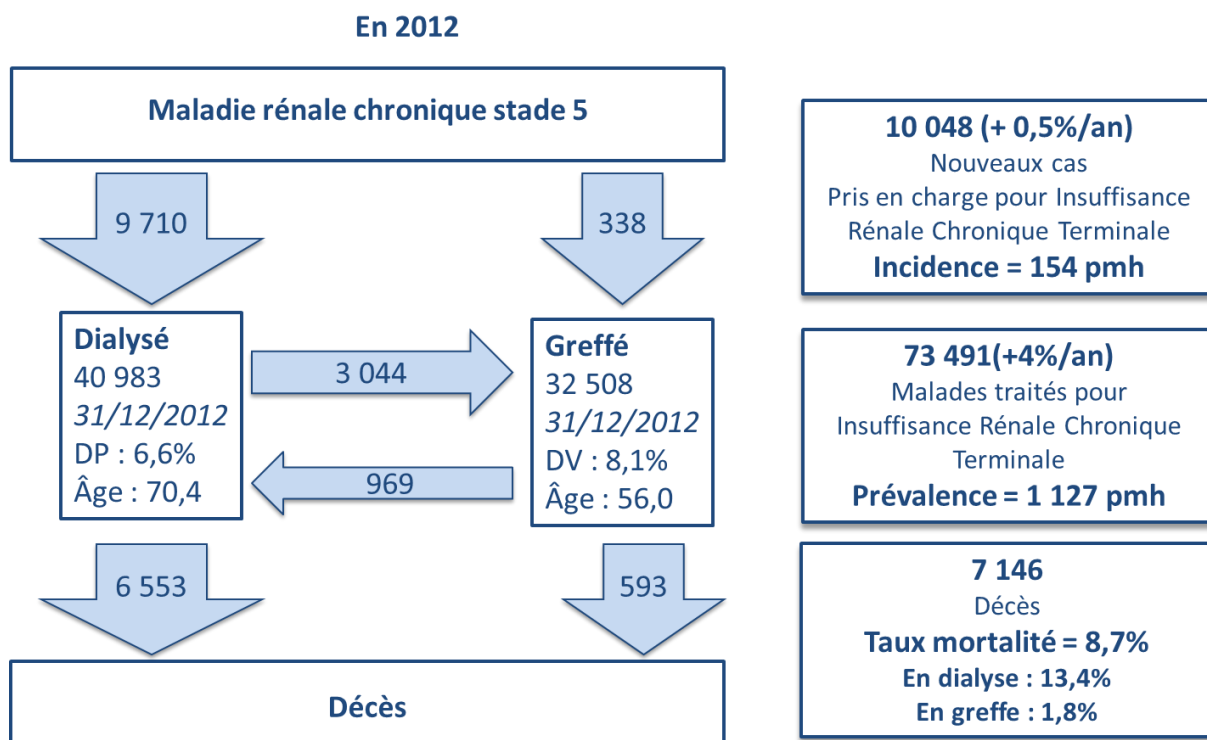
En 2011, la France figurait parmi les pays européens où la prévalence était la plus élevée après le Portugal (1 662 patients par million d'habitants), la Grèce (1 103 patients par million d'habitants) et la Belgique (1 184 – 1 271 patients par million d'habitants). En revanche, elle était loin derrière des pays comme le Japon (2 309 patients par million d'habitants) ou les États-Unis (1 924 patients par million d'habitants) (8).

La probabilité de survie des patients arrivant au stade du traitement de suppléance de leur insuffisance rénale chronique était de 83 % à 1 an, 51 % à 5 ans, et 32 % à 10 ans, toutes modalités de traitement confondues, et ce, malgré un nombre important de comorbidités et un âge médian de 70 ans. Il existe une surmortalité chez les patients diabétiques et les patients avec plusieurs comorbidités cardio-vasculaires. L'âge influence également fortement la survie en dialyse qui est de 77 % à 5 ans chez les moins de 65 ans, contre 16 % chez les plus de 85 ans.

D'après les données REIN, parmi les patients présents en dialyse au 31/12 de chaque année, la part des plus de 75 ans augmente régulièrement (36 % en 2008, 39 % en 2012), de même que le pourcentage de personnes diabétiques (38 % vs 34 %). En revanche, le pourcentage de personnes avec au moins une comorbidité cardio-vasculaire est stable à 59 % (7).

Les principales données épidémiologiques fournies par le registre REIN pour l'année 2012 sont résumées dans le schéma ci-dessous (7).

Figure 1. Épidémiologie de l'insuffisance rénale chronique terminale en France en 2012



Source : rapport REIN 2012

## 2.1.2 Modalités de traitement et caractéristiques des patients

### ► Différentes modalités de traitement selon la technique et l'organisation de la prise en charge

L'IRCT nécessite la mise en œuvre de techniques de suppléance de la fonction rénale par transplantation ou dialyse. Hormis quelques greffes préemptives (3 % des patients incidents), dans la majorité des cas, le traitement de première intention est l'épuration extra-rénale, par dialyse. Il existe deux méthodes d'épuration extra-rénale qui se distinguent par la technique : la dialyse péritonéale utilisant le péritoine comme membrane d'échange et l'hémodialyse utilisant une membrane artificielle et une circulation extracorporelle.

Les modalités de traitement se distinguent également par l'organisation de la prise en charge :

- modalités de prise en charge « autonomes » : hémodialyse à domicile, dialyse péritonéale à domicile sans l'assistance d'une infirmière et unité d'autodialyse ;
- modalités de prise en charge « assistées » : hémodialyse en centre, hémodialyse en unité de dialyse médicalisée (UDM) et dialyse péritonéale à domicile avec assistance d'une infirmière.

L'alternative au traitement de suppléance est un traitement « palliatif » de confort ou « active conservative management » qui n'a pas été pris en compte dans la présente évaluation (9-11).

L'hémodialyse se réalise à l'aide d'une circulation extracorporelle qui va permettre des échanges entre le sang et un liquide à composition variable (dénommée dialysat) à travers une membrane artificielle (dénommée dialyseur). Cette technique nécessite la mise en place d'une voie d'abord vasculaire (fistule artério-veineuse, cathéter tunnelisé, pontage ou autre). En fonction de la fréquence et de la durée des séances on distingue :

- l'hémodialyse conventionnelle avec un rythme de trois séances hebdomadaires de quatre heures est la modalité de traitement la plus fréquente pratiquée dans différents lieux de prise en charge (centre, UDM, autodialyse, domicile) ;
- l'hémodialyse quotidienne avec un nombre de séances par semaine supérieur ou égal à 5 est peu développée en France (environ 1 % des patients selon les données REIN pour l'année 2012). Celle-ci se fait soit en dialyse longue (de nuit, avec des séances d'au moins 6 h), soit en dialyse courte (de jour, avec des séances de 2 à 5 h), soit au domicile (20 %), soit en unités d'autodialyse (20 %), soit en UDM (10 %) ou en centre de dialyse (50 %) pour les cas graves et compliqués ;
- l'hémodialyse longue dont la durée des séances est supérieure ou égale à 6 heures (0,8 % des patients selon les données du registre REIN pour l'année 2012), s'effectue 2 à 3 fois par semaine (respectivement 7 % et 89 % des patients), parfois dans le cadre d'une dialyse quotidienne (1 % des patients), soit au domicile (7 %), soit en unité d'autodialyse (36 %), soit en UDM (19 %) ou en centre (38 %).

Les patients en hémodialyse (HD) vont être traités dans des structures différentes selon la nécessité d'une présence médicale permanente (HD en centre) ou à proximité (HD en UDM). Les patients plus ou moins autonomes peuvent être pris en charge dans des unités d'autodialyse (avec ou sans assistance d'une infirmière) ou à domicile. L'hémodialyse à domicile peut être pratiquée de façon conventionnelle (avec un rythme de trois séances hebdomadaires) ou bien de façon quotidienne.

La dialyse péritonéale (DP) est une technique qui utilise les capacités de filtration du péritoine (membrane qui enveloppe les différents organes de la cavité abdominale et le tube digestif). Pour cela, 3 à 4 fois par jour, on ajoute et on soustrait de l'abdomen un liquide de dialyse, par l'intermédiaire d'un cathéter de dialyse, que l'on a placé par voie chirurgicale dans l'abdomen. Lorsque les échanges sont effectués automatiquement par une machine, (généralement toutes les nuits), on parle de dialyse péritonéale automatisée (DPA). Lorsque les échanges sont manuels, on parle de dialyse péritonéale continue ambulatoire (DPCA). Ce traitement de suppléance se déroule au domicile ou dans le lieu de vie du patient. Certains patients traités par DPA ou DPCA sont totalement autonomes ; d'autres bénéficient de l'assistance d'une infirmière à domicile (DPA et DPCA assistée)<sup>5</sup>.

La transplantation rénale, qui peut être effectuée à partir d'un donneur décédé ou d'un donneur vivant (inférieure à 10 %) reste la modalité de traitement associée à la meilleure qualité de vie des patients (12, 13). Alors que respectivement 30 et 20 % des dialysés ont une qualité de vie « très altérée » pour les scores résumés physique et mental, c'est le cas pour 7 % et 8 % des greffés rénaux.

Quelle que soit la technique de suppléance, le choix de la modalité de traitement est conditionné par le consentement des patients.

Les indicateurs de prise en charge analysés dans le registre REIN mettaient en évidence que les différentes modalités de traitement n'étaient pas utilisées dans les mêmes proportions (REIN 2012).

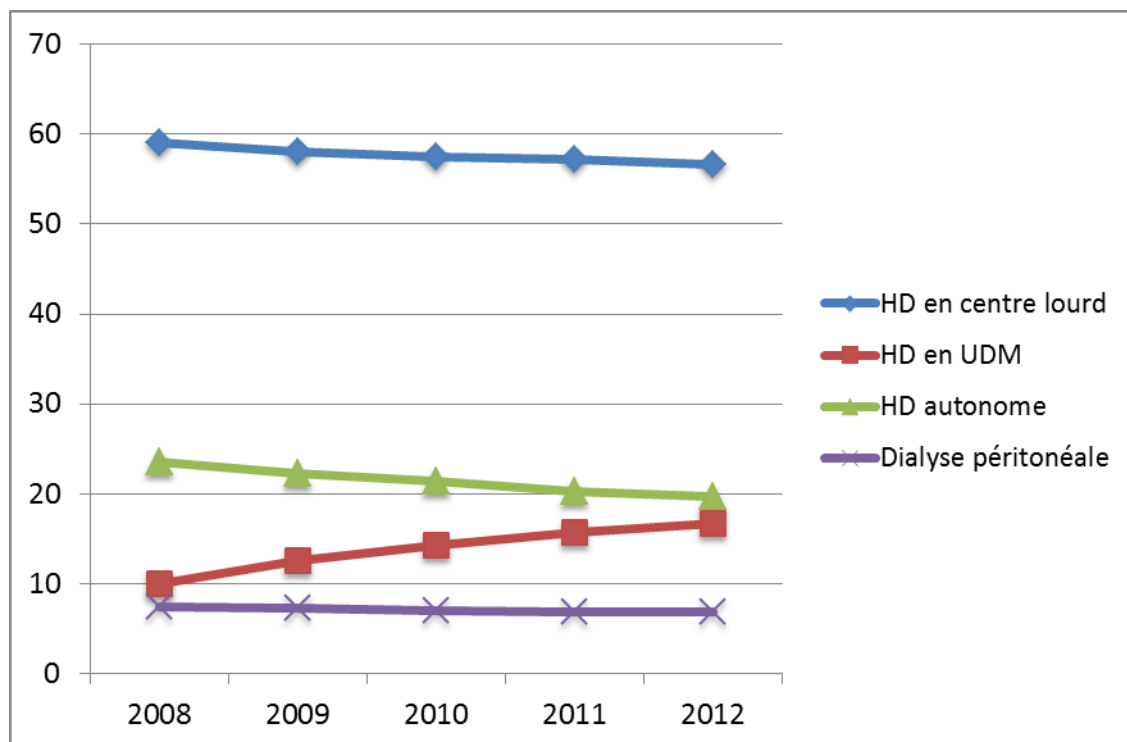
- Au 31/12/2012, 40 983 (56 %) étaient traités par dialyse et 32 508 (44 %) porteurs d'un greffon rénal fonctionnel.
- La technique de dialyse dominante restait l'hémodialyse (93 %), et la répartition des patients entre les différentes modalités de traitement différait fortement : 57 % pour l'hémodialyse en centre, 16 % pour l'UDM, 19 % pour l'autodialyse, 1 % pour l'hémodialyse à domicile, 1 % pour l'entraînement et environ 7 % pour la dialyse péritonéale (3 % DPA et 4 % DPCA).
- L'hémodialyse quotidienne concernait 1 % des patients.

<sup>5</sup> Cf. Registre de dialyse péritonéale de langue française : <http://www.rdpf.org/>

La Figure 2 illustre l'évolution de la répartition des patients en dialyse selon les différents modes de prise en charge entre 2008 et 2012.

Elle montre une évolution relativement stable des patients traités par dialyse péritonéale et une légère tendance à la baisse de ceux en hémodialyse en centre, une augmentation de ceux pris en charge en UDM de façon concomitante au déploiement de ces structures, et une décroissance des modalités de traitement autonome en hémodialyse (autodialyse et domicile). D'après les données REIN, la part de l'UDM augmente régulièrement (10 % en 2008, 17 % en 2012), alors que la dialyse péritonéale est stable à 6 % et que l'HD en centre et en autodialyse sont en baisse (59 % et 23 % en 2008 vs 57 % et 20 % en 2012).

Figure 2. Répartition des patients dialysés au 31/12 de chaque année dans 20 régions (registre REIN)



### ► Caractéristiques des patients en fonction des modalités de traitement : une importante variabilité des profils

Il existe une importante variation des profils de patients, en particulier, selon l'âge et la présence de comorbidités, en fonction des modalités de traitement (cf. Tableau 2, page 24) (14) :

- l'âge médian des patients dialysés était plus élevé chez les patients en dialyse péritonéale, que pour ceux en hémodialyse (7 ans de différence entre DPCA assistée et HD en centre), et les patients de plus de 75 ans représentaient 71 % des patients en DPCA assistée contre 43,5 % des patients en hémodialyse en centre ;
- il existait un gradient décroissant du nombre moyen de comorbidités entre la DPCA assistée et la DPA non assistée identique à celui existant entre les structures médicalisées d'hémodialyse vers les plus autonomes.

Alors que l'on assiste à une stabilisation du vieillissement des patients au démarrage de la dialyse (âge médian à 71 ans), et à une augmentation régulière du nombre de patients avec un diabète (40 % en 2008 vs 43 % en 2012 dans 20 régions) ou une obésité (19 % en 2008 vs 24 % en 2012), la fréquence des comorbidités cardio-vasculaires est stable (7). Conjointement, du fait

d'une amélioration de la survie des patients, l'âge des patients en dialyse continue à progresser. Ils étaient 36 % à avoir plus de 75 ans en 2008, ils sont actuellement 39 %. En revanche, la fréquence des comorbidités cardio-vasculaires est stable à 59 % chez ces patients prévalents en dialyse.

Les patients traités par dialyse péritonéale regroupent la même variabilité de profils de patients telle que l'on peut l'observer dans les différentes modalités d'hémodialyse (centre, UDM, autodialyse et domicile), ce qui souligne l'aspect souvent réducteur lié au fait de considérer dans un seul ensemble, « dialyse péritonéale », des patients ayant des caractéristiques variées (cf. 2.2.1).

Les différences en termes de comorbidités et d'âge expliquent également les proportions différentes de patients inscrits sur la liste nationale d'attente d'un greffon rénal dans chacune de ces modalités de dialyse. Dans le rapport REIN 2012, l'accès à la liste d'attente a été évalué pour 26 régions, sur une cohorte de 71 299 nouveaux patients ayant débuté la dialyse entre 2002 et 2012. La probabilité d'être inscrit pour la première fois sur la liste d'attente d'une greffe rénale était, tout âge confondu, de 4,8 % au démarrage de la dialyse (malades inscrits en intention de greffe préemptive), 17 % à 12 mois, 25 % à 36 mois et 27 % à 72 mois. La probabilité d'être inscrit était fortement liée à l'âge, au diabète et à la région. Il existe, en effet, une sélection des patients jeunes et en bon état clinique pour la greffe. Selon les données du rapport REIN pour l'année 2012, l'âge médian des patients porteurs d'un greffon rénal fonctionnel était de 56 ans et de 70,4 ans pour les patients en dialyse.

**Tableau 2. Les caractéristiques des patients en dialyse selon le mode de traitement de suppléance (données REIN au 31/12/2011)**

Patients présents en dialyse au 31/12/2011 (données registre REIN)								
	HD en centre lourd	HD en UDM	HD en autodialyse	HD à domicile	DPCA assistée	DPA assistée	DPCA non assistée	DPA non assistée
Effectif (n)	22699	5881	7777	232	911	275	473	717
Répartition (%)	58,3	15,1	20	0,6	2,3	0,7	1,2	1,8
Age moyen (ans)	74	68,4	61,4	55,8	81,4	74,4	66,6	59,2
% patients >75 ans	47	33,1	20,6	8,6	74,5	48	30,9	17,3
% Femmes	42,5	37	36	26,7	54,2	44,7	39,8	36,4
IMC moyen (kg/m <sup>2</sup> )	24,9	25,2	24,4	23,8	25,5	25,2	26	25
%patients avec IMC>30kg/m <sup>2</sup>	20,1	20,1	15,8	14,1	20,9	19,4	21,8	16,5
Nombre moyen de comorbidités	2	1,6	1,1	1	2,1	1,8	1,5	1,1
avec diabète (%)	42,3	34,4	23,5	13,7	43	43,6	32	23,3
avec comorbidité cardiovasculaire (%)	66	57,8	42,2	38,8	72,3	63,1	52	40,7
avec coronaropathie (%)	30,5	25	17,5	21,5	31,1	27,3	26,1	20,3
avec ATCD d'infarctus myocarde (%)	12,4	10,3	6,7	8,5	14,3	8,4	10,8	8,4
avec insuffisance cardiaque (%)	27,1	20,2	14,9	8,9	38,1	32,5	22,8	15,7
avec trouble du rythme (%)	24,9	21,4	12,7	12,1	30,4	24,1	18,2	12,8
avec artérite des membres inf (%)	29,5	23	15,2	14,7	27,3	26,3	15,7	13,9
avec ATCD d'AVC ou AIT (%)	14,4	9,6	7	4	14,8	11,7	9,3	7,9
avec Insuffisance respiratoire (%)	14,1	10,6	7,7	3,6	12,2	9,9	9	5,9
avec cancer évolutif (%)	10,7	9	7,4	6,3	7,8	8,8	7,5	6,1
avec cirrhose (%)	2,2	2	1,7	0,9	1,2	2,2	1,7	1,9
Marche autonome (%)	76,8	92	96,5	93,5	73,5	79,3	96	97,3
Incapacité totale (%)	6,5	1,6	0,6	0,9	5,9	5,4	0,9	1,4
Avec au moins 1 handicap (%)	24,7	15	9,2	13	26	21,6	8,2	7,7
avec tr comportement (%)	5,2	2,6	1,4	1,8	6,8	3,8	1,3	1,4
avec hémi ou paraplégie (%)	2,9	1,1	0,7	1,3	2	3,8	0,2	0,7
avec cécité (%)	4,9	3,4	1,9	1,3	5	6,4	1,1	1,7
avec amputation (%)	4,9	1,9	1,1	1,8	2,2	3,4	1,3	0,7
Inscrit sur liste attente (%)	9,8	19,6	29	32,8	3,3	10,8	21,2	36,1



### 2.1.3 Cadre réglementaire lié à l'organisation de l'offre de soins en France

La transplantation rénale s'inscrit dans le cadre juridique de la loi de bioéthique 2011-814 du 7 juillet 2011 (15). Le décret n° 2006-73 du 24 janvier 2006 précise l'organisation retenue pour l'activité de greffe (16). L'organisation de cette activité est structurée dans le cadre d'un schéma interrégional d'organisation sanitaire (SIOS) ou du SROS-PRS selon un découpage défini de façon réglementaire. Elle doit en premier lieu favoriser l'augmentation de cette activité afin de mieux répondre aux besoins de la population. En second lieu, une attention particulière doit être portée à l'organisation de la filière de prise en charge des patients afin d'améliorer l'accès à la greffe et le suivi au long cours des patients transplantés. Le cadre réglementaire de l'activité de transplantation a fait l'objet d'une présentation détaillée dans le volet spécifique au développement de la transplantation rénale (3).

Depuis la réforme hospitalière de 1991, le traitement de l'insuffisance rénale chronique par épuration extra-rénale faisait l'objet d'un double régime d'autorisation : une autorisation d'activité de soins et une autorisation, au titre des équipements lourds, portant sur les générateurs de dialyse. Un indice de besoin national était arrêté pour les appareils de dialyse en centres de traitement pour adultes. Cet indice servait de limite aux indices régionaux exprimés en nombre d'appareils par habitants, fixés par le directeur de l'Agence Régionale de l'Hospitalisation (ARH) pour une durée de 7 ans. Les appareils hors centre de dialyse n'étaient pas quantitativement limités.

L'augmentation continue du nombre de patients associée au contingentement des appareils en centre lourd a entraîné des effets pervers : saturation des places et inadéquation de la prise en charge de certains patients, diminution de la durée des séances, perte de qualité du traitement.

En 2001, le plan « insuffisance rénale chronique » s'est traduit par la suppression de l'indice national de besoin et la définition d'une nouvelle réglementation relative aux conditions d'implantation et aux modalités de fonctionnement des installations pour les établissements de santé qui exercent cette activité de soins.

Les deux décrets publiés le 23 septembre 2002, décret en Conseil d'État n° 2002-1197 et décret n° 2002-1198 définissent le nouveau cadre réglementaire de l'activité de traitement de l'IRCT par épuration extra-rénale et les conditions techniques de fonctionnement des établissements qui exercent cette activité (17, 18).

Pour chacune des modalités de traitement, le dispositif réglementaire précise les conditions techniques de fonctionnement (modalités d'installation de la structure de soins, présence médicale et astreinte, nombre d'IDE par patient, fréquence des visites et consultations, organisation des replis). Il donne également des indications générales sur les profils des patients selon une graduation de l'offre de soins.

- L'hémodialyse en centre s'adresse à des patients « *traités par hémodialyse périodique, dont l'état de santé nécessite au cours de la séance la présence permanente d'un médecin* ». Elle a lieu dans un établissement de santé permettant l'hospitalisation à temps complet du patient.
- L'unité de dialyse médicalisée, créée en 2002, s'adresse aux patients « *qui nécessitent une présence médicale non continue pendant la séance de traitement ou qui ne peuvent, ou ne souhaitent pas être pris en charge à domicile ou en unité d'autodialyse* ».
- L'autodialyse dite simple est offerte à « *des patients formés à l'hémodialyse en mesure d'assurer eux-mêmes tous les gestes nécessaires à leur traitement* » ; l'autodialyse assistée est offerte à « *des patients formés à l'hémodialyse mais qui requièrent l'assistance d'un IDE pour certains gestes* ». Les conditions d'implantation des unités d'autodialyse ne sont pas définies.
- L'hémodialyse à domicile est offerte à « *des patients formés à cette technique, en mesure d'assurer habituellement eux-mêmes tous les gestes nécessaires à leur traitement, en présence d'une personne de l'entourage habituel, qui peut leur prêter assistance* ». Les

patients sont formés à la technique lors de séances d'entraînement. La prise en charge à domicile requiert la présence d'une tierce personne ; « *l'aide d'une IDE peut être sollicitée* ».

- La dialyse péritonéale est réalisée à domicile (ou dans le lieu où le patient réside, même temporairement). Qu'elle soit manuelle ou automatisée (DPCA et DPA), « *cette technique est pratiquée par le patient lui-même avec ou sans l'aide d'une tierce personne* ». Les patients sont formés à la technique lors de séances d'entraînement, et peuvent bénéficier de l'assistance d'une IDE (DPA et DPCA assistée).

Ce cadre réglementaire a été instauré dans l'objectif de « *garantir aux patients le libre choix, offrir une prise en charge de qualité et adaptée, préserver une offre de soins de proximité, préserver une offre de soins diversifiés en permettant le développement de la dialyse péritonéale, assurer la continuité de la prise en charge et l'orientation des patients entre les diverses modalités de traitement* » (17). Il se substitue à la régulation quantitative de l'offre de soins fondée sur l'indice national en prenant en compte les besoins des patients en termes de niveau de prise en charge comme en termes de proximité de traitement.

Pour l'ensemble des modalités, l'organisation de la prise en charge est déterminée à partir d'une structuration territoriale de l'offre fondée sur les SROS (Schémas Régionaux d'Organisation Sanitaire) (17). Élaborés en concertation avec les professionnels et les usagers, ils fixent des objectifs à 5 ans, et déterminent la répartition de l'offre de soins entre les différentes modalités de traitement (objectifs quantifiés en nombre de sites par territoire de santé), en tenant compte de l'évaluation des besoins, des ressources humaines disponibles et des conditions d'accès aux modalités de traitement au sein du territoire selon les principes suivants :

- proposer une offre de soins graduée permettant de prendre en charge globalement le patient et de répondre à toutes les étapes de sa trajectoire de soins ;
- prendre en charge des patients en dialyse médicalisée et développer les UDM ainsi que les alternatives à la dialyse en centre (dialyse à domicile en particulier, par dialyse péritonéale ou hémodialyse) ;
- implanter, a minima, une unité saisonnière en structure médicalisée ;
- participer à l'atteinte des objectifs fixés dans le projet médical de territoire, notamment par l'information et l'orientation du patient.

Depuis 2009, le SROS a connu deux innovations majeures : son intégration au sein du Projet Régional de Santé (PRS) et l'extension de son champ d'application à l'offre de soins ambulatoire. Pour marquer la spécificité du schéma issu de la loi HPST, il est dénommé « SROS-PRS ». Concernant la prise en charge de l'IRCT, il encourage le recours à la télémédecine afin de développer la dialyse hors centre et, en particulier, les UDM de proximité, l'amélioration de la qualité et de la sécurité des soins en ce qui concerne la surveillance et le suivi des patients pris en charge (19). La HAS a publié des recommandations sur les conditions de fonctionnement des UDM de proximité par télémédecine (20).

Le cadre réglementaire lié à l'organisation de l'offre de soins pour les patients traités pour IRCT en France, sans déterminer une orientation selon le profil des patients et en insistant sur la liberté de choix, s'inscrit dans une politique sanitaire qui a cependant marqué la volonté d'un développement de la greffe rénale et de la prise en charge hors centre de dialyse : orientation de la politique nationale concernant le développement de la transplantation (21) et propositions d'objectifs, cibles et orientations pour la mise en œuvre de plans d'action dans le cadre du programme de gestion du risque sur l'insuffisance rénale chronique terminale (GDR-IRCT) (22).

## 2.1.4 Évolution de la démographie médicale en néphrologie

L'Atlas de la démographie médicale en France a analysé les professions impliquées dans la prise en charge de l'insuffisance rénale chronique (23, 24). Les conclusions précisent que la néphrologie est une spécialité qui s'est construite dans une logique de proximité pour faciliter aux patients

l'accès au traitement par dialyse. Or, cette évolution entre à présent en contradiction avec, d'une part, l'évolution de la démographie des néphrologues et de leur répartition géographique, et, d'autre part, les exigences de la permanence des soins, de sécurité et de qualité des prises en charge mais aussi, les aspirations des jeunes générations de spécialistes qui expriment de plus en plus le souhait d'un travail collectif en équipe.

Si, l'évolution des effectifs des néphrologues fait apparaître une tendance à la hausse constante et régulière entre 1999 et 2009, d'importantes inégalités concernant la densité de néphrologues par région sont constatées (ces inégalités régionales sont également constatées dans l'étude de la répartition des néphrologues en tenant compte des données de prévalence) (23).

Les changements possibles dans l'organisation de la prise en charge actuelle des patients traités pour IRCT doivent ainsi tenir compte de l'évolution de la démographie médicale en néphrologie, du besoin en néphrologues (en particulier des structures de prise en charge qui imposent une présence permanente ou non) et aussi des IDE formés à la dialyse (notamment pour les prises en charge assistées à domicile).

### **2.1.5 Coût élevé de la prise en charge de l'IRCT**

Dans les pays développés, l'augmentation de l'incidence de l'IRCT notamment liée au vieillissement des populations s'accompagne d'une hausse tendancielle des dépenses de santé (25).

Si les montants consacrés à la prise en charge de l'IRCT étaient variables d'un pays à l'autre, ils représentaient une part importante du budget global des dépenses de santé comme le montrent ces exemples tirés de la littérature :

- Aux États-Unis, en 2004, le coût de la prise en charge de l'IRCT a été estimé à 7 % du budget de Medicare pour 5 % de la population ; la dépense était en croissance régulière depuis 1993 (26). Les États-Unis ont le niveau de dépense de prise en charge de l'IRCT par an et par patient le plus élevé des pays participant à l'étude DOPPS<sup>6</sup> (27).
- Au Canada, le coût global de l'IRCT était de 1,9 milliards d'euros (28), soit environ 1,2 % des dépenses globales de santé (29).
- En Grèce, le coût de la prise en charge de l'IRCT a été estimé à 2 % des dépenses totales de santé pour seulement 0,05 % de la population (30).
- En Nouvelle-Zélande, les dépenses consacrées à l'IRCT représentaient 0,91 % des dépenses de santé avec un coût total de 5,1 million \$ PPA 2003 et de 23 372 \$ PPA 2003 par patient (31).
- En Italie, le coût de traitement de l'IRCT représentait 1,8 % des dépenses de santé pour 0,083 % de la population (32).
- En Espagne, les dépenses consacrées à l'IRCT représentaient 1,5 % de la dépense totale de santé, et moins de 1 % de l'IRCT était pris en charge par les assurances privées (33).
- En Belgique, 1,8 % des dépenses de santé étaient consacrées à l'IRCT en 1999 alors que seulement 0,04 % de la population était concernée (34).

En France, l'Assurance maladie a estimé le coût de l'IRCT à 4 milliards d'euros à partir de 60 900 patients en traitement de suppléance (27 300 patients transplantés et 33 500 dialysés dont 92 % étaient traités par hémodialyse et 8 % par dialyse péritonéale) (1). Ainsi, 77 % du coût concernait le traitement par hémodialyse, 5 % le traitement par dialyse péritonéale et 18 % la greffe de rein (1). Selon cette étude conduite sur des données de 2007, le coût moyen annuel en hémodialyse était de 88 608 € et sous dialyse péritonéale de 64 450 € ; la greffe rénale avait un

---

<sup>6</sup> *Dialysis Outcomes and Practice Patterns Study (DOPPS)* est une étude sur les pratiques de dialyse mise en œuvre depuis 1996 et concernant plus de 20 pays.

coût moyen proche de celui de l'hémodialyse l'année de la greffe mais bien moindre les années suivantes (20 147 €) (35). Sur cette base, aux horizons 2025 et 2050, du seul fait du vieillissement de la population, l'Assurance maladie a estimé que le coût lié à la prise en charge de l'IRCT devrait atteindre 5 à 6 milliards d'euros, et cela sans prendre en compte l'augmentation de la prévalence de l'IRCT.

## 2.2 État des lieux des pratiques de prise en charge et possibilités d'évolutions

### 2.2.1 Hétérogénéité des pratiques de prise en charge en France et dans les autres pays

Le panorama global de la répartition des patients selon la modalité de traitement met en évidence des variations de pratiques entre pays européens, mais également entre régions françaises.

#### ► D'importantes disparités régionales en France dans l'accès à la transplantation rénale et dans l'utilisation des modalités de dialyse

Les indicateurs relatifs à l'activité de transplantation rénale mettent en évidence un décalage entre le nombre de patients inscrits sur la liste d'attente et le nombre de greffes réalisées qui est en constante augmentation ; des disparités sont également constatées au niveau régional concernant l'accessibilité à la greffe rénale, et, au niveau national, concernant le développement de la greffe à partir de donneurs vivants par rapport aux autres pays développés (7, 36).

Ainsi, la part des porteurs de greffon dans le total des patients prévalents variait, en métropole, de 33 % dans le Nord-Pas-de-Calais à 53 % en Pays de Loire et de 16 % à 25 % dans les régions d'outre-mer. Le rapport patients greffés/patients dialysés est supérieur à 1 en Basse-Normandie, Bretagne, Franche-Comté, Pays de Loire et Poitou-Charentes. En Alsace, Haute Normandie, Languedoc-Roussillon, Nord-Pas-de-Calais, Picardie et PACA, ce rapport est inférieur à 0,7 et il est inférieur à 0,35 dans les régions d'outre-mer. La part de la greffe préemptive dans l'activité de greffe d'une région est très variable d'une région à l'autre, variant de 0 % à 23 %. De même, l'activité de retransplantation peut représenter jusqu'à 23 % de l'activité de greffe d'une région.

L'accès à la liste d'attente puis à la greffe rénale est fortement lié à l'âge, à l'absence de comorbidités majeures et à la région. La probabilité d'être inscrit 24 mois après le démarrage d'un traitement par dialyse varie de 44 % à 74 % selon la région de traitement pour les patients de moins de 60 ans. Cependant, ces chiffres ne tiennent pas compte de l'état clinique des patients. Les disparités d'accès à la liste d'attente soulèvent des questions importantes, et en particulier, celle de l'absence d'homogénéité des critères d'inscription des patients sur l'ensemble du territoire français : un travail est actuellement en cours à la HAS concernant les critères d'orientation vers une équipe de transplantation et les critères d'inscription sur la liste d'attente nationale (37). Cette question ne sera donc pas traitée dans la présente évaluation.

Concernant les modalités de dialyse, les indicateurs de prise en charge analysés dans le registre REIN montraient une importante diversité dans l'utilisation des différentes modalités de dialyse des pratiques d'une région à l'autre, fruit des habitudes, des écoles et de l'historique de l'offre de soins (7).

- La proportion de patients en dialyse péritonéale variait de moins de 2 % en Aquitaine, Guyane et Guadeloupe à 20 % en Franche-Comté. Elle variait également d'une région à l'autre selon l'âge des patients, certaines utilisant la dialyse péritonéale à tout âge, d'autres chez les personnes âgées ou à l'inverse chez les jeunes en pont vers la greffe.

- Si la modalité de dialyse dominante reste l'hémodialyse en centre, la part de la dialyse hors centre variait de 34 % à 56 % selon les régions et la répartition entre UDM, autodialyse et dialyse péritonéale différait. Par exemple, les régions où se pratique peu la dialyse péritonéale, avaient une proportion élevée de patients en autodialyse. Ces constats tendent à montrer que dans certains cas, les modalités de traitements sont compétitives et s'adressent au même « pool » de patients (ex : dialyse péritonéale non assistée et autodialyse).
- À l'initiation du traitement, 10,6 % des patients débutent par une dialyse péritonéale, mais ce pourcentage varie aussi considérablement d'une région à l'autre : moins de 5 % Picardie, en Midi-Pyrénées, en Aquitaine, en Guadeloupe et Guyane, à plus de 20 % en Alsace, Auvergne, Bourgogne, Corse, Basse-Normandie et en Franche-Comté. En outre, peu de patients démarraient d'emblée en UDM ou en autodialyse, le transfert vers ces modalités s'effectuant en général dans les six premiers mois après une période d'entraînement pour l'autodialyse ou une stabilisation de l'état clinique pour l'UDM.
- L'évolution observée au court du temps dans les 20 régions avec un recul de 5 ans montrait (7) une progression de l'UDM de 1,6 % par an entre 2008 et 2012 (10,1 % en 2008 à 16,7 % en 2012), une baisse de l'HD centre de 0,6 % par an (59,1 % en 2008 à 56,7 % en 2012), une baisse de l'HD autonome de 1 % par an (23,5 % en 2008 à 19,7 % en 2012), une stabilité de la DP (7,4 % en 2008 à 6,9 % en 2012).

Même si d'une région à l'autre les différences de caractéristiques cliniques des patients et l'offre de soins peuvent expliquer en partie les disparités observées, les indicateurs du registre REIN analysés depuis 2002 mettent en évidence la persistance d'importantes disparités régionales dans la prise en charge des patients qui s'observent sur le recours aux différentes techniques de dialyse et le lieu de traitement : prédominance de l'hémodialyse en centre par rapport aux modalités « hors centre », UDM, autodialyse et dialyse à domicile.

Or, le cadre réglementaire, sans déterminer une orientation selon le profil des patients et en insistant sur la liberté de choix, a marqué la volonté d'un développement de la prise en charge en hors centre. Quelle est alors la position de la France par rapport aux pratiques de prise en charge observées dans d'autres pays ?

### ► Disparités interpays et à l'étranger dans les pratiques de prise en charge des patients en IRCT

Lorsque les pratiques des pays étaient comparées, des disparités dans l'utilisation des différentes modalités de traitement s'observaient également. Les données chiffrées qui ont pu être identifiées dans la littérature variaient d'une étude à l'autre selon l'année de référence, mais toutes mettaient en évidence le même constat : l'existence de disparités interpays dans la prise en charge de l'IRCT. La France se situe ainsi parmi les pays européens avec la plus faible utilisation de la dialyse péritonéale, loin derrière les pays scandinaves. En revanche, avec 44 % de porteurs de greffon, la France se trouve dans la moyenne européenne.

- La part des patients porteurs de greffon était variable d'un pays à l'autre (38). Dans les pays du Nord de l'Europe plus de la moitié des patients sont transplantés avec un maximum à 72 % pour la Norvège.
- Le taux par millions d'habitants de donneurs décédés de reins variait de 13,6 en Suisse à 34,4 en Espagne (39).
- L'utilisation de la dialyse péritonéale et de l'hémodialyse était également variable d'un pays à l'autre : près de 80 % des patients étaient pris en charge par dialyse péritonéale à Hong Kong et à Jalisco (Mexique), alors que cette technique était utilisée à moins de 5 % au Japon, au Bangladesh et au Luxembourg (40). D'autres études indiquaient qu'en Nouvelle-Zélande, 45 % des patients étaient traités par dialyse péritonéale et 41 % par hémodialyse (31) ; qu'en Espagne, 48 % étaient traités par hémodialyse et 5 % par dialyse péritonéale (33) ; qu'en Suède, 12 % des patients étaient traités par dialyse péritonéale (41). Par ailleurs, l'initiation au traitement par dialyse péritonéale était de 28,1 % au Royaume-Uni, contre seulement 4,2 à

8,3 % dans d'autres pays (42). Les données européennes enregistrées au 31/12/2011 ont confirmé ces disparités (43). En 2011, l'utilisation de la dialyse péritonéale variait de 4 % en France à 11 % au Danemark et en Roumanie, celle de l'hémodialyse variait de 24 % pour la Norvège à plus de 70 % dans les pays de l'Est (Serbie, Bosnie Herzégovine, Roumanie, etc.) (38).

- La prise en charge à domicile avait également une place très variable d'un pays à l'autre. En Nouvelle-Zélande, 51 % des patients dialysés étaient traités à domicile dont 14 % en hémodialyse en 2003 (31). Cette modalité était utilisée de manière anecdotique en Espagne (0,5 %) (33). Le recours à l'hémodialyse à domicile variait de moins de 1 % dans de nombreux pays à 16 % en Nouvelle-Zélande (42). Une étude portant plus spécifiquement sur la place accordée à l'hémodialyse à domicile dans 21 pays à haut revenu et 12 pays à revenu moyen montrait que son utilisation variait de 0 à 58 patients par million d'habitants (pmh) (44).

Ces disparités dans le recours aux modalités de traitement ont été soulignées dans de nombreux articles, la part de chacune des trois techniques de traitement n'étant toutefois pas nécessairement stable dans le temps. Par exemple, l'utilisation de la dialyse péritonéale a diminué aux États-Unis entre 1995 et 2005, passant de 16 % à 6,6 % (45, 46). En Angleterre et en Écosse, d'après une étude de 2007, un changement s'opérait dans certaines régions où une prise en charge spécialisée en soin palliatif était considérée de plus en plus souvent comme une alternative à la dialyse (47).

Dans la plupart des pays, les orientations en termes de politique de santé annoncées marquaient la volonté de limiter l'utilisation de l'hémodialyse en centre au profit d'une expansion de la prise en charge hors centre (47-49) et à domicile, notamment par dialyse péritonéale (45, 50-52). Cet objectif n'a pas été atteint dans les mêmes proportions par l'ensemble des pays.

Par ailleurs, les indicateurs nationaux ne doivent pas masquer les réalités régionales plus contrastées, d'importantes variations régionales ont pu être mises en évidence dans de nombreux pays, et cela, quelle que soit la technique et/ou la modalité de prise en charge considérée. Par exemple, la place de l'hémodialyse à domicile variait de 5,1 à 74,5 pmh en Australie et de 0 à 27,1 pmh en Écosse selon les régions (44).

Enfin, les pays participant à l'étude DOPPS présentaient des différences en termes de pratiques, mais également en termes de mortalité, de taux d'hospitalisation et de qualité de vie (42, 53, 54). Ces variations suggéraient l'existence de pistes d'amélioration comme l'a notamment indiqué l'étude de Young en 2000 (55).

## **2.2.2 Facteurs associés aux disparités interrégionales dans les pratiques de prise en charge en dialyse**

Les disparités régionales doivent être interprétées au regard de l'hétérogénéité des caractéristiques cliniques des patients d'une région à l'autre.

D'un point de vue clinique, il existe peu de contre-indication aux différentes modalités de prise en charge, et il n'y a pas de recommandations établies en fonction d'un profil de patient par âge, comorbidités, facteurs de risque. Concernant le choix de la technique de dialyse, les recommandations de la HAS sur les « indications et non-indications de la dialyse péritonéale chronique chez l'adulte » publiées en 2007, sont en effet assez larges, et ne permettent pas d'établir des profils particuliers de patients (56). L'hétérogénéité des pratiques en fonction des caractéristiques des patients reflétait l'absence de consensus médical sur les critères de choix, et mettait en évidence la présence de facteurs non médicaux pour expliquer les différences observées (57).

Le choix d'une ou l'autre modalité de traitement est conditionné par la capacité d'autonomisation des patients, leurs choix personnels et leur état clinique (14). Cependant, la persistance des disparités régionales et les constats relatifs aux caractéristiques des patients imposent de rechercher d'autres explications que les causes médicales à la décroissance de la dialyse hors

centre, à domicile et en unité d'autodialyse. Les déterminants non médicaux suivants ont notamment été identifiés dans la littérature française et étrangère :

- Les pratiques médicales et la formation du néphrologue : le rôle des écoles et le manque de formation à certaines techniques (58, 59), l'impact des préférences et de l'attitude des néphrologues (24, 60-66).
- La disponibilité du personnel médical et paramédical (25, 32) ; la fréquence d'utilisation de la dialyse péritonéale selon l'âge des patients est très variable d'un pays à l'autre, et dépend en partie de la possibilité d'avoir une aide à domicile, ce qui est le cas en France, contrairement à d'autres pays (67-72).
- Les préférences des patients (73-75) et l'absence d'une information suffisante des patients ; bien informés, 50 % des patients exprimaient une préférence pour la dialyse péritonéale (76). L'importance de l'information a été largement soulignée ; elle implique la généralisation de l'information pré-IRCT (77). Elle a également des effets sur la place de la mise en dialyse en urgence en centre (78, 79).
- Les contraintes géographiques : l'enquête Evrest (40) indiquait que la distance du centre de dialyse était considérée comme une raison de préférer la dialyse péritonéale dans 67 % des pays ; ce facteur était considéré comme un des principaux déterminant du développement de la prise en charge à domicile dans certains pays comme l'Australie, la Nouvelle-Zélande (25) ou le Canada (80). L'effet des contraintes géographiques a néanmoins été discuté en raison de l'urbanisation (44).
- Enfin, chaque modalité de traitement peut correspondre à une période de la vie du patient, en fonction de sa situation clinique et en recherchant une adaptation optimale à ses besoins, ce qui implique une approche par trajectoires (2).

Par ailleurs, les mécanismes de l'offre de soins et les éléments financiers étaient également présentés comme un des déterminants de l'orientation des patients (25, 26, 31, 32, 40). En France, l'offre de soins dépend en partie du statut des établissements de santé. L'hémodialyse en centre est assurée par des établissements de santé publics ou privés, ou par des structures privées ayant une activité exclusive de dialyse ; tandis que les établissements de santé privés à but non lucratif sont prédominants concernant les modalités de traitement à domicile par hémodialyse et dialyse péritonéale.

Sur la question de la prise en charge hors centre, la Fédération des établissements hospitaliers et d'aide à la personne à but non lucratif (FEHAP) a mis en œuvre, en 2010, une étude à partir de monographies concernant 5 structures qui a permis de recenser les principaux freins à son développement :

- le mode de financement qui favorise le maintien en hémodialyse ;
- les exigences réglementaires relatives au fonctionnement des UDM qui ont encouragé la concentration d'une offre de soins médicalisée, les UDM étant majoritairement adossées aux centres de dialyse ;
- la démographie médicale et paramédicale ;
- la responsabilité médicale pour le développement de l'hémodialyse à domicile, par exemple ;
- la précarité des patients qui n'ont pas toujours la possibilité d'être assisté d'une tierce personne ou de stocker les produits à leur domicile ;
- le contexte de mise en dialyse (information du patient, décision partagée et prise en charge en urgence).

Les déterminants financiers, au travers des politiques tarifaires, doivent également être considérés dans l'orientation des patients (25, 29, 61, 62, 66, 81-83), en particulier l'absence d'incitation au suivi des patients hors centre et l'augmentation du nombre de postes de dialyse en centre (63), ainsi que le contexte concurrentiel généralisé au secteur public via la T2A (2). Ces déterminants impactent également les professionnels paramédicaux qui interviennent dans la grande majorité des cas, pour le traitement des patients à domicile. En outre, sur le plan tarifaire, la nomenclature ne prévoit pas d'acte infirmier pour l'assistance d'un patient hémodialysé à domicile.

Au total, l'hétérogénéité des pratiques en France et à l'étranger ainsi que les facteurs explicatifs tentent à prouver l'existence de marges de manœuvre dans l'évolution des pratiques de prise en charge des patients traités pour IRCT.

### **2.3 Problématique et objectif de l'évaluation**

En France, la prise en charge de l'IRCT en France soulève les constats suivants :

- une incidence relativement stable, mais un nombre de nouveaux patients en constante augmentation (de 8 % entre 2008 et 2012), la moitié de cette augmentation étant attribuable au vieillissement et à l'évolution de la taille de la population. Cette augmentation est trois fois plus importante chez les personnes avec un diabète par rapport à celles sans diabète ;
- un cadre réglementaire lié à l'organisation de l'offre de soins qui ne permet pas de déterminer une orientation des patients traités pour IRCT vers une technique ou un mode de prise en charge selon un profil et insiste sur la liberté de choix des patients ;
- une évolution de la démographie médicale en néphrologie dans certaines régions, de moins en moins compatible avec le développement d'offre de soins hors centre et de proximité et les exigences de qualité et de sécurité des soins ;
- une tendance à la hausse des dépenses de santé, en particulier, pour les patients traités par hémodialyse (35) ;
- une politique sanitaire qui oriente l'offre de soins vers le renforcement de la greffe rénale et le développement des prises en charge hors centres de dialyse des nouveaux patients (22).

Depuis plusieurs années, sont constatées des disparités régionales dans les pratiques de prise en charge en France, mais aussi une hétérogénéité entre les pays dans le recours aux différentes techniques (1, 2, 84-87).

En l'absence de recommandations établies d'orientation des patients entre les modalités de traitement en fonction d'un profil par âge, comorbidités et facteurs de risque, l'hétérogénéité des pratiques en France et à l'étranger tendent à démontrer l'existence de marges de manœuvre dans l'évolution de la prise en charge des patients traités pour IRCT. Sans remettre en cause le libre choix des patients de leur modalité de traitement, il est donc possible de faire évoluer la place des différentes modalités de traitement.

Dans ce contexte, la demande de la CNAMTS et de la DGOS portait sur l'évaluation d'un point de vue clinique et économique, de modifications dans les trajectoires de soins des patients en IRCT traités par dialyse ou greffe rénale, au regard des disparités constatées en France et dans les autres pays.

Ce rapport d'évaluation a été conduit dans une perspective d'aide à la décision publique.

L'objectif principal était d'évaluer l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge des patients adultes en IRCT, et en tenant compte des possibilités d'évolution par rapport à la situation actuelle.

Dans ce cadre spécifique, l'évaluation médico-économique permet de comparer, selon un critère d'efficacité, différentes stratégies de prise en charge de l'IRCT fondées sur les trajectoires de patients, en privilégiant le développement de la transplantation rénale, le développement de la prise en charge hors centre de dialyse et à domicile.



Le plan d'analyse pour conduire l'évaluation s'articule autour de 3 étapes :

- une **revue de la littérature** qui a permis de réaliser un état des lieux des connaissances sur l'évaluation médico-économique de la prise en charge de l'IRCT (chapitre 3) ;
- une **étude du coût de la prise en charge des patients en IRCT**, en fonction des différentes modalités de traitement et une analyse des facteurs de variation (chapitre 4) ;
- une **évaluation médico-économique** fondée sur une modélisation permettant de simuler des modifications au cours du temps dans les trajectoires des patients entre les différentes modalités de traitement et d'évaluer l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge des patients traités pour IRCT en France (chapitre 5).

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

#### Encadré 3. Revue de la littérature

##### Objectif

L'objectif de cette revue de la littérature était de fournir des éclairages sur l'état des connaissances économiques relatives aux différentes techniques et/ou modalités de prise en charge des patients atteint d'IRCT.

##### Méthode

Seules les études qui permettaient de comparer, d'un point de vue économique, les différentes techniques (hémodialyse, dialyse péritonéale et transplantation) et/ou les modalités de prise en charge (hémodialyse en centre, UDM, autodialyse et domicile par hémodialyse ou dialyse péritonéale) ont été sélectionnées.

Deux types d'études ont été sélectionnés :

- les études de coût comparatives qui sont des études économiques partielles ; elles ne permettent pas de prendre en considération les résultats de santé des différentes interventions comparées, mais elles apportent un éclairage sur leur différentiel de coût ;
- les études de coût-résultat hiérarchisant les différentes options envisageables, en fonction de leur capacité à engendrer les meilleurs résultats possibles à partir des ressources à mobiliser.

##### Résultats

La revue de la littérature portait sur l'analyse de 41 études sélectionnées dont quatre revues systématiques de la littérature et deux méta-analyses. 21 études de coûts dont deux études françaises ont été analysées et 15<sup>7</sup> études de coût-résultat. Parmi les études de coût-résultat, 4 études étaient des études de coût-efficacité prenant la durée de vie comme critère d'efficacité, et 10<sup>8</sup> études proposaient un résultat exprimé en termes de coût-utilité prenant le QALY comme critère d'utilité.

En outre, plus de 40 études complémentaires ont été utilisées pour alimenter la réflexion sur l'apport des études médico-économiques analysées, en particulier, concernant la disponibilité des données et la transposabilité des résultats des études.

##### Messages-clés

Les modalités comparées, la perspective, le périmètre des coûts, la méthode de mesure et de valorisation des coûts et des résultats de santé étaient très hétérogènes d'une étude à l'autre. Ces études présentaient par ailleurs de nombreux biais d'indication et de sélection liés notamment aux variations des caractéristiques des patients orientés selon la technique et/ou la modalité de traitement. Les résultats des études en valeur, que ce soit en termes de coût ou de ratio différentiel coût-résultat présentaient une forte variabilité et n'étaient pas comparables.

<sup>7</sup> Une étude de coût-résultat comportait également une partie revue systématique de la littérature. Les deux parties de cette étude ont été présentées séparément dans la présente revue de la littérature.

<sup>8</sup> À noter qu'une étude, se présentant comme étant une étude de coût-utilité, ne mettait pas en regard les coûts et les scores de qualité de vie estimés.

La transplantation apparaissait comme la modalité de traitement la plus efficiente (à la fois la plus efficace et la moins coûteuse). Lorsque seules les techniques d'épuration extra-rénale sont prises en considération, la dialyse péritonéale et l'hémodialyse hors centre apparaissent généralement comme étant moins coûteuse et au moins autant efficace que l'hémodialyse en centre. Ces conclusions doivent cependant être interprétées avec précautions en raison de la qualité méthodologique des études et du manque de robustesse sur le critère d'efficacité.

Par ailleurs, de nombreuses limites à la transposabilité des conclusions dans le contexte français ont été identifiées dont la transposition de l'organisation des soins correspondant à nos différentes modalités de prise en charge et des coûts associés.

Au final, la revue de la littérature ne permet pas de conclure quant à l'efficacité des différentes modalités de prise en charge dans le contexte français.

## 3.1 Méthode

### 3.1.1 Stratégie de recherche documentaire

Dans le cadre de la rédaction de la note de cadrage<sup>9</sup>, une première recherche bibliographique a été réalisée par la HAS, et a porté sur la période janvier 2000 à mars 2010.

Cette recherche documentaire a permis d'apprécier la quantité des données disponibles dans la littérature et issues des systèmes de surveillance épidémiologique en France, ainsi que des recommandations existantes, afin de répondre aux différentes questions envisagées. Les études recensées l'ont été sur la base de résumés ; par la suite, une analyse de leur qualité méthodologique a été réalisée.

Dans un second temps, la recherche bibliographique initiale a été étendue et complétée (recherche complémentaire) pour certains thèmes comme la transplantation rénale. Cette recherche a porté sur les articles publiés entre janvier 2000 et mai 2014. La recherche a été conduite à différentes étapes du projet afin d'actualiser les données : mars 2010, juillet 2012, juillet 2013 et mai 2014.

Les bases de données bibliographiques consultées ont été les suivantes :

- Medline (National Library of Medicine, États-Unis) ;
- Pascal (Institut de l'Information Scientifique et Technique, CNRS, France) ;
- Banque de données santé publique (École des Hautes Études en Santé Publique, France) ;
- NHS *Economic Evaluation Database* (University of York, Royaume-Uni).

Les autres sources suivantes ont été également consultées :

- *The Cochrane Library* ;
- Sites internet d'organismes publiant des recommandations, des rapports d'évaluation technologique ou économique ;
- Sites d'organismes publics nationaux et régionaux du domaine de la santé ;
- Sites des organismes traitant de télémédecine ;
- Sites internet des sociétés savantes compétentes dans le domaine étudié ;
- Bibliographie des experts et bibliographie des articles et documents sélectionnés.

La stratégie de recherche documentaire est présentée dans le document annexe (Annexe 1).

<sup>9</sup> La note de cadrage est mise en ligne sur le site de la HAS :

[http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2010-10/note\\_cadrage\\_ircrct\\_vf.pdf](http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2010-10/note_cadrage_ircrct_vf.pdf)

### 3.1.2 Critères de sélection et d'exclusion des articles

Les études en langue française et anglaise publiées à partir de janvier 2000 ont été retenues.

Seules les études qui permettaient de comparer, d'un point de vue économique, les différentes techniques (hémodialyse, dialyse péritonéale et transplantation) et/ou les modalités de prise en charge (hémodialyse en centre, UDM, autodialyse et domicile par hémodialyse ou dialyse péritonéale) ont été sélectionnées. Au total, la comparaison peut porter sur différents niveaux.

#### ► Les niveaux de comparaison

##### Premier niveau: les techniques de traitement<sup>10</sup>

Tableau 3. Les techniques

Techniques comparées	Hémodialyse	Dialyse péritonéale	Transplantation

##### Second niveau de comparaison : les modalités de prise en charge en fonction de la technique considérée

Tableau 4. La dialyse péritonéale

	Dialyse péritonéale automatisée	Dialyse péritonéale continue ambulatoire
Assistée	DPA assistée	DPCA assistée
Non assistée	DPA non assistée	DPCA non assistée

Tableau 5. La transplantation rénale

	Donneur décédé	Donneur vivant
Donneur optimal	x	x
Donneur à critères élargis <sup>11</sup>	x	

<sup>10</sup> Les différentes techniques d'hémodialyse (hémodiafiltration, hémofiltration et biofiltration) n'ont pas été distinguées dans l'analyse.

<sup>11</sup> Si tous les organes sont différents par nature, la pénurie a conduit à élargir le pool de donneurs acceptables. Les donneurs à critères élargis intègrent les donneurs de plus de 60 ou de plus de 50 ans et présentant au moins deux des facteurs de risque suivant : hypertension artérielle, créatinémie > 1,5 mg/dl et/ou tous décédés des causes d'un accident cérébro-vasculaire. À ces critères doivent être ajoutés les donneurs décédés après un arrêt cardiaque.

**Tableau 6. L'hémodialyse**

Lieu Fréquence	En centre <sup>12</sup>	En UDM/en unité d'autodialyse (en France <sup>13</sup> ) En unité satellite (ailleurs)	À domicile
Conventionnelle (~3 fois par semaine pendant 4 heures)	HDC	HD UDM ou HD UAD ou SHD	HDD HDDcv
Quotidienne de courte durée (~2 heures par jours)	HDCQ		HDDQ
Nocturne (~8 heures six à sept fois par semaine)			HDDN

Concernant l'hémodialyse, lorsque la fréquence n'est pas précisée, il s'agit de la fréquence conventionnelle, soit trois fois par semaine pendant environ quatre heures.

► **Les types d'études retenues**

L'analyse économique se définit comme l'analyse comparative d'options possibles, sur la base de leurs coûts comme de leurs conséquences. L'objectif de l'évaluation économique est de hiérarchiser les différentes options envisageables en fonction de leur capacité à engendrer les meilleurs résultats possibles à partir des ressources à mobiliser. Les méthodes utilisées classiquement relèvent de trois grandes catégories<sup>14</sup> : les analyses coût-efficacité (ACE), les analyses coût-utilité (ACU) et les analyses coût-bénéfice (ACB).

Le choix de la méthode à privilégier dépend de la nature des conséquences attendues des interventions de santé évaluées. Dans la mesure où seules des ACE et des ACU ont été identifiées dans cette revue de la littérature, l'analyse coût-bénéfice n'est pas présentée. L'analyse coût-efficacité met en regard les coûts avec un critère de résultat de santé. Le critère de résultats choisi est, le plus souvent, l'année de vie gagnée, mais d'autres critères peuvent être envisagés tel qu'un paramètre clinique ou un nombre d'événements évités. L'analyse coût-utilité a pour particularité de s'appuyer sur un critère de résultat tenant compte de la qualité de vie. Le critère le plus couramment utilisé est le QALY (*Quality Adjusted Life Year*) qui correspond à l'année de vie pondérée par la qualité de vie liée à la santé.

La méthode de minimisation des coûts est considérée comme une sous-catégorie de l'évaluation coût-résultat en situation d'équivalence parfaite des interventions considérées en termes de résultats. Lorsque cette équivalence n'est pas démontrée, les études prenant en considération seulement les coûts ne sont pas des évaluations économiques. Elles sont insuffisantes pour évaluer l'efficacité, elles donnent seulement de l'information sur la structure des coûts.

<sup>12</sup> Cette modalité de prise en charge comprend, dans la plupart des cas, la prise en charge dans un hôpital ou dans un centre (HDC) adossé à ce dernier. La distinction entre hôpital et centre n'a pas été retenue.

<sup>13</sup> Dans la revue de la littérature, compte tenu des études disponibles, la distinction entre UDM et autodialyse n'a pas pu être faite. Cela représente une limite, puisque ces deux modalités diffèrent au regard de la présence médicale nécessaire et des modalités de fonctionnement de la structure de soins, autant d'éléments qui impactent le coût de ces stratégies. Dans le modèle (chapitre 6) cette distinction a été prise en considération.

<sup>14</sup> Pour des compléments d'information sur les choix méthodologiques portés par la HAS voir « Choix méthodologiques pour l'évaluation à la HAS » (4).

Dans le cadre de cette analyse de la littérature, pour les deux niveaux de comparaison identifiés, deux types d'études ont été sélectionnés :

- les études de coût comparatives qui sont des études économiques partielles ; elles ne permettent pas de prendre en considération les résultats de santé des différentes interventions de santé comparées mais elles apportent un éclairage sur leur différentiel de coût ;
- les études de coût-résultat (ACE ou ACU) hiérarchisant les différentes options envisageables en fonction de leur capacité à engendrer les meilleurs résultats possibles à partir des ressources à mobiliser.

Parmi ces études, ont été privilégiées :

- les études de bonne qualité méthodologique<sup>15</sup> (études précisant la perspective, les coûts retenus, les critères de résultats et les sources utilisées pour valoriser les coûts et quantifier les résultats) ;
- les études portant sur une population représentative des patients en IRCT ;
- les études étrangères susceptibles d'éclairer l'évaluation médico-économique de la prise en charge de l'IRCT dans le contexte français.

Les critères d'exclusion étaient les suivants :

- éditoriaux, lettres et articles de presse ;
- études comparant un traitement en fonction du choix des procédés médicaux, des dispositifs médicaux<sup>16</sup> ou du statut de l'établissement (privé à but lucratif, non lucratif ou public) ;
- études relatives à une population spécifique (pathologie spécifique, prise en charge particulière, caractéristiques ethniques, territoriales, etc.)<sup>17</sup> ;
- études portant sur le dépistage et/ou sur la prévention de l'IRCT<sup>18</sup> ;
- études réalisées dans des pays où les coûts et/ou les résultats différentiels des stratégies comparées étaient très différents de ceux attendus en France en raison de spécificités locales<sup>19</sup>.

### 3.1.3 Résultat de la sélection des articles

La sélection des articles a été opérée à partir des abstracts.

Un faible nombre d'articles correspondait à des études économiques remplissant les critères de sélection et de bonne qualité méthodologique. Sur les 661 études étrangères et 118 études françaises identifiées<sup>20</sup> par la stratégie de recherche documentaire au cours des différentes actualisations, seules 41 études ont été retenues.

En outre, plus d'une quarantaine d'autres études ont été utilisées pour alimenter la réflexion sur l'apport des études économiques réalisées, en particulier concernant la disponibilité des données et la transposabilité des résultats des études. Ces études ne correspondaient pas aux critères de sélection et/ou n'étaient pas des études économiques, mais elles apportaient des éclairages pour comprendre les difficultés pratiques qui pouvaient limiter la qualité et la faisabilité des évaluations économiques.

<sup>15</sup> Guide méthodologique de la HAS : choix méthodologiques pour l'évaluation économique, octobre 2011 (4).

<sup>16</sup> À titre d'exemples, la solution utilisée pour la DP icodextrin vs glucose hypertonique, ou le choix du cathéter pour l'hémodialyse ou bien encore, les discussions autour de l'érythropoïèse ; dans le cadre de la greffe, les différentes stratégies immunosuppressives (basiliximab, sirolimus, cyclosporine, tacrolimus, etc.) et les techniques opératoires.

<sup>17</sup> Par exemple, une étude a été exclue parce que son objectif était de déterminer le seuil de rentabilité de la transplantation par rapport à la dialyse à New York (88).

<sup>18</sup> Cette dimension n'entre pas dans le champ de cet argumentaire (cf. Introduction).

<sup>19</sup> De manière générale, les études portant sur des pays en voie de développement ont été exclues. Par ailleurs, une étude japonaise, portant sur la comparaison entre la transplantation à partir de donneurs vivants, à partir de donneurs décédés et l'hémodialyse (89), a été exclue en raison du faible développement de la transplantation au Japon (83).

<sup>20</sup> Ces données portent seulement sur les listings « dialyse ». Des recherches complémentaires ont été effectuées sur l'insuffisance rénale chronique et la transplantation rénale ; la plupart des articles sélectionnés se recoupaient entre les listings.

La démarche de sélection des articles n'a pas été présentée sous la forme d'un *flowchart* schématisant les étapes itératives de la sélection des articles. Compte tenu des réactualisations régulières de la recherche bibliographique et du fait qu'elle ait été segmentée en plusieurs recherches (IRCT, IRC, transplantation rénale), la construction du *flowchart* n'était pas évidente. En raison du faible nombre d'études économiques identifiées, la plupart des études économiques comparatives ont été prises en compte et que très peu d'articles ont été écartés sur des critères méthodologiques. La grande majorité des études exclues correspondait à des doublons ou étaient hors champs d'analyse. Le type d'étude non prise en compte au regard des critères d'exclusion définis précédemment a été détaillé en note de bas de page à titre informatif.

Au total, 2 études françaises et 39 études étrangères ont été analysées et intégrées dans la revue de la littérature médico-économique de la prise en charge de l'IRCT. Parmi ces études, 3 correspondaient à des revues de la littérature antérieures, une étude intégrait une partie revue de la littérature et 2 étaient des méta-analyses.

Dans la présentation des études, les études de coût et les études de coût-résultat ont été distinguées. Pour chacun des types d'étude, les revues de la littérature ont été présentées, puis les études françaises et enfin étrangères<sup>21</sup>. Les études françaises ont été plus détaillées que les études étrangères. Seules les principales caractéristiques des études étrangères sont présentées. Par ailleurs, il est à noter que la description des caractéristiques des études dépend des éléments disponibles dans chacune des études. Dans la mesure où les études ne permettaient pas de définir clairement la perspective adoptée et que, d'une étude à l'autre, le périmètre recouvert par une même perspective pouvait être différent, les éléments disponibles sur les coûts pris en compte ont été récapitulés. À la suite de cette présentation descriptive, une synthèse des résultats en fonction de plusieurs niveaux de comparaison a été présentée, et la qualité méthodologique des études a été discutée.

## 3.2 Analyses des études de coût

### 3.2.1 Terminologie

La terminologie utilisée pour qualifier les coûts retenus est variable d'une étude à l'autre. Dans la littérature, une distinction est souvent opérée entre coûts directs médicaux, coûts directs non médicaux et coûts indirects, sans que le périmètre de coûts associés à chacune de ces trois dénominations ne soit parfaitement défini.

Pour la HAS, le terme de coûts renvoie d'une part aux ressources consommées dans la production d'une intervention de santé et, d'autre part, aux ressources non consommées, mais rendues indisponibles par la production de l'intervention. L'analyse du coût de production est privilégiée, quelle que soit la nature des composantes de ce coût et quel que soit l'acteur qui supporte ce coût. Pour cette raison, la référence aux coûts directs médicaux et non médicaux est volontairement écartée.

Par souci de simplification, la distinction entre les coûts directs et indirects est maintenue dans le cadre de cette analyse :

- ▶ les coûts directs incluent, par exemple, la consommation de soins hospitaliers et ambulatoires, les coûts relatifs aux transports, à l'organisation d'un programme de santé et les coûts de transition ;
- ▶ les coûts indirects renvoient à l'impact des interventions évaluées sur l'activité des personnes de la population d'analyse (hors temps consacrés à la production des interventions qui relèvent des coûts directs), que cette activité soit rémunérée ou non ; ils résultent d'une mortalité précoce ou d'un état morbide avec incapacité totale ou partielle d'activité, dans la mesure où les différentiels

---

<sup>21</sup> Le choix de présenter les études individuellement et par pays se justifie par l'absence d'un classement par comparateur évident. Il facilite, par ailleurs, l'interprétation des résultats.

de durées de vie ou d'incapacité s'accompagnent de différentiels d'activité des personnes concernées.

### 3.2.2 Panorama des études identifiées

La revue de la littérature a permis d'identifier :

- 3 revues systématiques de la littérature ;
- 1 méta-analyse ;
- 21 études comparant le coût de différentes techniques et/ou modalités de prise en charge des patients en IRCT (cf. Tableau 11).

### 3.2.3 Caractéristiques et résultats des revues systématiques

#### ► Revue de littérature du KCE en 2010<sup>22</sup> (91)

La revue de la littérature la plus récente est celle du KCE, Centre fédéral d'expertise des soins de santé Belge (91), publié en 2010. La recherche a couvert la période 1996-2009. Dix études de coûts et 1 revue de la littérature antérieure à 2000 ont été analysées<sup>23</sup>.

Les conclusions de cette revue montraient que l'hémodialyse en centre était plus coûteuse que l'hémodialyse en unité satellite, que l'hémodialyse à domicile et que la dialyse péritonéale, tant du point de vue du financeur que de celui du fournisseur de soins. Elles mettaient en évidence l'hétérogénéité des études en ce qui concerne la qualité méthodologique, les coûts pris en considération et les résultats obtenus.

#### ► Revue de littérature de Just et al., 2008 (92)

L'objectif de cette revue était de comparer les coûts de l'hémodialyse *versus* ceux de la dialyse péritonéale. Elle a été réalisée à partir de 25 études de coût et d'une revue de la littérature recensée sur la période 1996-2006<sup>24</sup>.

Les principales conclusions montraient que, dans les pays développés, la dialyse péritonéale était généralement moins coûteuse du point de vue du financeur de soins. Les différentiels de coûts observés entre les techniques de dialyse (dialyse péritonéale vs hémodialyse) étaient cependant très variables d'une étude à l'autre. Par ailleurs, la plupart des études prises en considération par cette revue concluaient que l'hémodialyse en unité satellite, l'hémodialyse à domicile et la DPA étaient plus coûteuses que la DPCA. L'hétérogénéité des études retenues était soulignée, en particulier eu égard à la variabilité des coûts retenus d'une étude à l'autre.

#### ► Revue de littérature de Peeters et al., 2000 (93)

Peeters *et al.* (93) ont proposé en 2000 une revue de la littérature qui se concentrait sur les études portant sur l'Europe de l'Ouest. Cette étude s'appuyait sur 25 études antérieures à 2000 dont 8 études françaises publiées entre 1992 et 1997.

Les principales conclusions mentionnaient que le coût de la dialyse péritonéale était généralement inférieur à celui de l'hémodialyse dans la littérature européenne, mais que la différence restait difficile à évaluer. Les coûts variaient fortement d'un pays à l'autre. Dans les études françaises, le coût de l'hémodialyse en centre était supérieur à toutes les autres techniques de traitement et modalité de prise en charge, mais dans des proportions variables.

---

<sup>22</sup> Toutes ces études, sauf une, ont été prises en compte dans la présente revue de la littérature. L'étude de Ploth *et al.* 2003 (90) a été exclue car elle présentait les coûts d'une seule technique.

<sup>23</sup> Toutes ces études, sauf une, ont été prises en compte dans la présente revue de la littérature. L'étude de Ploth *et al.* 2003 (90) a été exclue, car elle présentait les coûts d'une seule technique.

<sup>24</sup> Huit d'entre elles ont été incluses dans la présente revue de la littérature.



### ► Méta-analyse de McFarlane en 2004 (94)

Cette méta-analyse portait sur les différentes modalités de prise en charge en hémodialyse au regard, notamment, de la fréquence des séances. L'objectif était d'estimer les différences de coûts directs entre l'hémodialyse conventionnelle en centre, l'hémodialyse conventionnelle à domicile, l'hémodialyse quotidienne à domicile et l'hémodialyse à domicile nocturne.

Elle s'appuyait sur quatre études et fondait ses conclusions sur des comparaisons indirectes. Ces dernières étant que le coût de l'hémodialyse augmentait avec la fréquence des séances par semaine. L'hémodialyse conventionnelle à domicile était donc moins coûteuse que l'hémodialyse quotidienne à domicile et l'hémodialyse à domicile nocturne. Mais ces modalités restaient cependant moins coûteuses qu'une prise en charge conventionnelle en centre.

### 3.2.4 Caractéristiques et résultats des études de coût françaises

Parmi l'ensemble des études identifiées, deux études de coût françaises ont été retenues et analysées : Benain *et al.* 2007 (95) et Blotière *et al.* (35). Les caractéristiques globales et les principaux résultats de ces études sont détaillés dans le **Tableau 1 de l'Annexe 1**.

#### ► Étude de Benain *et al.*, 2007 (95)

L'objectif de l'étude de Benain *et al.* publiée en 2007 (95) était double. Il s'agissait, d'une part, d'établir les coûts annuels de la dialyse, par patient et par modalité de dialyse et, d'autre part, de déterminer le coût annuel global de la dialyse en France du point de vue de l'Assurance maladie.

L'étude se fondait sur une approche par « parcours type » de soins. L'élaboration de ces « parcours » reposait sur les données de la littérature et la validation d'un comité d'experts indépendants. La pose de la voie d'abord était considérée comme le point de départ du parcours de soins. Ces parcours étaient définis pour chacune des modalités d'hémodialyse en fonction du lieu de prise en charge (en centre, en unité d'autodialyse simple ou assistée, en UDM) et de dialyse péritonéale (DPCA ou DPA). Ces parcours incluaient : la technique d'épuration extra-rénale, les séances d'entraînement, la surveillance, le transport, le recours à une infirmière à domicile, les examens de biologie et autres examens complémentaires, les médicaments liés au traitement de l'IRCT. Les coûts liés aux complications éventuelles selon les modalités de traitement étaient pris en compte, tandis que les coûts liés aux comorbidités n'étaient pas comptabilisés.

La perspective adoptée était celle de l'Assurance maladie. Les coûts pris en considération étaient les coûts directs incluant principalement les coûts hospitaliers, les soins de ville et les transports relatifs à la dialyse. La valorisation s'appuyait sur les tarifs en vigueur dans les secteurs hospitaliers (public et privé) et ambulatoire en 2005<sup>25</sup>.

Les résultats de l'étude étaient exprimés en coût moyen par technique et par patient, sur des cycles de six mois et sur l'année. Les six premiers mois, l'hémodialyse à domicile était la technique la plus coûteuse suivie par l'hémodialyse en unité d'autodialyse et l'hémodialyse en centre ; les techniques les moins coûteuses étaient la DPCA et la DPA. Les six mois suivants l'hémodialyse en centre devenait la modalité la plus coûteuse. La comparaison des coûts moyens par patient et par technique mettait en évidence les points suivants :

- la différence de coût entre les deux modalités de dialyse péritonéale (DPCA et DPA), et l'hémodialyse à domicile n'était pas discriminante ;
- l'hémodialyse en unité d'autodialyse avait un coût inférieur à celui en UDM, lui-même nettement inférieur à une prise en charge en centre ;
- le coût de l'hémodialyse en centre était supérieur à celui de la dialyse péritonéale ;
- la différence de coût entre DP et HD diminuait dans le temps ;

<sup>25</sup> Les données épidémiologiques – taux d'incidence, de prévalence et le taux de croissance de l'IRCT – ont été estimées à partir de la littérature.

- le coût annuel de la dialyse en France était estimé à 2,145 milliards d'euros.

Les coûts annuels, ventilés par postes de coût, montraient, qu'en fonction de la technique et de la modalité de traitement, les coûts se répartissaient différemment dans chacun des postes considérés, à titre d'exemple : les soins infirmiers ou les transports.

Les principales conclusions de l'étude montraient que les modalités de prise en charge à domicile avaient un coût moindre par rapport aux techniques d'hémodialyse en centre, en UDM ou en auto-dialyse.

Cette étude comportait des limites, les principales sont listées ci-dessous :

- La valorisation des coûts se fondait sur des estimations et non sur des données réelles.
- La perspective adoptée ne permettait pas de prendre en considération l'ensemble des coûts.
- L'étude était fondée sur la répartition des patients dialysés entre les différentes techniques telle que définie dans l'enquête nationale de juin 2003. Cette répartition n'intégrait pas l'impact du cadre réglementaire introduit par les décrets de septembre 2002 (en particulier, le développement des UDM).
- Enfin, elle ne prenait pas en compte les possibilités de changement de modalités au cours du temps.

#### ► Étude de Blotière *et al.*, 2010 (35)

L'objectif de cette étude, mise en œuvre par la CNAMTS (35), était d'estimer le coût de l'IRCT pour l'Assurance maladie en 2007 en fonction des différentes techniques de traitement (transplantation, HD et DP). L'étude était fondée sur une analyse des données du SNIIRAM (régime général et extrapolation aux autres régimes) et portait sur l'intégralité des montants remboursés pour les soins réalisés au cours de l'année 2007 qu'ils soient relatifs à l'IRCT ou aux comorbidités prises en charge.

Concernant le périmètre des coûts retenus, les auteurs mentionnaient en particulier, les honoraires, les auxiliaires médicaux, la biologie, la pharmacie, les transports, les autres soins de ville ainsi que les hospitalisations privées et publiques. Contrairement à l'étude de Benain *et al.* (95), cette étude n'excluait pas les coûts médicaux liés aux comorbidités.

Dans cette étude, 60 900 patients ont été identifiés comme étant en IRCT et recevant un traitement de suppléance : pour 30 900 par hémodialyse (51 %), pour 2 600 par dialyse péritonéale (4 %) et 27 300 étaient porteurs d'un greffon rénal (45 %). Selon les régions, la part de malades en dialyse péritonéale était comprise entre 0 et 26 %, et celle des transplantés entre 19 et 57 %. Le coût global de la prise en charge des malades a été estimé à 4 milliards d'euros dont 77 % était imputable à l'hémodialyse.

Les coûts étaient plus importants en hémodialyse en centre qu'en dialyse péritonéale. Cependant, l'importance des différents postes de dépenses variaient selon la technique et/ou la modalité de prise en charge considérée. Ainsi, les soins infirmiers représentaient une part plus importante des coûts liés à la dialyse péritonéale que de ceux liés à l'hémodialyse. Concernant les coûts de transports, le constat inverse était fait.

Le coût moyen annuel par malade était de 64 450 euros pour la dialyse péritonéale, de 88 608 euros pour l'hémodialyse, 86 471 euros pour la première année de transplantation rénale et de 20 147 euros pour les suivantes. D'après ces données, augmenter la proportion des patients traités par dialyse péritonéale à 25 % permettrait une diminution annuelle de 155 millions d'euros ; faire 900 transplantations supplémentaires par an, en ayant recours aux donneurs vivants, permettrait sur dix ans une diminution de 2,5 milliards d'euros.

En conclusion, les auteurs soulignaient que la croissance de l'IRCT et son coût élevé nécessitait une information des malades et des professionnels sur les traitements de suppléances plus autonomes et moins coûteux. Les pistes à privilégier étaient de favoriser le développement des

techniques hors centre, en particulier la dialyse péritonéale, et celui de la transplantation rénale, notamment en augmentant le recours aux donneurs vivants de rein.

Cette étude comportait des limites, les principales sont énumérées ci-dessous :

- Le calcul des coûts à partir de l'intégralité des montants remboursés pour les soins réalisés au cours de l'année 2007 ne permettait pas de distinguer les coûts inhérents au traitement de l'IRCT de ceux relatifs aux comorbidités ou autres motifs de recours aux soins. Cela rendait également difficile l'interprétation de la variabilité de la structure des dépenses, selon le montant remboursé en fonction de la technique de traitement (valeurs extrêmes).
- La variabilité de la structure des dépenses des personnes en hémodialyse ou transplantées ne prenait pas en compte l'évolution des coûts dans le temps ou en fonction des transitions entre les différentes techniques de traitement. Le coût du traitement de suppléance en 2007 était estimé en fonction du dernier traitement reçu dans l'année.
- L'estimation de l'impact sur les coûts d'une hausse du nombre de patients en DP reposait sur une hypothèse théorique (proportion de malades en DP de 25 %) et ne prenait pas en compte le fait que chacune des techniques de traitement peut correspondre à une période de la vie du patient. En outre, les techniques et les modalités de prises en charge ne sont pas parfaitement substituables, l'absence d'ajustement en fonction des principales caractéristiques des patients (ex : âge et comorbidités) pouvait impacter la validité des estimations prédictives de cette étude.
- Seules les trois techniques étaient distinguées, or le coût de ces techniques varie en fonction du mode de prise en charge considéré (les coûts de l'hémodialyse en centre ne sont pas équivalents à ceux de l'hémodialyse à domicile). Ces distinctions n'ont pas été prises en considération.
- Les coûts pris en compte étaient incomplets, notamment en raison de la perspective adoptée. Les restes à charge pour les patients et les coûts de prélèvements pour la transplantation, par exemple, n'étaient pas pris en compte.
- Aucune analyse de sensibilité sur les coûts et en fonction des caractéristiques des patients n'était proposée.

#### **Encadré 4. Résumé des études de coût françaises**

Ces deux études françaises s'accordaient sur le fait que dialyse péritonéale était moins coûteuse que l'hémodialyse dans la perspective de l'Assurance maladie. L'une soulignait toutefois que l'écart entre le coût de l'hémodialyse et celui de la dialyse péritonéale n'était pas nécessairement constant dans le temps.

Les méthodes utilisées dans ces deux études pour estimer les coûts étant différentes, les coûts en valeur nominale des techniques variaient sensiblement. Ces deux méthodes présentaient un certain nombre de limites.

Aucune étude de coût française comparant l'ensemble des techniques de traitement et des modalités de prise en charge de l'IRCT n'a été identifiée.

### **3.2.5 Caractéristiques et résultats des études de coût étrangères**

Parmi les études identifiées, 19 correspondaient à des études de coût étrangères. L'objectif de cette section est de présenter les principales conclusions issues de l'analyse des caractéristiques et des résultats de ces études. Une synthèse de l'analyse critique de la méthode de ces études est proposée en annexe (document « Annexes », Annexe 1, Tableau 1 et Tableau 2).

#### **► Finlande**

*Étude d'Hallinen et al., 2009 (96)*

Le principal objectif de cette étude était d'estimer l'impact en termes de coûts de la première année de traitement en fonction du choix entre deux techniques : la dialyse péritonéale et l'hémodialyse.

La perspective retenue était celle du financeur de soins. Les coûts directs étaient pris en considération. Les coûts des transports, des séances de dialyse, de pharmacie et des consultations externes étaient notamment mentionnés. L'étude a été conduite sur 29 patients incidents dans un centre de dialyse.

Cette étude montrait que la dialyse péritonéale était moins coûteuse que l'hémodialyse. La conclusion mettait l'accent sur les avantages en termes de coût de la dialyse péritonéale par rapport à l'hémodialyse à l'initiation du traitement pour IRCT. Les auteurs précisait toutefois que cette conclusion méritait d'être étayée par d'autres études.

#### *Étude de Malmström et al., 2008 (97)*

L'un des objectifs de cette étude était d'analyser les coûts relatifs à deux modalités de prise en charge par hémodialyse : en unité satellite et à domicile.

L'étude était conduite dans une perspective sociétale. Les coûts mentionnés par les auteurs étaient notamment : les coûts hospitaliers, de transport, de pharmacie, de consultation externe, ceux liés à l'installation d'un système d'hémodialyse à domicile et le temps passé par les aidants. La population étudiée était les patients traités par l'une de ces deux modalités sur la période 2003-2004 (65 patients).

Les résultats de l'étude ne montraient pas de différence discriminante de coût entre ces deux modalités de prise en charge. La répartition des principaux postes de coûts variait selon la modalité considérée. L'étude concluait que les préférences des patients devaient rester le principal déterminant du choix entre ces deux modalités de prise en charge.

#### *Étude Salonen et al., 2003 (98)*

Cette étude portait sur les coûts de l'hémodialyse (en centre et en unité satellite) et ceux de la DPCA en tant que première modalité de traitement, dans la perspective du fournisseur de soins.

Les coûts directs à 6 mois et à 1 an étaient pris en considération. Ces coûts concernaient principalement : les séances de dialyse, l'hospitalisation, la pharmacie, les consultations externes, la mise en place de la voie d'abord et les transports. La population étudiée était les patients incidents entre 1991 et 1996 ; ces derniers étaient suivis jusqu'à ce qu'ils décèdent ou qu'ils changent de traitement de suppléance. Cette étude prenait donc en considération le fait que les patients pouvaient être traités par différentes techniques d'épuration extra-rénale au cours du temps. De ce point de vue, l'accès à la transplantation et les probabilités de changement de technique de traitement étaient pris en compte. Le coût des transplantations a été estimé.

L'étude concluait que des deux techniques d'épuration extra-rénale, la dialyse péritonéale était la moins coûteuse. La transplantation était cependant moins coûteuse et cela dès la première année.

### ► **Canada**

#### *Étude de Lee et al., 2002 (99)*

Cette étude permettait de comparer le coût de la dialyse péritonéale et des différentes modalités de prise en charge en hémodialyse (en unité satellite, en centre et à domicile).

La perspective adoptée était celle du financeur de soins. Les coûts directs (notamment, séances de dialyse, honoraires médicaux et biologie), hors transport, étaient pris en considération. La population étudiée comprenait des patients traités depuis six mois qui ont été suivis sur 1 an.

La dialyse péritonéale était la technique de prise en charge la moins coûteuse, par rapport à l'hémodialyse en centre ; son coût était presque deux fois moins élevé, y compris après

ajustement du coût sur les caractéristiques de patients. Des trois modalités de prises en charge en hémodialyse, celle à domicile était moins coûteuse que celle en unité satellite qui était elle-même moins coûteuse qu'en centre.

Les conclusions de l'étude étaient en faveur du développement des formes de dialyse plus « autonomes » : l'hémodialyse à domicile et la dialyse péritonéale.

#### *Étude de McFarlane et al., 2002 (100)*

Cette étude portait sur l'estimation des coûts des deux modalités de traitement suivantes : hémodialyse conventionnelle en centre et hémodialyse à domicile nocturne.

La perspective adoptée était celle du fournisseur de soins et les coûts directs, hors transport, étaient pris en compte. Les coûts pris en compte mentionnés étaient : les séances de dialyse, le coût des générateurs, le personnel médical, la pharmacie, la biologie et les frais généraux.

L'étude montrait que la répartition des coûts par postes de soins était différente en fonction de la modalité de prise en charge considérée. Les coûts d'équipements de dialyse étaient, par exemple, plus élevés en hémodialyse à domicile nocturne qu'en hémodialyse en centre. Inversement, les coûts liés aux ressources humaines étaient plus faibles en hémodialyse nocturne à domicile.

La conclusion de l'étude était en faveur de l'hémodialyse nocturne à domicile.

#### *Étude de Soroka et al., 2005 (101)*

Cette étude adoptait une perspective sociétale pour comparer les coûts de prise en charge en hémodialyse en centre et en unité satellite. Les coûts pris en compte étaient les coûts directs (séance de dialyse, générateurs, matériel, personnel médical, pharmacie, biologie, frais généraux et transport). Le reste à charge pour les patients était pris en compte, notamment pour les transports. Le temps des aidants n'était pas pris en compte. Les coûts fixes et variables étaient distingués. L'étude montrait que les coûts n'étaient pas répartis de la même manière dans les deux modalités. Si les coûts variables étaient plus importants en centre qu'en unité satellite, les coûts fixes y étaient moins élevés.

En conclusion, l'étude soulignait que les unités satellites de dialyse permettaient de générer des économies substantielles même si elles fonctionnaient avec un petit nombre de patients. Une unité satellite pouvait être considérée comme rentable à partir de sept patients.

#### *Étude de Barnieh et al, 2011 (102)*

Cette étude comparait les coûts directs associés à une transplantation à partir de donneurs vivants à ceux d'une transplantation à partir de donneurs décédés dans la perspective du financeur de soins. Les coûts pris en compte mentionnés étaient les coûts liés aux prélèvements, aux examens prétransplantation des donneurs et des receveurs, à l'acte de transplantation et au suivi.

Les coûts pris en considération intégraient les examens de la phase de prétransplantation du donneur et du receveur, les procédures chirurgicales et le suivi. L'analyse portait sur des patients adultes transplantés pour la première fois entre le 1<sup>er</sup> avril 1998 et le 31 mars 2006 ; ce qui représente 227 transplantations à partir d'un donneur décédé et 130 à partir d'un donneur vivant.

L'étude concluait, qu'à deux ans, il n'y avait pas de différence de coût entre ces deux techniques.

#### *Étude de Chui et al, 2013 (103)*

Cette étude avait pour objectif de caractériser l'impact économique à 3 ans du choix de la première technique de dialyse, d'un changement précoce de technique et de l'échec de la dialyse péritonéale la première année. La perspective adoptée était celle du financeur de soins public. Les coûts pris en compte mentionnés correspondaient aux hospitalisations, au personnel médical à la biologie, à la pharmacie et aux soins ambulatoires.

L'étude concluait que la dialyse péritonéale était moins coûteuse que l'hémodialyse. Un échec de la mise en dialyse péritonéale engendrait des coûts supplémentaires, mais sur les trois premières années son coût n'excédait pas celui de trois années pleines passées en hémodialyse.

### ► États-Unis

#### *Étude de Shih et al., 2005 (104)*

Cette étude portait sur l'estimation des coûts directs de l'hémodialyse et de la dialyse péritonéale en tant que première technique de traitement de suppléance sur trois ans. La perspective retenue était celle du financeur de soins. Cependant, les coûts intégrés dans l'analyse n'étaient pas détaillés. Sur la période, les changements de traitement étaient pris en compte.

L'étude concluait que le choix de la technique initiale, les changements et le moment où ils intervenaient avaient un impact important sur les coûts. Dans cette étude, la dialyse péritonéale était moins coûteuse que l'hémodialyse en tant que première modalité de traitement de suppléance. Les auteurs préconisaient cependant la conduite d'études complémentaires, afin de préciser l'impact sur les coûts du moment où intervient le changement de modalité de traitement.

#### *L'étude de Mohr et al. 2001 (105)*

L'objectif de cette étude était de comparer les coûts des modalités d'hémodialyse en tenant compte de la fréquence des séances de dialyse (en centre conventionnelle, en centre quotidienne, à domicile quotidienne de courte durée, à domicile nocturne).

La perspective adoptée était sociétale, et les coûts directs étaient pris en considération (principalement, séance de dialyse et d'entraînement, pharmacie, transport en ambulance, honoraires médicaux et soins à domicile).

L'étude concluait que l'hémodialyse en centre conventionnelle était la modalité la plus coûteuse.

### ► Espagne

#### *Étude de Lamas Barreiro et al. 2011 (106)*

L'objectif de cette étude était de comparer les coûts et la valeur ajoutée associés à la dialyse péritonéale et à l'hémodialyse dans le cadre des accords de sous-traitance avec le département de la santé espagnol dans une région. La perspective n'était pas clairement explicitée. Les coûts pris en compte étaient peu détaillés ; ils intégraient principalement la part prise en charge par les institutions publiques (sans que cette dernière soit explicitée), le transport pour l'HD et les consommables ainsi que le personnel pour la DP.

Les auteurs mettaient en évidence que les résultats de la comparaison de coût entre la dialyse péritonéale et l'hémodialyse dépendaient de nombreux facteurs, notamment de la façon dont les patients sont répartis dans les différentes modalités de prise en charge de dialyse péritonéale et d'hémodialyse ou des consommables utilisés en dialyse péritonéale.

#### *Étude de Villa et al. 2011 (107)*

Cette étude comparait les coûts associés aux trois techniques de traitements (HD, DP et transplantation). La perspective adoptée était celle de l'administration publique espagnole. L'étude proposait une analyse portant sur les coûts directs (pour l'HD et la DP, mise en place de la voie d'abord vasculaire; entraînements, traitements, pharmacie [EPO], coûts liés aux complications, consommables, transports, personnel, frais de fonctionnement et amortissement des machines ; pour la transplantation, chirurgie, pharmacie, complications et visites de suivi). En complément, les coûts indirects, le coût global de l'IRCT et la part explicative de chacune des techniques dans ce coût étaient évalués.

Les résultats confirmaient que la transplantation rénale était la technique la moins coûteuse pour un patient prévalent, et ce malgré son coût élevé au moment de sa réalisation. Concernant la comparaison entre les deux techniques d'épuration extra-rénale, l'hémodialyse était la technique la plus coûteuse pour les patients incidents et prévalents. Au regard des coûts indirects, la transplantation était la moins coûteuse et l'hémodialyse la plus coûteuse des trois techniques. Au total, 70 % du coût global de la prise en charge de l'IRCT était imputable à l'hémodialyse.

Les conclusions étaient en faveur du développement de la dialyse péritonéale.

### ► Royaume-Uni

#### *Étude de Baboolal et al. 2008 (108)*

Cette étude proposait, dans la perspective du financeur de soins (NHS), une étude de coût portant sur huit hôpitaux du Royaume-Uni. Les coûts pris en compte étaient les coûts directs (personnel, traitement de l'anémie, transports, séances de dialyse, maintenance des appareils, consommables et frais généraux). Cette étude a permis de comparer la DPA, la DPCA, l'hémodialyse en centre, l'hémodialyse à domicile et l'hémodialyse en unité satellite.

La méthode consistait à proposer des entretiens semi-dirigés au personnel de chaque hôpital, les coûts de chacune de ces techniques étaient estimés à partir des données et des listes de prix des fournisseurs de soins.

L'étude montrait que les coûts de chacune des techniques et des modalités de prise en charge étaient variables d'un hôpital à l'autre. Cependant, quelle que soit la modalité considérée, la dialyse péritonéale était toujours moins coûteuse que l'hémodialyse. Concernant les modalités de prises en charge, la DPA était plus coûteuse que la DPCA, et le coût de l'hémodialyse en centre était supérieur à celui de l'hémodialyse en unité satellite. L'étude n'a pas permis de conclure en ce qui concerne l'hémodialyse à domicile en raison du nombre trop restreint de patients dans cette modalité, dans les hôpitaux étudiés.

#### *Étude de Kerr et al. 2012 (109)*

L'objectif de cette étude était d'estimer le coût global de l'insuffisance rénale chronique et de comparer le coût de l'hémodialyse, la dialyse péritonéale et la transplantation dans la perspective du financeur de soin (NHS). Seuls les coûts directs imputables à l'IRCT (les séances, la biologie, l'entraînement, les soins primaires et la pharmacie) étaient pris en compte.

L'étude montrait que la transplantation était moins coûteuse que la dialyse et que la dialyse péritonéale était un peu moins coûteuse que l'hémodialyse. Les auteurs précisait toutefois que le différentiel entre les deux techniques d'épuration extra-rénale ne prenait pas en compte les complications et infections.

### ► Autres pays

#### *Italie : étude de Tediosi et al. 2001<sup>26</sup> (110)*

Cette étude comparait les coûts de l'hémodialyse en centre, de la DPCA et de la DPA. La perspective adoptée n'était pas claire. Les coûts directs étaient pris en compte (séances de dialyse, personnel, consommable, maintenance et amortissement des machines, pharmacie). Les coûts de transport et d'hospitalisation n'étaient en revanche pas pris en compte. L'étude était fondée sur un échantillon de centres et d'hôpitaux prenant en charge des patients en dialyse (24 centres de dialyse, 1 200 patients). Elle montrait que la DPA était la stratégie la plus coûteuse, suivi par l'hémodialyse en centre, tandis que la DPCA était la moins coûteuse.

<sup>26</sup> Les auteurs distinguaient également l'hémodialyse à l'hôpital, sans décrire les spécificités de cette modalité par rapport à une prise en charge en centre. Ils prenaient enfin en considération une autre technique, l'hémodialyse à haut débit de filtration, qui n'a pas été prise en compte dans cette analyse.

En conclusion, les auteurs soulignaient que les coûts étaient variables d'un établissement à l'autre et en fonction de la modalité considérée. Cette étude mettait également en évidence la difficulté d'estimer le coût des différentes modalités de prise en charge de l'IRCT.

*Australie : étude d'Agar et al., 2005 (111)*

Cette étude comparait les coûts de deux programmes d'hémodialyse proposés dans un même service : hémodialyse à domicile nocturne *versus* hémodialyse en unité satellite. La perspective était celle du fournisseur de soins. L'étude retenait les coûts directs – séances de dialyse, consommables, pharmacie, biologie, personnel, matériel, frais généraux – à l'exclusion des coûts de transports.

L'étude montrait que l'hémodialyse à domicile nocturne générait des économies substantielles. Dans les conclusions, le rôle déterminant des services de santé dans le développement de la prise en charge à domicile par un soutien financier aux fournisseurs de soins et aux patients était mis en évidence.

*Danemark : étude d'Olsen et al., 2010 (112)*

L'objectif de cette étude était d'estimer les conséquences en termes de coûts d'une augmentation du recours aux modalités de dialyse hors centre. Un modèle de Markov a été mis en œuvre sur 10 ans pour comparer deux scénarios : la répartition actuelle des patients entre hémodialyse en centre et hors centre, 70 % et 30 % respectivement *versus* un scénario où 45 % des patients seraient pris en charge en hors centre. La perspective adoptée était celle du système de santé, et les coûts directs étaient pris en compte. Les coûts pris en compte mentionnés correspondaient à l'entraînement, au démarrage de la dialyse, aux équipements, à la biologie, aux consommables, au personnel, aux séances de dialyse, aux hospitalisations (y compris celles liées aux complications et aux comorbidités).

Les résultats de l'étude montraient qu'une augmentation de la part des patients pris en charge hors centre de 30 à 45 % permettrait de générer une économie de 9,6 millions d'euros.

*Belgique : étude de Cleemput et De Laet, 2013 (113)*

L'objectif de cette étude était d'évaluer les conséquences des mécanismes d'incitations financières mis en place en Belgique. Une étude de coût permettant de comparer la dialyse péritonéale, l'hémodialyse en centre et l'hémodialyse en unité satellite dans la perspective du fournisseur de soins a été mise en œuvre dans le cadre de cette évaluation. Les coûts directs étaient pris en compte, principalement, les coûts de personnel, d'équipement médical et de consommables. Le modèle mis en œuvre tenait compte du fait que certains coûts étaient semi-variables tels que les machines ou le personnel.

Les résultats de l'étude montraient que l'hémodialyse en centre était la modalité de prise en charge la plus coûteuse pour le fournisseur de soins ; en revanche, l'hémodialyse en unité satellite était moins coûteuse que la dialyse péritonéale.

*Étude multipays de Komenda et al., 2012 (114)*

Cette étude comparait une partie des coûts directs de l'hémodialyse en centre conventionnelle à ceux de l'hémodialyse à domicile conventionnelle et quotidienne en Australie, au Canada et au Royaume-Uni. Les coûts pris en compte mentionnés étaient : l'entraînement, la biologie, le matériel, l'équipement et l'installation du domicile, les consommables, les transports, les séances, l'hospitalisation. Les auteurs adoptaient la perspective des financeurs autres que les patients.

L'étude montrait que les coûts de l'hémodialyse à domicile quotidienne étaient plus élevés que ceux de l'hémodialyse en centre la première année, mais qu'ils devenaient moins élevés les années suivantes au Canada et en Australie. Au Royaume-Uni, le différentiel de coût entre les deux modalités se réduisait également bien que l'hémodialyse en centre restait moins coûteuse.



Les auteurs concluaient que l'hémodialyse à domicile conventionnelle et quotidienne pourrait être mise en place pour un coût raisonnable pour les financeurs de soins. Les auteurs insistaient également sur le fait qu'en raison de la différence de financement des coûts de traitement, les différents systèmes n'étaient pas comparables.

Les auteurs mettaient en évidence les différences de financement des coûts de traitement qui limitent la comparaison des systèmes de santé entre eux.

### **3.2.6 Synthèse des résultats des études**

Les stratégies comparées, la perspective, le périmètre des coûts, la méthode de mesure et de valorisation des coûts étaient très hétérogènes d'une étude à l'autre.

Les Tableau 7, Tableau 8 et Tableau 9 au-dessous récapitulent les principales conclusions des études concernant la comparaison des différentes techniques de traitement et modalités de prise en charge<sup>27</sup>. Ces conclusions globales masquaient la variabilité observée autour des résultats des études. À titre d'exemple, la différence de coût entre la DP et l'HD pouvaient varier entre 4 et 92 % selon l'étude prise en compte.

De manière très générale, les conclusions allaient dans le même sens concernant la comparaison des coûts des trois techniques : l'hémodialyse était considérée comme la plus coûteuse et la transplantation comme la moins coûteuse. Du point de vue des différentes modalités de prise en charge pouvant être mises en œuvre dans une même technique, les conclusions n'étaient pas toujours claires et elles ne prenaient pas toujours en compte les caractéristiques des patients.

#### **► Les techniques**

La transplantation était généralement présentée comme la technique la moins coûteuse dans le temps. Au regard des deux techniques d'épuration extra-rénale, la différence de coût observée d'une étude à l'autre était variable. Cependant, la dialyse péritonéale était, dans la grande majorité des études, considérée comme moins coûteuse que l'hémodialyse.

---

<sup>27</sup> L'étude de Benain *et al.* 2007 (95) estimait, par exemple, les coûts de la DPA, de la DPCA, de l'hémodialyse à domicile, en UDM, et en centre. Elle a été présentée comme une étude qui permettait de comparer d'une part, le coût des techniques et, d'autre part, celui des différentes modalités de prise en charge possible pour chacune des techniques considérées.

**Tableau 7. Synthèse des résultats des études de coût concernant la comparaison des techniques**

Tendances observées	Perspectives	Références	Autres conclusions
DP < HD	Financier de soins (public lorsque précisé)	Benain <i>et al.</i> (95)	
		Blotière <i>et al.</i> (35)	
		Hallinen <i>et al.</i> (96)	
		Lee <i>et al.</i> (99)	Différence moindre avec HDD
		Chui <i>et al.</i> (103)	DP puis HD = 3 ans HD
		Baboolal <i>et al.</i> (108)	
		Kerr <i>et al.</i> 2012 (109)	
	Administration publique	Villa <i>et al.</i> 2011 (107)	
	Fournisseurs de soins	Salonen <i>et al.</i> (98)	
		Cleemput et De Laet 2013 (113)	
Non précisée	Lamas Barreiro <i>et al.</i> 2011 (106)		
DP < HDC	Système de santé	Olsen <i>et al.</i> 2010 (112)	
DPCA < HD DPA > HD	Manque de clarté	Tediosi <i>et al.</i> (110)	
Séquences de traitement : DP puis HD > HD puis DP	Financeurs de soins	Chui <i>et al.</i> (103)	
Tx < dialyse	Fournisseurs de soins	Benain <i>et al.</i> (95)	
		Blotière <i>et al.</i> (35)	
		Kerr <i>et al.</i> 2012 (109)	
	Administration publique	Villa <i>et al.</i> 2011 (107)	Tx > l'année de la Tx

### ► Les modalités

Dans toutes les études, l'hémodialyse en centre était considérée comme la modalité la plus coûteuse. Entre les modalités de prise en charge d'hémodialyse hors centre (domicile, UDM ou unité satellite), une différence discriminante n'était pas mise en évidence par l'ensemble des études. Lorsqu'une différence discriminante était soulignée, l'étude concluait généralement que l'hémodialyse à domicile était la modalité la moins coûteuse.

Concernant l'hémodialyse à domicile quotidienne (nocturne ou journalière de courte durée), l'ensemble des études identifiées considéraient qu'elle était moins coûteuse que l'hémodialyse en centre. Cependant, l'étude de Komenda *et al.* en 2010 qui portait sur la question de l'estimation des coûts de l'hémodialyse à domicile indiquait que les coûts à prendre en considération ne se limitaient pas au maintien en HDD, mais devait intégrer les dépenses importantes liées à l'initiation de cette modalité de traitement (115). Or elle mentionnait que peu d'études sur l'HDD prenaient en compte l'ensemble des coûts liés à la mise en place de ce mode de prise en charge. Par ailleurs, une étude, réalisée à partir de quatre études canadiennes publiées entre 2000 et 2010, indiquait

que le différentiel de certains postes de coûts de l'HD quotidienne par rapport à l'HD conventionnelle n'a pu être clairement établi à partir des études disponibles (consommation de médicament, notamment EPO et hospitalisation) (116).

Aucune étude comparant l'ensemble des modalités de traitement en hémodialyse disponible en tenant compte à la fois de la fréquence et du lieu de prise en charge n'a pu être identifiée.

**Tableau 8. Synthèse des résultats des études de coût concernant la comparaison des modalités d'hémodialyse**

Auteurs, année, pays	HDC			SHD UDM UAD			HDD			Perspective	Tendances observées
	CV	Q	N	CV	Q	N	CV	Q	N		
Benain <i>et al.</i> (95) France	x			x			x			financeur de soins	- HDD < HDC - HDD ~ DPA et DPCA. - HD UDM > HD UAD
Malmström <i>et al.</i> (97) Finlande				x			x			sociétale	Pas de différence de coûts discriminante
Soroka <i>et al.</i> (101) Canada	x			x						sociétale	SHD < HDC
McFarlane <i>et al.</i> (100) Canada	x								x	financeurs de soins	HDDN < HDC
Mohr <i>et al.</i> (105) États-Unis	x	x						x	x	sociétale	HDC > HDD cv, HDDQ et HDDN HDCQ > HDDN
Baboolal <i>et al.</i> (108) Royaume-Uni	x			x			x			financeur de soins	SHD < HDC HDD estimation non concluante
Tediosi <i>et al.</i> (110) Italie	x			x							HDhôpital > HDcentre
Agar <i>et al.</i> (111) Australie				x					x	fournisseur de soins	HDDN < SHD
Komenda <i>et al.</i> 2012 (114)	x						x	x		financeur de soins	Année 1 : Royaume-Uni = HDC < HDDcv < HDDq Australie et Canada = HDDcv < HDC < HDDq

Auteurs, année,	HDC			SHD UDM UAD			HDD			Perspective	Tendances observées
											Années suivantes : Royaume-Uni = HDDcv < HDC < HDDq Australie et Canada = HDD cv < HDDq < HDC
Olsen <i>et al.</i> 2010 (112)	x			x			x				HDC > HD hors centre
Cleemput et De Laet 2013 (113)	x			x						fournisseurs de soins	HD > SHD

Concernant la comparaison entre les modalités de dialyse péritonéale, deux études sur trois ont montré que la DPCA était la stratégie de prise en charge la moins coûteuse par rapport à la DPA (108, 110). Cependant, l'étude française n'a pas mis en évidence de différence discriminante (95). Le NICE mentionnait à l'issue d'une revue de littérature sur cette question qu'un manque d'étude limitait le niveau de preuve des résultats (117).

**Tableau 9. Synthèse des résultats des études de coût concernant la comparaison des modalités de dialyse péritonéale**

Auteurs, année, pays	DPA	DPCA	Perspective	Tendances observées en termes de coût
Benain <i>et al.</i> (95)	x	x	financier de soins	DPA et DPCA pas de différence importante
Baboolal <i>et al.</i> 2008 (108) Royaume Uni	x	x	financier de soins	DPCA < DPA
Tediosi <i>et al.</i> (110) Italie	x	X	-	DPCA < DPA

D'un point de vue global, l'ensemble des modalités d'hémodialyse et de dialyse péritonéale n'ont pas été comparées. Par exemple, aucune étude comparant les quatre modalités de dialyse péritonéale – la DPCA avec ou sans assistance à la DPA avec ou sans assistance – n'a pu être identifiée. Les études identifiées ne précisaient pas la présence ou non d'une assistance dans les modalités de dialyse péritonéale comparées.

Enfin concernant la transplantation, Barnieh *et al.* en 2001 (102) concluaient que les transplantations à partir de donneurs vivants et celles à partir de donneurs décédés ne présentaient pas de différence en termes de coût.

### 3.2.7 Analyse critique des études de coût

#### ► Qualité méthodologique des études

Les principales limites identifiées sont recensées, afin de mettre en évidence leur conséquence sur la validité des conclusions des études. Les limites n'ont pas été hiérarchisées dans la mesure où

l'impact de chacune sur les résultats n'a pas été pu être quantifié. La mise en exergue de ces limites a pour objet de permettre une analyse globale de la pertinence des conclusions.

### *Biais de sélection*

Dans certaines études, la non-homogénéité des groupes de patients comparés pouvait affecter l'estimation des coûts. Selon les pays, le choix des techniques semblait être en partie déterminé par des biais d'indication (ex : la population des patients en dialyse péritonéale pouvait avoir une moyenne d'âge inférieure et des comorbidités moindres que les patients en hémodialyse) (96, 97, 99, 103, 113). Des études mentionnaient que les patients autonomes ayant une activité professionnelle s'orientaient plus vers l'hémodialyse à domicile nocturne (116). McFarlane *et al.* en 2011 (116) rappelaient qu'une partie de l'évaluation des coûts de prise en charge de l'IRCT était dépendante des caractéristiques des patients, en particulier en termes de recours aux soins (ex : les hospitalisations et les consommations de médicaments). La distribution des caractéristiques des patients pourrait avoir un impact sur les coûts de traitement<sup>28</sup>. Or, les études n'ajustaient pas toutes les patients en fonction de leurs caractéristiques (95, 113). Salonen *et al.* en 2003 (98) insistaient sur la nécessité de prendre des précautions dans l'interprétation de ces résultats, en raison de la complexité associée à la comparaison des techniques même lorsque des ajustements sur les caractéristiques des patients ont été réalisés.

Par ailleurs, la population d'étude n'était pas toujours représentative de la population d'analyse constituée de l'ensemble des patients atteints d'IRCT. Par exemple, dans l'étude de Lee *et al.* en 2002 (99), seule la moitié de la population initiale a pu être suivie. Rien ne permet de garantir que ces 50 % soient un échantillon représentatif. Cinq études sur 21 ont été conduites sur un seul établissement de santé. Enfin, concernant l'analyse française conduite par Blotière *et al.* en 2010 (35) ou les études américaines réalisées dans la perspective du financeur de soins public (104), un biais de sélection pouvait être induit par le choix de la population de référence – les assurés aux régimes généraux dans le premier cas, les ayants droit à Medicare dans l'autre<sup>29</sup>. En France, ce biais devrait toutefois avoir un impact faible sur les résultats par rapport aux autres biais de sélection identifiés.

Le risque de biais de sélection était aggravé lorsque la taille de l'échantillon était très faible. Dans 4 études, la taille de l'échantillon était inférieure à 100 patients, ce qui limitait la portée des résultats (96, 97, 100, 111).

### *Durée d'analyse*

Dans la grande majorité des cas, la durée d'analyse était de un an (35, 95-97, 99-101, 105-108, 110, 111, 113).

La durée d'étude peut avoir un impact sur les résultats si les coûts associés aux différentes techniques et/ou modalité de traitement ne sont pas stables dans le temps, et que la population d'étude est incidente. Certaines études mentionnaient, par exemple, que le nombre de complications liées à la technique était plus fréquent en dialyse péritonéale qu'en hémodialyse et augmentait avec l'ancienneté dans la technique de traitement (95, 98, 104).

Une analyse de coût statique présente des limites même lorsqu'elle inclut des patients incidents et prévalents. Ce type d'analyse ne permet pas de prendre en compte l'évolution des coûts dans le temps ou en fonction du passage des patients entre les différentes techniques de traitement. Les études incluant les coûts de transition et d'entraînement ont montré l'importance de ce type de

---

<sup>28</sup> Une étude allemande a montré que le profil des patients en dehors de leur âge n'avait pas d'impact sur le coût de la dialyse (118). Cette étude présentait cependant des limites.

<sup>29</sup> Si ce biais est différent, dans les deux cas, ces sous-populations n'ont pas nécessairement les mêmes caractéristiques que la population générale.

coûts et donc l'intérêt d'en tenir compte. Par ailleurs, la méthode de calcul utilisée pour différencier le coût des différentes modalités et ne pas imputer des coûts d'une modalité sur l'autre en raison des changements sur la période, n'était que rarement explicitée. Lorsqu'elle était présentée, elle ne permettait pas de déterminer le coût lié au temps passé sur une année dans une et une seule modalité de traitement. Par exemple, dans l'étude de Blotière *et al.* en 2009, le coût du traitement de suppléance était estimé en fonction du dernier traitement reçu dans l'année (35).

Une photographie des coûts sur une année en fonction de la répartition des patients à un instant « t » ne permet pas de garantir la stabilité de la structure des coûts. Or, aucune étude n'a proposé des coupes sur différentes années pour s'assurer de la stabilité des conclusions.

#### *Choix des techniques et/ou modalités comparées*

Aucune étude n'a comparé l'ensemble des techniques et des modalités de traitement. Le choix des stratégies comparées dans les études pouvait avoir un impact sur les résultats. Les différentes modalités d'hémodialyse peuvent être comparées en fonction du lieu, de la présence médicale, de la fréquence et de la durée des séances. Or, les études comparaient souvent différentes fréquences d'utilisation dans des lieux et avec des niveaux de prise en charge médicale variables. Ainsi, par exemple, McFarlane *et al.* (119) et Mowatt *et al.* 2003 (120) comparaient l'hémodialyse quotidienne nocturne ou journalière à domicile avec une prise en charge en centre ou en unité satellite conventionnelle. Le lieu, la présence médicale, la fréquence et la durée des séances d'hémodialyse sont tout autant de facteurs qui impactent les coûts, et cela pas nécessairement dans le même sens (80).

De la même manière, la plupart des études qui comparaient différentes techniques de prise en charge par dialyse péritonéale ne distinguaient pas s'il s'agissait de dialyse péritonéale assistée ou non assistée d'une infirmière. Les résultats des comparaisons de coûts entre la DPCA et la DPA différaient d'une étude à l'autre, mais la variabilité de ces conclusions pourrait être expliquée par l'absence de prise en compte de ce facteur qui influence nécessairement la structure des coûts.

Par ailleurs, le choix de comparer les techniques sans prendre en compte la diversité des modalités pouvant être proposées au sein d'une même technique pouvait masquer un facteur important de variabilité des coûts.

De façon plus générale, la comparaison des techniques de traitement se heurtait à des difficultés. Les techniques ne sont pas parfaitement substituables : la transplantation n'est que très rarement proposée comme première modalité de traitement en raison de la pénurie d'organes, et la dialyse péritonéale n'est pas une solution pérenne par rapport à l'hémodialyse.

En outre, un problème de délimitation des modes de prise en charge peut être noté. Dans la mesure où toutes les études ne prenaient pas en compte les changements de technique au cours de la période, les estimations pouvaient être faussées (ex : le coût d'une technique comprenait parfois une partie du coût d'une autre ou, inversement, une partie de son coût n'était pas prise en compte mais imputé à une autre technique). Shih *et al.* 2005 (104) avaient d'ailleurs montré que la survenue d'un changement de technique et le moment où il intervient avaient un impact sur les dépenses dans la perspective du financeur de soins.

#### *Perspectives analysées*

Les études françaises, comme les études d'autres pays, adoptaient le plus souvent la perspective du financeur de soins, principalement public (ex : Assurance maladie ou Medicare) (10 études sur 21). Quatre adoptaient la perspective du fournisseur de soins (98, 100, 111, 113) et trois une perspective sociétale (97, 101, 105). Une étude a opté pour la perspective administration publique, et une autre pour le système de santé, sans spécifier les coûts exclus par cette perspective par rapport à une perspective collective prenant en considération l'ensemble des financeurs (107, 112). La perspective adoptée n'était donc pas toujours explicitement énoncée et claire par rapport à la méthode mise en œuvre (106, 110). Dans les études où elle était explicitement mentionnée, le

périmètre qu'elle recouvrait n'était cependant pas toujours précisé (ex : l'appellation « financeur de soins »).

Une perspective restreinte aux financeurs de soins public peut masquer un transfert de charges vers les patients selon la technique considérée.

#### *Périmètre et valorisation des coûts*

Toutes les études évaluaient les coûts directs, et deux études ont également pris en compte les coûts indirects. Cependant, le périmètre des coûts pris en considération était variable en fonction de la perspective adoptée, de la répartition des coûts entre les parties prenantes selon le pays où l'étude a été conduite. Les coûts de transports, par exemple, n'ont pas été pris en considération dans l'ensemble des études (99, 100, 102, 109, 110). La plupart des études ne précisaient pas suffisamment le périmètre inclus et n'explicitaient pas clairement la méthode de valorisation des coûts utilisée. En outre, l'évaluation des coûts liés aux techniques de traitement et/ou des modalités de prise en charge n'était pas toujours fondée sur les conditions réelles constatées (95, 110).

Les différences de méthodes dans l'estimation des coûts et le manque de transparence empêchait d'expliquer les variations de coûts observées d'une étude à l'autre, et cela y compris dans un même pays, par exemple entre les résultats des deux études finlandaises de Hallinen *et al.* (96) et Salonen *et al.* 2003 (98).

Le choix du périmètre des coûts peut orienter les conclusions en faveur de certaines modalités de traitement. Par exemple, ne pas prendre en considération les coûts liés aux prélèvements et à la l'organisation des transplantations d'organes, pouvait sous-estimer le coût de la transplantation. Un autre exemple concernant les modalités de prise en charge en hémodialyse, ne pas prendre en compte les coûts de transport conduisait à sous-estimer le coût de l'hémodialyse en centre tandis que la non-prise en compte des frais d'aménagement du domicile revenait à sous-estimer les coûts de l'hémodialyse à domicile.

#### *Évaluation de la robustesse des résultats*

Les études de coût identifiées ne proposaient pas systématiquement d'évaluer la robustesse de leurs conclusions. Les études conduisant des analyses de sensibilité étaient dans certains cas incomplètes ((96, 97, 106-111, 113). Par exemple, une étude a simulé des scénarios visant à modifier la répartition des patients par technique, en utilisant les coûts moyens de leur analyse de référence, sans faire varier les paramètres de coûts et/ou les caractéristiques de patients (35).

Pour la plupart des études, une analyse de sensibilité univariée ou multivariée sur quelques paramètres incertains ou non pris en compte dans l'évaluation était proposée (95, 98-105, 112). Par exemple, dans l'étude de Salonen *et al.* en 2003 (98), une analyse de sensibilité multivariée a été mise en œuvre pour prendre en considération l'impact des caractéristiques des patients sur les coûts. Il ressortait que trois variables, autres que le traitement, étaient significativement associées à une augmentation des coûts : l'âge, la présence de maladies cardiaques et la cause de la maladie rénale.

Tableau 10. Synthèse des principales limites

Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Durée d'analyse	Choix des comparateurs	Perspective Périmètre et valorisation des coûts	Test de la robustesse des résultats
Benain <i>et al.</i> 2007 (95)	Cohorte non ajustée en fonction des caractéristiques des patients  Estimations de la répartition entre les modalités de traitement antérieure au décret de 2002	1 an		Assurance maladie  Estimations statique non fondée sur des données réelles – avis d'experts	Analyses de sensibilité ne portant pas sur l'ensemble des paramètres incertains
Blotière <i>et al.</i> 2010 (35)	Cohorte non ajustée en fonction des caractéristiques des patients Assurés au régime général uniquement	1 an	Uniquement 3 techniques	Assurance maladie  Prise en compte des coûts non exhaustive (transplantation)	Analyse de sensibilité en scénarios, mais sans prise en compte de l'incertitude sur les paramètres estimés
Hallinen <i>et al.</i> 2009 (96)	1 seul hôpital  Cohorte non ajustée en fonction des caractéristiques des patients  Taille de l'échantillon faible (29 patients)  Patients incidents	1 an	DP vs HD  Ne tient pas compte de l'hétérogénéité des modalités	Financier de soins  Informations insuffisantes relatives au périmètre des coûts et valorisation	Aucune analyse de sensibilité
Salonen <i>et al.</i> 2003 (98)	Possible biais de sélection  Patients incidents		DP vs HD  Ne tient pas compte de l'hétérogénéité des modalités	Fournisseur de soins	Analyses de sensibilité sur l'impact des caractéristiques des patients



Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Durée d'analyse	Choix des comparateurs	Perspective Péri-mètre et valorisation des coûts	Test de la robustesse des résultats
Malmström <i>et al.</i> 2008 (97)	1 seul hôpital Cohorte non ajustée en fonction des caractéristiques des patients  < 100 patients (65 patients)	1 an	HDD vs SHD Pas toutes les modalités de HD	Sociétale  Imprécisions sur les coûts pris en considération	Aucune analyse de sensibilité
Lee <i>et al.</i> 2002 (99)	1 seul hôpital	1 an	HDD vs HDC vs SHD vs DP DP : pas de prise en compte des différentes modalités.	Financier de soins  Estimations en statique Valorisation des coûts pas explicitement détaillée.	Analyses de sensibilité sur certains coûts (rémunérations du personnel et frais de fonctionnement)
McFarlane <i>et al.</i> 2002 (100)	Patients jeunes avec moins de comorbidités que la moyenne des patients en IRCT.  < 100 patients (56 patients)	1 an	HDDQ nocturne vs HDCcv	Financier de soins  Manque de clarté sur les coûts pris en considération  Valorisation de certains postes de coûts pas explicitement détaillée.	Analyses de sensibilité sur un seul paramètre, l'amortissement des machines
Soroka <i>et al.</i> 2005 (101)	1 seul hôpital et 1 centre SHD Cohorte non ajustée en fonction des caractéristiques des patients  Manque de clarté sur la population d'étude	1 an		Sociétale	Analyses de sensibilité sur la variation des honoraires et prise en compte des coûts d'aménagement
Barnieh <i>et al.</i> 2001 (102)	Pas d'ajustement sur les caractéristiques de patients			Financier de soins  Coûts pris en compte	Analyses de sensibilité sur les coûts de la dialyse et prenant en compte des transplantations autres que

Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Durée d'analyse	Choix des comparateurs	Perspective Périimètre et valorisation des coûts	Test de la robustesse des résultats
				incomplets.	rénale pour Tx DCD.
Chui <i>et al.</i> 2013 (103)	Patients incidents		DP vers HD associé à un échec de la technique Prise en compte de la 1 <sup>re</sup> année	Financier de soins	Analyses de sensibilité les données censurées et des transformations logarithmiques utilisées dans les régressions linéaires du modèle
Shih <i>et al.</i> 2005 (104)	Patients incidents			Financier de soins public (Medicare)  Non prise en compte des facteurs de variabilité des coûts  Présentation des coûts pas très claire ; Périimètre des coûts peu explicité.	Analyses de sensibilité sur le moment de la transition et permettant l'ajout d'états
Mohr <i>et al.</i> 2001 (105)	Cohorte non ajustée en fonction des caractéristiques des patients  Population non décrite	1 an	HDCcv vs HDCQ vs HDDQnocturne vs HDDQ  Manque HDD cv et SHD pour une comparaison complète des stratégies d'HD	Sociétale	Analyses de sensibilité partielles sur les coûts du traitement de dialyse et certains autres coûts
Baboolal <i>et al.</i> 2008 (108)	Population non décrite Répartition non précisée			Financier de soins public	Aucune analyse de sensibilité
Kerr <i>et al.</i> 2012 (109)	Cohorte non ajustée en fonction des	1 an	HD vs DP vs Tx	Financier de soins public	Aucune analyse de sensibilité

Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Durée d'analyse	Choix des comparateurs	Perspective Périètre et valorisation des coûts	Test de la robustesse des résultats
	caractéristiques des patients		Pas d'explication sur l'estimation des coûts annuels associés aux techniques		
Tediosi <i>et al.</i> 2001 (110)	Cohorte non ajustée en fonction des caractéristiques des patients  Échantillon non renseigné	1 an Année de référence différente pour HD et DP	HD Hôpital et HD Centre : distinctions non précisées	Manque de clarté sur la perspective adoptée  Valorisation et coûts pris en compte non suffisamment explicités	Aucune analyse de sensibilité
Agar <i>et al.</i> 2005 (111)	1 hôpital Cohorte non ajustée en fonction des caractéristiques des patients  < 100 patients (60 patients)	1 an	SHD vs HDDN	Fournisseur de soins  Des choix interprétatifs	Aucune analyse de sensibilité
Komenda <i>et al.</i> 2012 (114)	3 pays Population non clairement décrite	Données recueillies sur différentes années ajustées sur l'inflation	HDC vs HDDcv vs HDDq	Financier de soins autres que patients	Analyses de sensibilité : Variation des coûts + et - 25 %
Lamas Barreiro <i>et al.</i> 2011 (106)	1 région Population non clairement décrite	1 an avec des extrapolations de données mensuelles	HD vs DP	Non précisé	Aucune analyse de sensibilité
Villa <i>et al.</i> 2011 (107)	Population en IRCT en Espagne	1 an	HD vs DP vs Tx	Administration publique (pas clairement explicité)	Aucune analyse de sensibilité
Olsen <i>et al.</i> 2010 (112)	Population en IRCT au Danemark	Modélisation	Scénario	Système de santé	Analyses de sensibilité sur la

Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Durée d'analyse	Choix des comparateurs	Perspective Périimètre et valorisation des coûts	Test de la robustesse des résultats
		type Markov Cycle 1 an Durée 10 ans	répartition actuelle vs augmentation des patients en hors centre		répartition des patients, coûts d'investissement; exclusion des coûts des hospitalisations
Cleemput et De Laet (113)	Non précisé	1 an	HD vs DP vs SHD	Fournisseurs de soins	Aucune analyse de sensibilité
Remarques globales	Problèmes de biais de sélection récurrents Ajustement et représentativité de la cohorte Échantillon de taille réduite Population incidents	Durée d'analyse courte	- Techniques et/ou modalités jamais toutes comparées simultanément - Parfois, lieu et fréquence des séances différents	Méthode non suffisamment décrite + problèmes de comparaisons liées aux différences sur : la perspective, le périmètre des coûts et leur valorisation	Analyses de sensibilité ne portant pas sur l'ensemble des paramètres incertains

### ► La transposabilité des études étrangères

Seules deux études françaises ont été identifiées, la plupart des études disponibles ont été réalisées dans d'autres pays. Or, en fonction de la perspective adoptée et du pays considéré, le périmètre des coûts et la part relative de chaque poste de coût différaient. Les études étaient difficilement comparables. En outre, des éléments constituaient un obstacle à la transposabilité des études au contexte français. Sans chercher à être exhaustif, les éléments suivants montrent pourquoi la transposabilité des conclusions est limitée.

- Les modalités organisationnelles de prise en charge des patients en IRCT ne sont pas les mêmes d'un pays à l'autre. Les unités satellites et l'UDM forment un ensemble très hétérogène en ce qui concerne l'organisation de la prise en charge des soins médicaux et leur financement (47, 48, 82). Il n'y a aucune définition et aucun standard au niveau international et des différences notables ont pu être observées, par exemple, entre le Pays de Galles et l'Angleterre (121).
- Les règles de financement des établissements de santé privés et publics ainsi que les montants remboursés diffèrent d'un pays à l'autre et en fonction de leur condition d'exercice. Le coût et le financement d'une séance d'hémodialyse variait d'un pays à l'autre (25). La rémunération des professionnels de santé diffère fortement d'un pays à l'autre (25, 122). La mise en place de politiques incitatives visant à développer une technique peut faire augmenter le coût de cette technique relativement aux autres (61, 63).
- Dans certains pays, la prise en charge financière des transports est assumée par un financeur de soins public, comme en France, en Espagne (33) ou au Royaume-Uni (123). Cette prise en charge collective peut toutefois être conditionnée par des critères de revenus des patients (31) ou par l'utilisation d'un prestataire (123). Dans certains systèmes de santé, une partie des médicaments coûteux comme l'érythropoïétine (EPO) est à la charge du patient, et la part restant à la charge du patient varie d'un pays à l'autre ainsi que dans le temps (ex : États-Unis, Royaume-Uni, Canada ou Australie) (27, 47, 124). Certains systèmes contrôlent l'offre de ces médicaments tels la Nouvelle-Zélande (31), l'Italie (32) ou le Japon (83). Le remboursement des soins infirmiers à domicile diffère selon les pays (34, 122). La prise en charge des coûts liés à l'IRCT n'est pas assurée partout de la même manière. Les patients peuvent financer une part plus ou moins importante, et cette dernière a pu évoluer dans le temps (pour exemple le cas du Japon) (83). Cela pourrait, en partie, expliquer certains biais d'indication et les choix des patients. Mais cela montre aussi qu'une même perspective adoptée dans des études de différents pays ne prend pas nécessairement en compte le même périmètre de coût.
- Les biais d'indication dans le choix du traitement, notamment à l'initiation, n'étaient pas nécessairement les mêmes d'un pays à l'autre. Les données du registre de dialyse péritonéale de langue française ainsi que celles du registre REIN montraient que cette technique était utilisée en France chez les personnes jeunes et autonomes, généralement en pont vers la transplantation, mais aussi chez les personnes âgées (125, 126). Au total, par rapport à la moyenne des patients en IRCT en France, la population traitée par dialyse péritonéale était âgée et présentait plus de comorbidités (127). En Nouvelle-Zélande et, en Australie, les patients en dialyse péritonéale étaient également plus âgés et présentaient plus de comorbidités (128). Inversement, aux États-Unis, au Royaume-Uni, au Canada ou en Finlande la dialyse péritonéale était principalement utilisée chez les patients jeunes, plus autonomes et généralement actifs (66, 98, 99, 129).
- Le développement de l'utilisation des différentes modalités de traitement n'est pas identique dans les différents pays. En France, l'hémodialyse quotidienne reste encore très peu utilisée.

### 3.2.8 Conclusions de l'analyse des études de coûts

#### Encadré 5. Conclusions de l'analyse des études de coûts

La revue de la littérature a permis d'identifier 21 études de coût dont deux études françaises, trois revues systématiques de la littérature et une méta-analyse.

Aucune étude ne comparait simultanément l'ensemble des alternatives, et certaines modalités n'étaient pas prises en considération dans les études analysées. Les résultats n'étaient pas systématiquement ajustés en fonction des caractéristiques des patients. Les conclusions visant à développer un mode de traitement ne prenaient pas en compte l'impact sur les coûts d'une évolution des caractéristiques des patients pris en charge par ce mode de traitement.

Les études étaient très hétérogènes et difficilement comparables. La qualité méthodologique et la transposabilité des études étaient faibles. Cette revue de la littérature n'est pas suffisante pour permettre de déterminer le coût relatif des techniques de traitement et des modalités de prise en charge, notamment eu égard aux biais d'indications et aux variations des caractéristiques des patients d'une technique à l'autre.

Si toutes les études ne se valent pas sur le plan de qualité méthodologique, il n'a pas été possible d'établir un classement. Certaines études présentaient toutefois plus de limites méthodologiques ou étaient moins rigoureuses dans l'explicitation de la méthode et des données utilisées que d'autres (97, 101, 104, 106, 110, 111, 114).

L'étude de Blotière *et al.*, publiée en 2010 (35), peut être considérée comme la plus pertinente des études de coûts pour donner un éclairage sur la situation française au regard de la méthode employée et de la faible transposabilité des études étrangères. Cette étude concluait en faveur du développement de la transplantation et de la dialyse péritonéale. Cependant, les limites de cette étude ne doivent pas être négligées dans l'appréciation de la robustesse de ces conclusions (cf. Analyse critique).

Enfin, il est important de rappeler que les études de coûts sont des évaluations économiques partielles, puisqu'elles n'évaluent pas les conséquences des interventions sur l'état de santé des individus.

### 3.3 Analyses des études de coût-résultat

#### 3.3.1 Analyse quantitative

La revue de la littérature a permis d'identifier 15 études de type coût-résultat :

- 2 revues systématiques<sup>30</sup>;
- 1 méta-analyse ;
- 15 études étrangères<sup>31</sup>; la seule étude française identifiée n'a pas été retenue en raison de son ancienneté (Cogny Van Weydevelt *et al.* 1999) (131)<sup>32</sup>.

<sup>30</sup> Deux autres revues de la littérature ont été identifiées, mais non prise en considération telles la revue de Klarenbach *et al.* 2009 (80) en raison de sa méthodologie et celle de MacLeod *et al.*, (130) antérieure à 2000.

<sup>31</sup> Dans cette catégorie, la modélisation, réalisée à la suite de l'une des deux revues de la littérature retenue (Mowatt *et al.*) (120), a également été prise en compte.

<sup>32</sup> Bien que non retenus dans l'argumentaire, à titre informatif, les principales caractéristiques et résultats de cette étude sont présentés dans le Tableau 2 de l'Annexe 1.

### 3.3.2 Caractéristiques et résultats des revues systématiques

#### ► Revue de littérature du KCE, Centre fédéral d'expertise des soins de santé, 2010 (91)

Cette revue de la littérature recensait 9 études de type coût-résultat et 3 revues de la littérature sur la période 1996-2009. Les conclusions du KCE portaient sur ces points.

- Concernant la comparaison des deux techniques d'épuration extra-rénale, les résultats de l'ensemble des études montraient que la dialyse péritonéale était une stratégie coût-efficace, et parfois même la plus efficace et la moins coûteuse (efficace), en tant que première technique de traitement de suppléance.
- Concernant la comparaison entre les différentes modalités de prise en charge en hémodialyse, l'hémodialyse hors centre présentait un ratio coût-efficacité plus avantageux. L'analyse de la littérature ne permettait pas de conclure concernant l'hémodialyse à domicile *versus* la prise en charge en unité satellite.

Le KCE mettait également en évidence les limites des études. Dans la plupart des cas, les techniques et/ou les modalités de prise en charge n'étant pas de parfaits substituts, le choix entre les différentes stratégies de traitement était principalement guidé par les conditions médicales et les préférences des patients, ainsi que par la disponibilité des organes pour la transplantation. De ce fait, les biais de sélection étaient inhérents à toutes les études observationnelles. En outre, l'évaluation économique des différents traitements de suppléance se heurtait à l'absence de données d'efficacité provenant d'essais contrôlés randomisés. Enfin, si de nombreuses études se bornaient à dissocier les effets des stratégies comparées sur les coûts des différentes techniques et/ou modalité de prise en charge de ceux sur le résultat de santé, certaines tentaient de calculer un ratio différentiel coût-efficacité. Ces ratios, de nature instable, devraient être interprétés avec précautions. Le KCE proposait, pour illustrer cette notion d'instabilité, l'exemple suivant : si les patients traités habituellement par la technique « A » étaient amenés à changer pour la technique « B » en raison d'un ratio coût-efficacité plus faible, les faire changer de technique pourrait réduire l'efficacité et augmenterait les coûts de « B ».

#### ► Revue de littérature de Mowatt *et al.*, 2003 (120)

Cette revue de littérature, conduite dans le cadre du programme de recherche *Health Technology Assessment* du NHS, portait sur 18 études recensées entre 1979 et 2001 comparant différentes modalités de prise en charge en hémodialyse.

Huit études comparaient l'hémodialyse à domicile *versus* en centre, 5 comparaient l'hémodialyse en unité satellite *versus* à domicile *versus* en centre. Les comparaisons entre les modalités de traitement portaient sur la fréquence des séances de dialyse (quotidienne vs trois fois par semaine) dans 7 études. Les auteurs notaient que le ratio coût/efficacité ou coût/utilité était rarement explicitement mentionné.

Les principales conclusions étaient :

- l'hémodialyse à domicile était la moins coûteuse des prises en charge en hémodialyse ;
- les différentes modalités étaient généralement considérées comme équivalentes en termes de résultats. Plusieurs études mentionnaient cependant la difficulté de comparer ces modalités, et l'importance qui devait être accordée aux préférences des patients et de leur famille.

L'analyse mettait également en évidence la qualité variable des études, dont les principales limites étaient :

- les biais de sélection (dans 12 études : absence d'ajustement selon les caractéristiques des patients) ;
- le manque de transparence sur la méthode utilisée.

### ► Méta-analyse de Winkelmayr *et al.*, 2002 (132)

L'objectif de cette méta-analyse était d'estimer la variabilité dans le temps du coût par année de vie gagnée pour chacun des traitements de suppléance. La recherche documentaire a été conduite sur la période 1968-2000 et 13 études ont été incluses.

Les principaux résultats (exprimés en dollars 2000<sup>33</sup>) étaient les suivants :

- l'hémodialyse en centre coûtait entre 55 000 et 80 000 \$/année de vie (ratio moyen 65 300 \$/année de vie ; ratio médian 66 200 \$/année de vie et, en retenant le plus haut niveau de qualité de vie publié, l'hémodialyse en centre coûtait 61 000 QALY – aucune tendance évolutive n'avait pu être mise en évidence ;
- l'hémodialyse à domicile coûtait entre 33 000 et 50 000 \$/année de vie. Là encore, aucune tendance évolutive n'était mise en évidence ;
- la transplantation coûtait 10 000 \$/année de vie. Une baisse tendancielle discriminante de son coût était mise en évidence entre 1960 et 2000 ;
- concernant la dialyse péritonéale, l'absence de données ne permettait pas de conclure.

Les auteurs précisait que l'orientation des patients dans les différentes techniques de traitement dépendait d'une grande diversité de facteurs : considérations médicales, préférences des fournisseurs de soins, des patients ou encore disponibilité de greffons rénaux. Les auteurs soulignaient l'intérêt d'analyser les différentes techniques en termes de trajectoires de soins plutôt qu'en termes d'alternatives. Dans un tel cadre, ils signalaient qu'il était préférable de commencer en dialyse péritonéale puis d'être réorienté en hémodialyse plutôt que l'inverse.

Cette méta-analyse présentait des limites, en particulier la méthode utilisée pour comparer sur 30 ans les résultats d'études, réalisées dans divers pays (États-Unis, Canada, Royaume-Uni, Brésil, etc.), et fondées sur des méthodes différentes n'était pas suffisamment explicitée.

### 3.3.3 Caractéristiques et résultats des études de coût-résultat étrangères

Une synthèse de l'analyse critique de la méthode de ces études est proposée dans le Tableau 2 de l'Annexe 1.

#### ► Royaume- Uni

##### *Étude de Mowatt et al., 2003 (120)*

Cette étude comparait les différentes modalités d'hémodialyse en fonction du lieu de prise en charge (en centre, en unité satellite ou à domicile), de la fréquence et de la durée des séances de dialyse (conventionnelle ou quotidienne). Cette étude coût-utilité s'appuyait sur un modèle de Markov pour présenter le coût/QALY de différentes modalités de prise en charge à 5 et à 10 ans. Une partie des données qui alimentent le modèle sont issues des résultats d'une revue systématique de la littérature dont les conclusions ont été présentées dans la section précédente. La perspective adoptée était celle du financeur de soins et prenait en compte les coûts directs (tels que les coûts relatifs à l'accès à la dialyse, au personnel, aux entraînements, aux complications, aux consommables, aux aménagements, aux équipements, à la pharmacie, aux séances de dialyse et à la biologie). Des analyses de sensibilité en scénarios prenant en compte les coûts de transport et les allocations qui pourraient être versées aux patients pris en charge à domicile ont été conduites.

Selon cette étude, l'hémodialyse à domicile était une stratégie efficiente par rapport à l'hémodialyse en centre. Par rapport à l'hémodialyse en unité satellite, l'hémodialyse à domicile avait un coût par QALY plus élevé, notamment lorsqu'elle était réalisée de manière quotidienne.

<sup>33</sup> Ces données n'ont pas été converties en euro 2014, dans la mesure où elles n'étaient pas présentées pour les valeurs en elles-mêmes, mais pour montrer la variabilité des résultats identifiés.



L'étude concluait que le coût différentiel par QALY d'une prise en charge à domicile était faible par rapport à une prise en charge en centre. Comparé à une prise en charge en unité satellite, le coût de l'hémodialyse à domicile était élevé. Il était néanmoins mentionné que le niveau de preuve associé à l'estimation de la qualité de vie concernant une prise en charge à domicile était faible.

#### *Étude de Gonzalez-Perez et Vale, 2005 (129)*

Cette analyse coût-utilité proposait également de comparer différentes modalités d'hémodialyse en fonction du lieu de prise en charge (en centre, en unité satellite ou à domicile) en s'appuyant sur un modèle de Markov. Les résultats étaient exprimés en coût/QALY à 5 et 10 ans. La perspective adoptée n'était pas clairement énoncée ; l'étude mentionnait prendre en compte les coûts relatifs à l'accès à la dialyse, au personnel, aux entraînements, aux complications, aux consommables, aux aménagements, aux équipements, à la pharmacie, aux séances de dialyse et à la biologie.

Les QALYs ont été estimés à partir d'une revue de la littérature qui recensait les mêmes études que celles retenues par Mowatt *et al.* en 2003 (120). Les résultats des deux études étaient comparables.

- L'hémodialyse à domicile et celle en unité satellite étaient deux stratégies efficaces par rapport à une prise en charge en centre.
- Le différentiel de coût par QALY de l'hémodialyse à domicile par rapport à l'hémodialyse en unité satellite était faible à 5 et 10 ans ; ce point méritait toutefois d'être étayé par des études complémentaires.

Les auteurs précisait que les résultats en termes de coût-efficacité de l'hémodialyse à domicile dépendaient du temps passé par les patients dans la modalité en raison des coûts importants liés à l'aménagement du domicile. En ce sens, elle pourrait être plus adaptée à une population de patients jeunes dont l'espérance de vie est plus longue. Ils indiquaient par ailleurs que le développement de l'hémodialyse à domicile impliquait la prise en compte des contraintes d'ordre organisationnel (disponibilité d'un personnel soignant mobile, aménagement du domicile, etc.).

#### *Étude de Kirby et Vale, 2001 (133)*

Cette étude de type coût-efficacité comparait l'hémodialyse à la DPCA. Le critère d'efficacité retenu était la durée de vie. L'estimation des coûts, de l'efficacité des techniques et la construction des probabilités de transition reposaient sur une revue de la littérature. L'horizon temporel et la perspective adoptée n'étaient pas clairement énoncés. Les coûts pris en compte correspondaient aux coûts de personnel ainsi que ceux liés aux complications et à la chirurgie.

Le modèle de Markov permettait de simuler des scénarios définis à partir de trajectoires de patient fondées sur l'hypothèse selon laquelle tout changement d'une technique vers l'autre était induit par une complication liée à la technique.

Les résultats montraient que l'hémodialyse dominait la DPCA en termes de coût/année de vie gagnée dans 8 des 16 scénarios envisagés. Dans les 8 autres, le coût/année de vie gagnée en hémodialyse par rapport à la dialyse péritonéale variait de 5 000 £ à 51 000 £.

Les auteurs concluaient qu'il semblerait préférable de démarrer la prise en charge du patient en hémodialyse plutôt qu'en DPCA. Ils soulignaient que cette conclusion allait à l'encontre de la politique du Royaume-Uni qui consistait à mettre 50 % des nouveaux patients en DPCA en 2001.

### ► **Canada**

#### *Étude de Kroeker et al., 2003 (134)*

Cette étude coût-utilité comparait les différentes modalités de prise en charge en hémodialyse : l'hémodialyse en centre avec une fréquence conventionnelle, l'hémodialyse à domicile quotidienne de courte durée pendant la journée ou hémodialyse de longue durée nocturne. Le critère d'utilité retenu était le QALY, et les coûts pris en considération étaient ceux financés par le système de

santé public. Les coûts mentionnés étaient par exemple les coûts directs suivants : pharmacie, séances de dialyse, visites en urgence, personnels, biologie, matériel.

Dans leur conclusion, les auteurs mettaient en évidence que les résultats associés à l'hémodialyse quotidienne justifiaient son expansion.

#### *Études de McFarlane et al., 2003 et 2006 (119, 135)*

L'étude coût-utilité réalisée en 2003 (119) comparait l'hémodialyse conventionnelle en centre à l'hémodialyse à domicile nocturne. Les auteurs concluaient que l'hémodialyse à domicile nocturne était une stratégie efficiente comparée à l'hémodialyse en centre à un an. Concernant les coûts pris en compte, les deux études (2003 et 2006) s'appuyaient sur celle de McFarlane *et al.* 2002, présentée dans les études de coût. Pour rappel, la perspective retenue était celle des fournisseurs de soins (cf. Étude de McFarlane *et al.* 2002) (100).

Dans l'étude publiée en 2006, les résultats de l'étude de 2003 étaient généralisés sur la durée de vie à partir d'un modèle de Markov. Dans ce modèle, les stratégies hémodialyse en centre *versus* hémodialyse à domicile nocturne étaient comparées dans les contextes suivants :

- choix de la première modalité de traitement, et sans prise en compte de la transplantation ;
- choix de la première modalité de traitement, en prenant en compte la transplantation ;
- orientation ou non vers une deuxième modalité de traitement après un démarrage en hémodialyse en centre, sans prendre en compte la transplantation ;
- s'orienter ou non vers une deuxième modalité de traitement après un démarrage en hémodialyse en centre en prenant en compte la transplantation.

Selon les conclusions de l'étude, l'hémodialyse à domicile nocturne était préférable dans tous les scénarios.

#### *Étude de Whiting et al., 2004 (136)*

Cette étude coût-utilité comparait la dialyse et la transplantation en s'appuyant sur un modèle de Markov. La perspective adoptée était celle du financeur de soins. Les coûts mentionnés dans l'étude étaient les coûts d'accès et de maintien en dialyse, les coûts de prélèvement de rein, de transplantation et de suivi de transplantation ainsi que les coûts liés à la perte d'un greffon.

Les résultats montraient que la transplantation était une stratégie efficiente, c'est-à-dire à la fois plus efficace et moins coûteuse que la dialyse. L'étude concluait en faveur de l'implémentation de programmes visant à augmenter le nombre de prélèvements d'organes.

### ► **Autres pays**

#### *Grèce : étude de Kontodimopoulos et Niakas, 2008 (137)*

L'étude coût-utilité comparait trois techniques de traitement de l'IRCT : hémodialyse, dialyse péritonéale et transplantation. L'estimation des QALYs a été réalisée à partir d'un questionnaire SF36 en utilisant l'index d'utilité SFD6. Concernant les coûts, la perspective adoptée était celle du système de santé public. Les coûts pris en compte étaient les coûts d'équipement, d'infrastructure, de pharmacie, de personnel et les frais généraux pour l'hémodialyse et la dialyse péritonéale ainsi que les coûts précédant la transplantation (acte et de suivi).

L'étude montrait que la transplantation procurait plus de QALY que les deux techniques pour un coût plus faible que l'hémodialyse dès la première année, et pour un coût légèrement plus élevé que la dialyse péritonéale. Le coût de la transplantation diminuait nettement les années suivantes. Les conclusions de l'étude étaient en faveur du développement de la transplantation. Les données de coûts de cette étude ont d'ailleurs été utilisées pour alimenter un modèle réalisé en 2012 par Rodina-Theocharaki *et al.* (138). Ce dernier concluait qu'augmenter de 1 % par an le nombre de transplantations permettrait de réaliser des économies substantielles en Grèce sur la période 2009-2020.

*Finlande : étude de Salonen et al., 2007 (139)*

Cette étude coût-efficacité comparait l'hémodialyse en centre et la DPCA. Le critère d'efficacité retenu était celui de la durée de vie, et les données ont été obtenues à partir d'une analyse rétrospective sur 3 ans dans un hôpital universitaire finlandais. La perspective adoptée pour la valorisation des coûts était celle du fournisseur de soins (cf. Étude de Salonen *et al.* 2003) (98).

L'étude comparait les deux techniques au regard :

- de l'intention de traitement (S1) ; dans ce scénario, les changements de technique étaient ignorés, seul le choix de la première technique était pris en considération ;
- des décès (S2) ; dans ce scénario, les complications liées à la technique étaient assimilées à un décès ;
- du temps passé en dialyse quelle que soit la technique considérée (S3) ;
- du temps passé dans la première technique sélectionnée (S4) ; dans ce scénario, les patients étaient observés jusqu'à ce qu'ils changent de technique quelle qu'en soit la raison.

En termes de coût par année de vie gagnée, la DPCA dominait – c'est-à-dire était moins coûteuse et plus efficace – l'hémodialyse dans tous les scénarios à l'exception de celui où les complications étaient assimilées au décès.

*Suède : étude de Sennfält et al., 2002 (140)*

Cette étude comparait le coût par année de vie gagnée ainsi que le coût/QALY de l'hémodialyse par rapport la dialyse péritonéale. L'horizon temporel était de 5 ans. La perspective sociétale a été retenue. Les coûts mentionnés comme pris en compte étaient les frais généraux, les coûts de dialyse, de pharmacie, de transport, de consommable, de personnel et de radiologie ainsi que le temps des aidants et des patients. Les paramètres et les deux critères de résultats reposaient sur l'observation rétrospective d'une cohorte de patients ajustés en fonction de leurs caractéristiques (âge, comorbidités, etc.).

Le coût par année de vie gagnée et le coût par QALY étaient plus élevés en hémodialyse qu'en dialyse péritonéale. Selon la conclusion de l'étude, la dialyse péritonéale devrait être privilégiée en tant que première modalité de traitement pour les patients, sans contre-indication à l'une de ces deux techniques.

*Autriche : étude de Haller et al., 2011 (141)*

Cette étude coût-utilité comparait différentes répartition de patients parmi les trois techniques de traitement : transplantation, hémodialyse et dialyse péritonéale. La perspective adoptée était celle du financeur de soins. Les coûts pris en compte étaient notamment les coûts liés aux séances de dialyse, les coûts de transport, de pharmacie, d'hospitalisation pour autres événements, les coûts liés au prélèvement de rein, etc.

Les résultats montraient qu'augmenter la proportion des patients transplantés et traités par dialyse péritonéale permettait de générer des économies et des années de vie ajustées sur la qualité de vie. Les conclusions étaient en faveur du développement de la transplantation et de la dialyse péritonéale.

*Australie : étude de Wong et al., 2012 (142)*

Cette étude coût-efficacité comparait deux stratégies en termes de coût par année de vie : inscrire ou ne pas inscrire des patients hémodialysés en liste d'attente pour une transplantation. La perspective adoptée était celle des financeurs de soins, sans que le type de financeur ne soit précisé. En outre, les coûts pris en compte n'étaient pas détaillés dans l'étude. Les résultats montraient que l'inscription en liste était une stratégie efficiente pour les personnes jeunes sans comorbidité. Pour les autres, le ratio coût-efficacité variait. Les conclusions indiquaient que transplanter les personnes jeunes et ayant un bon état de santé permettait de maximiser le gain d'années de vie gagnées et avait un moindre coût. La transplantation était cependant coût-

efficace, et représentait un gain substantiel en termes d'années de vie gagnées pour l'ensemble de la cohorte de patients en IRCT.

#### *Japon : étude de Shimizu et al. 2012 (143)*

Cette étude coût-utilité comparait différentes répartitions de patients par rapport à la répartition actuelles des patients entre les différentes techniques de traitement. La perspective et les coûts pris en compte n'étaient pas explicités. Le modèle proposé a pris en considération qu'un patient pouvait être traité par plusieurs techniques de traitements au cours du temps. La stratégie de référence correspondait à la répartition des patients actuelle au Japon et à leur trajectoire sur 15 ans. Les quatre alternatives augmentaient respectivement la probabilité de commencer par la dialyse péritonéale (\*2.3), la probabilité d'accès à une greffe préemptive à partir d'un don de vivant (\*2.4), la probabilité d'accès à la transplantation à partir de donneur vivant après un passage en dialyse (\*2.4), la probabilité d'avoir accès à une transplantation à partir de donneur décédé (\*22).

Les résultats montraient que les trois alternatives qui augmentaient l'accès à la transplantation étaient efficaces (moins coûteuses et plus efficaces). Les conclusions étaient en faveur du développement de la transplantation.

#### *États-Unis : étude de Snyder et al. 2013 (144)*

Cette étude coût-utilité comparait deux types de liste d'attente pour une transplantation : l'une donnant accès exclusivement à des greffons prélevés sur donneurs décédés par mort encéphalique, et l'autre donnant accès à la fois à des greffons prélevés sur donneurs décédés par mort encéphalique et également à des donneurs décédés par arrêt cardiaque répondant à la classe III de la classification de Maastricht<sup>34</sup>. Les greffons prélevés sur donneur décédé par arrêt cardiaque étaient considérés comme associés à des taux de complications de court terme plus importants. L'horizon temporel était de 10 ans. La perspective adoptée était sociétale. Les coûts pris en compte concernaient principalement : le personnel médical, les hospitalisations, la pharmacie, l'hémodialyse ainsi que les pertes de salaires. Les paramètres du modèle, les coûts et les résultats ont été estimés à partir d'une revue systématique de la littérature et de données institutionnelles.

Les résultats suggéraient 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 était une stratégie coût-efficace dans une perspective sociétale.

#### *Mexique : étude de Cortés-Sanabria et al. 2013 (145)*

Cette étude comparait les coûts et la qualité de vie associés à la DPCA et à la DPA. La perspective adoptée était celle du financeur de soins. Les coûts retenus étaient principalement les coûts associés aux visites médicales programmées et en urgence, les hospitalisations, la chirurgie, les coûts de laboratoire et ceux liés aux techniques de dialyses. Ces coûts ont été estimés à partir de données institutionnelles. La qualité de vie était estimée à partir d'auto-questionnaire EQ5D et KDQOL-SF remplis dans le cadre d'une étude observationnelle prospective.

Les résultats montraient des coûts similaires pour la DPA et la DPCA. En revanche, la DPA présentait un avantage sur la DPCA en termes de qualité de vie.

### **3.3.4 Synthèse des résultats des études**

Aucune des études identifiées n'a comparé simultanément l'ensemble des techniques de traitement et des modalités de prise en charge disponibles. Par ailleurs, certaines alternatives n'ont pas été prises en compte dans les comparateurs proposés :

---

<sup>34</sup> La classe III de la classification de Maastricht correspond aux personnes hospitalisées pour lesquelles une décision d'arrêt des traitements est prise en raison de leur pronostic.

- « ne rien faire »<sup>35</sup> (c'est-à-dire « absence de traitement de suppléance ») ;
- les modalités de DP en fonction du recours ou non à de l'assistance paramédicale.

Les résultats des études identifiées sont synthétisés dans les tableaux suivants en fonction du type d'étude et de deux niveaux de comparaison (techniques de traitement et modalités de prise en charge).

### ► Synthèse du point de vue des techniques

La transplantation était souvent présentée implicitement comme la technique à la fois la moins coûteuse et la plus efficace dans les études qui ne la prenaient pas en compte dans les stratégies évaluées. Les études, proposant une évaluation économique de la transplantation *versus* la dialyse, confirmaient que la transplantation était une stratégie efficiente (136, 137, 141-144).

Au regard des deux techniques d'épuration extra-rénale, en majorité, les résultats des études étaient en faveur de la dialyse péritonéale (trois des quatre études de coût-résultat). L'étude japonaise portant sur des trajectoires de patients montraient cependant qu'une augmentation de la DP comme première technique de traitement (\*2.3) était une stratégie plus coûteuse et plus efficace que la stratégie actuelle (143).

**Tableau 11. Synthèses des résultats des ACE comparant les techniques**

Auteurs, année, pays	Hémodialyse	Dialyse péritonéale	Transplantation	Critère	Perspective	Tendances observées
Kirby et Vale 2001 (133)	x	x		Durée de vie	Financier de soins ?	En faveur de HD
Salonen <i>et al</i> 2007 (139)	x	x		Durée de vie	Fournisseur de soins	En faveur de DPCA
Sennfält <i>et al.</i> 2002 (140)	x	x		Durée de vie	Sociétale	En faveur de DP
Whiting <i>et al.</i> 2003 (136)	x		x	QALY	Financier de soins	En faveur d'une augmentation de la transplantation
Wong <i>et al.</i> 2012 (142)	x		x	Durée de vie	Financier de soins (à l'exception des fournisseurs et des patients)	En faveur de la Tx tous les patients

<sup>35</sup> La question de l'efficacité des traitements par rapport à ne rien faire a été abordée dans la littérature clinique pour certains groupes de patients (146-148). Il est à noter que « ne rien faire » ne signifie pas absence totale de soin, mais absence de mise en œuvre du traitement de suppléance.

**Tableau 12. Synthèses des résultats des ACU comparant les techniques**

Auteurs, année, pays	HD	DP	Tx	Critère	Perspective	Tendances observées
Kontodimopoulos et Niakas 2008 (137)	x	x	x	QALY	Financier public	Tx = stratégie efficiente après 1 an  Conclusion en faveur de la DP par rapport à HD
Sennfält <i>et al.</i> 2002 (140)	x	x		QALY	Sociétale	Conclusion en faveur de la DP
Haller <i>et al.</i> 2011 (141)	x	x	x	QALY	Système de santé publique	Conclusion en faveur de la Tx et DP par rapport à HD
Shimizu <i>et al.</i> 2012 (143)	x	x	x	QALY	Non précisé	Conclusion en faveur d'une augmentation de l'accès à la transplantation

### ► Les modalités

Concernant la transplantation rénale, aucune étude mettant en regard les coûts et les résultats n'avait pour objectif de comparer spécifiquement les transplantations avec donneur décédé et celles avec donneur vivant. Une étude a toutefois distingué les coûts associés aux transplantations à partir de donneurs vivants de ceux à partir de donneurs décédés : l'étude de Kontodimopoulos et Niakas 2008 (137). Les données montraient que les coûts étaient très proches, mais légèrement en faveur de la transplantation à partir d'un greffon issu d'un donneur décédé. L'étude Shimizu *et al.* 2012 (143) concluait que la stratégie la plus coût-efficace correspondait à une augmentation de la transplantation à partir de donneurs vivants (143). Par ailleurs, une étude a évalué l'impact d'une augmentation du *pool* de donneurs, en comparant une liste donnant accès seulement aux donneurs en états de mort encéphalique et une autre intégrant également des donneurs décédés après un arrêt cardiaque. Cette étude concluait qu'augmenter le *pool* de donneurs était une stratégie coût-efficace (144).

Concernant les modalités d'hémodialyse (Tableau 13), 5 études comparaient au moins 2 modalités d'hémodialyse. Au regard du lieu de prise en charge, les conclusions s'accordaient sur le fait que l'hémodialyse à domicile et dans les unités satellites de dialyse étaient des stratégies efficaces par rapport à une prise en charge en centre. Les conclusions étaient plus controversées concernant la comparaison entre une prise en charge en unité satellite et une prise en charge à domicile. Des compléments d'analyse restaient nécessaires. Les études qui prenaient en compte l'impact d'une modification de la fréquence d'hémodialyse concluait en faveur d'une augmentation de la fréquence d'hémodialyse. Aucune étude française ne permettait de comparer les modalités de prise en charge en hémodialyse proposées en France.

**Tableau 13. Coût-utilité et hémodialyse**

Tableau 22. Coût-utilité et hémodialyse												
Auteurs, année, pays	HDC			SHD/UDM			HDD			Critère	Perspective	Tendances observées
	C V	Q	N	C V	Q	N	C V	N	Q			
Kroeker 2003 (134)	x							x	x	QALY	Financeur de soins	En faveur d'HDDN
McFarlane <i>et al.</i> (135), McFarlane <i>et al.</i> (119)	x							x		QALY	Financeur de soins	HDDN = stratégie dominante
Mowatt <i>et al.</i> 2003 (120)	x			x	x		x			QALY	Financeur de soins public	HDD et SHD= stratégie dominante par rapport à HDC Ccl en faveur de HDDQ SHD moins coûteux et moins efficace que HDD
Gonzalez-Perez et Vale 2005 (129)	x			x			x			QALY	Financeur de soins ?	HDD et SHD = par rapport à HDC SHD moins coûteux et moins efficace que HDD

Concernant les différentes possibilités de dialyse péritonéale, une étude comparait la DPCA à la DPA. Elle concluait que la DPA présentait un avantage en termes de qualité de vie pour le patient, sans être plus coûteuse que la DPCA (145). Cependant, les stratégies comparées étaient trop peu détaillées pour permettre de savoir si les techniques décrites correspondaient à ce qui est proposé en France. Par ailleurs, aucune étude comparant simultanément toutes les modalités de dialyse péritonéale n'a pu être identifiée.

### 3.3.5 Analyse critique des études de coût-résultat

#### ► Qualité méthodologique et transposabilité

Les limites liées à la qualité méthodologique et à la transposabilité des résultats identifiées dans le cas des études de coût s'appliquent également aux études coût-résultats ; et ce d'autant plus qu'au moment de la réalisation de cette revue, aucune étude française répondant aux critères de sélection n'a pu être identifiée.

Ces limites, décrites dans le cadre des études de coûts, ont été récapitulées dans le Tableau 14.

Dans le présent paragraphe, l'attention se portera principalement sur l'analyse de la qualité méthodologique de l'évaluation des résultats de santé – aspects spécifiques aux études de type coût-résultat.

Tableau 14. Principales limites (non spécifiques aux études de coût-résultat)

Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Horizon temporel Perspective	Choix des comparateurs	Estimation des coûts et des conséquences	Test de la robustesse des résultats
Kroeker 2003 (134)	Biais d'incitation non exclus Taille de la population  10 à 22 patients par techniques ; Patients sélectionnés dans un seul établissement et cohorte non ajustée	18 mois	Lieu et fréquence différents simultanément	Données observationnelles ; Qualité de vie mesurée à partir d'un échantillon de patient de petite taille	Aucune analyse de sensibilité
McFarlane <i>et al.</i> , 2003 (119)	Biais d'indication non exclus  19 à 24 patients par technique ; sélectionnés dans un seul établissement	1 an	Lieu et fréquence différents simultanément	Qualité de vie mesurée à partir d'un échantillon de patients Analyse critique des données de coûts cf. McFarlane <i>et al.</i> 2002 (100)	
McFarlane <i>et al.</i> , 2006 (135)	Biais d'indication non exclus	Durée de vie	Lieu et fréquence différents simultanément	Données 2002 et 2003 extrapolées  non prise en compte de l'impact du temps passé dans une technique	Analyses de sensibilité pas sur l'ensemble des paramètres incertains
Whiting <i>et al.</i> 2004 (136)	Biais d'indication caractérisé 31,5 millions de patients ; Canada ?, littérature ?	20 ans	Comparateurs non suffisamment décrits	Données pas suffisamment détaillées	Analyses de sensibilité en scénarios – pas sur l'ensemble des paramètres incertains



Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Horizon temporel Perspective	Choix des comparateurs	Estimation des coûts et des conséquences	Test de la robustesse des résultats
Mowatt et al. 2003 (120)		5 ans 10 ans Durée des cycles non précisée	Lieu et fréquence différents simultanément	Données d'efficacité non robustes ; coûts pris en considération incomplets	Pas d'analyses de sensibilité sur l'ensemble des paramètres incertains
Gonzalez-Perez et Vale 2005 (129)		5 ans 10 ans Durée des cycles non précisé  Perspective non explicitée	Lieu et fréquence différents simultanément	Données d'efficacité non robustes ; coûts incomplets	Pas d'analyses de sensibilité sur l'ensemble des paramètres incertains
Kirby et Vale 2001 (133)		Perspective non précisée  Horizon non précisé	Manque de précision sur les modalités de HD retenues et la proportion de patients dans chacune d'elles	Données utilisées non suffisamment détaillées et manque de robustesse	16 scénarios, pas d'analyse de sensibilité ; ni de définition du scénario de référence
Kontodimopoulos et Niakas 2008 (137)	cohorte non ajustée DP moins de 100 patients  Caractéristiques des patients par traitement non suffisamment détaillées		Manque de précision sur les modalités de HD et DP retenues et la proportion de patients dans chacune d'elles	Données de coûts non généralisables ; Données d'efficacité observées, biais d'indication non exclus (cf. Transplantation). Utilité mesurée à partir d'un SF36 transformé par SD6 – non validé en France  Non prise en compte de l'impact du temps	Aucune analyse de sensibilité sur les paramètres incertains – seulement sur le taux d'actualisation

Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Horizon temporel Perspective	Choix des comparateurs	Estimation des coûts et des conséquences	Test de la robustesse des résultats
				passé dans une technique	
Salonen <i>et al.</i> 2007 (139)	Observations 68 paires de patients incidents ajustés selon leur caractéristiques; sélectionnés dans un établissement	3 ans		Données observationnelles – manque de robustesse	Analyses de sensibilité seulement sur les coûts (cf. Salonen <i>et al.</i> 2003) (98).
Sennfalt <i>et al.</i> 2002 (140)	Observations 68 paires de patients incidents appareillés	5 ans Cycle long : 6 mois	Manque de précision sur les modalités de HD et DP retenues et la proportion de patients dans chacune d'elles	Données d'efficacité observées Présentation des données non suffisamment détaillée	Analyses de sensibilité pas sur l'ensemble des paramètres incertains
Haller <i>et al.</i> , 2011 (141)		10 ans	Manque de précision sur les modalités de HD et DP retenues et la proportion de patients dans chacune d'elles	Scores d'utilité utilisés non représentatifs de la technique dans sa globalité, mais d'une modalité de prise en charge Coûts incomplets Biais d'indication possibles non pris en compte dans les scénarios	
Wong <i>et al.</i> , 2012 (142)	Caractéristiques de la cohorte non suffisamment décrites		Manque de clarté sur les stratégies comparées : être placé en liste n'implique pas l'accès à la Tx	Données d'efficacité fondées sur les observations actuelles – hors des biais d'indication	

Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Horizon temporel Perspective	Choix des comparateurs	Estimation des coûts et des conséquences	Test de la robustesse des résultats
			Absence de prise en compte de l'impact d'une augmentation de la liste d'attente sur le temps d'attente		
Shimizu <i>et al.</i> , 2012 (143)	Caractéristiques de la cohorte non suffisamment décrites pour évaluer la transposabilité au contexte français	15 ans  Perspective non décrite	Manque d'informations sur les stratégies comparées Pas de prise en compte des différentes modalités de traitement DP et HD	Données non suffisamment décrites et comportant des biais	Analyses de sensibilités incomplètes
Snyder <i>et al.</i> , 2013 (144)	Modèle fondé sur un receveur et un donneur hypothétique  Non prise en compte de l'hétérogénéité des caractéristiques des patients et des donneurs d'organes	10 ans		Sources non suffisamment décrites. Manque d'explications sur les méthodes de recueil de coûts et de QALY	
Cortés-Sanabria <i>et al.</i> , 2013 (145)	Des biais d'ajustement d'indication dans les techniques comparées	Suivi de 1 an	Stratégie comparée non suffisamment décrite	Pas de mise en perspective des coûts et des résultats	Aucun test
<b>Remarques globales</b>	<b>Ajustement et représentativité de la population d'étude</b>  Biais de sélection et échantillon de taille réduite  Population incidente	Horizon temporel différent de la vie entière  Perspective pas toujours décrite et rarement	Manque de précision sur les comparateurs  Traitements comparés non parfaitement	Manque de robustesse des données : - données d'efficacité : biais d'indication ; extrapolations	Analyses de sensibilités le plus souvent partielles

Auteurs, année, pays	Biais de sélection	Horizon temporel Perspective	Choix des comparateurs	Estimation des coûts et des conséquences	Test de la robustesse des résultats
		collective (tous financeurs)	substituables  Aucune étude ne prend en compte tous les comparateurs pertinents	non décrites ; - QALY : méthodes hétérogènes et états de santé non valorisés en population générale ; - données de coûts (cf. Analyse critique Tableau 9) Manque de précision sur la méthode	

Le critère d'efficacité le plus souvent retenu était le QALY (10 études). Ce choix est pertinent dans la mesure où cette pathologie chronique a un impact non seulement sur la durée de vie, mais également sur la qualité de vie. Les différentes études de coût-utilité ne s'appuyaient pas toutes sur la même méthode pour évaluer les scores de préférence (cf. Tableau 2 Annexe 1), ce qui peut en partie expliquer les différences observées dans les résultats. Cette remarque s'inscrit dans une limite méthodologique générale relative à l'utilisation de méthodes différentes pour estimer les résultats des stratégies comparées.

Une attention particulière doit être accordée à l'étude de Mowatt *et al.* publiée en 2003 (120). Cette étude a été réalisée à la suite d'une revue de la littérature systématique. Elle est jugée de bonne qualité méthodologique. Les auteurs soulignaient cependant l'absence de données probantes d'efficacité. De façon plus générale, la difficulté d'évaluer les conséquences des différents traitements était soulignée dans de nombreuses études. Le manque de données permettant de connaître l'impact des différents traitements de suppléance en termes de morbi-mortalité est certainement la limite la plus importante des études de coût-résultat.

### ► Discussion sur la mesure des résultats de santé

#### *Mesure de l'efficacité : mortalité et morbidité*

La littérature clinique permet de donner des éclairages sur la fiabilité des résultats des études économiques. À ce titre, les conclusions de revues de la littérature et de recommandations ont été présentées.

Concernant les revues de la littérature, la Cochrane a réalisé une revue systématique de la littérature publiée en 2003 (149), réactualisée en 2009. L'objectif de cette revue était d'identifier l'ensemble des essais randomisés contrôlés et des essais quasi-randomisés permettant de comparer la DPCA (la modalité de dialyse péritonéale la plus courante) à l'hémodialyse en centre ou à domicile. La Cochrane n'a recensé qu'une seule étude correspondant à ces critères de sélection sur les 12 000 abstracts identifiés par la recherche documentaire (150). Cette étude s'appuyait sur une cohorte de patients incidents en IRCT constituée à partir de 38 centres de dialyse aux Pays-Bas. Sur les 1 232 patients qui ont eu recours à un traitement par épuration rénale entre 1997 et 2000, 459 avaient une contre-indication à l'une des deux techniques et ont donc été exclus ; 735 ont refusé de participer à l'étude parce qu'ils avaient une préférence pour l'une des deux techniques (52 % HD et 48 % DP) et l'essai n'a donc permis d'inclure que 38 patients : 20 ont été traités par dialyse péritonéale et 18 par hémodialyse. L'essai concluait que même si le pouvoir explicatif était faible, il montrait les bénéfices de la dialyse péritonéale en tant que premier traitement de suppléance. Les auteurs de la Cochrane soulignaient que des biais d'analyses pouvaient expliquer ces résultats. Selon eux, les données étaient insuffisantes pour permettre de conclure sur l'efficacité relative de la DPCA et de l'hémodialyse.

La revue réalisée par le KCE soulevait également des doutes quant au processus de randomisation au vu de la répartition des patients par âge dans les deux types de techniques (la répartition des patients en fonction de leurs principales caractéristiques était quasiment symétrique). Dans sa revue de la littérature, le KCE, de façon plus large, insistait sur les nombreux biais méthodologiques, notamment liés au design des études, et les biais de sélection.

La troisième revue de la littérature identifiée (151) portait sur les modalités de dialyse péritonéale. Elle a relevé trois essais randomisés contrôlés qui concernaient au total 139 patients. Elle concluait qu'il n'y avait pas de différence discriminante du point de vue clinique entre les deux techniques de dialyse péritonéale. La DPCA pouvait cependant représenter des avantages en facilitant l'employabilité et la poursuite des études. La poursuite d'essais contrôlés randomisés était toutefois recommandée pour confirmer ces résultats.

Au total, concernant les deux techniques d'épuration extra-rénale, dialyse péritonéale et hémodialyse, les données disponibles n'ont pas permis de mettre en évidence de différence significative. L'absence d'études de qualité méthodologique élevée ne permet pas cependant

d'exclure la possibilité d'une différence entre ces techniques. L'identification d'un seul essai randomisé contrôlé et le faible nombre de patients enrôlés dans le suivi permettaient d'illustrer la difficulté majeure d'entreprendre ce type d'étude<sup>36</sup>. Concernant la comparaison entre les modalités de prise en charge, les résultats des études étaient peu probants.

Concernant les recommandations, en France, la HAS a souligné que l'évaluation des indications de la dialyse péritonéale par rapport à l'hémodialyse se heurtait à une difficulté majeure tenant à la qualité de la littérature analysée (56). Les conclusions de la revue de la littérature qu'elle a conduite montraient :

- qu'il n'y a pas d'argument démontrant que la survie des patients qui commencent un traitement de suppléance par la dialyse péritonéale soit inférieure à celle des patients traités d'emblée par hémodialyse, ceci pendant les 2 premières années de traitement ;
- qu'il y a des arguments, sans preuve formelle, pour affirmer que la survie des patients qui commencent par la dialyse péritonéale est supérieure à celle des patients traités d'emblée par hémodialyse, ceci au moins pendant les 2 premières années de traitement, à l'exception des patients diabétiques âgés (> 55 à 65 ans selon les études) ;
- qu'il y a des arguments, sans preuve formelle, pour affirmer qu'après 2 ans de traitement, la survie des patients traités par dialyse péritonéale n'est pas supérieure à celle des patients traités par hémodialyse, et pourrait être inférieure.

Au regard des conclusions issues du consensus formalisé, il existait un accord plus fort autour des questions qui ont trait aux transferts entre les techniques de dialyse et à la transplantation, qu'au choix du traitement initial. Concernant le choix de traitement initial, il a été recommandé que plusieurs facteurs soient pris en considération : la fonction résiduelle rénale, l'indice de masse corporelle, les facteurs psychologiques qui peuvent influencer la capacité du patient à adhérer au traitement, la cause initiale de la maladie et les comorbidités. Cependant, peu de contre-indications à la dialyse péritonéale font l'objet d'un accord fort.

Au Royaume-Uni, les recommandations du NICE en 2011 (117) visaient à favoriser l'utilisation de la dialyse péritonéale. Cette technique devait être encouragée pour les enfants, les patients adultes ayant une fonction rénale résiduelle et ceux ne présentant pas de comorbidités associées. Ces recommandations se fondaient sur les constats suivants :

- il existe très peu de contre-indications formelles à l'une ou à l'autre des techniques de dialyse ;
- il y a peu de littérature de niveau de preuve élevé sur la comparaison en termes d'efficacité des différentes techniques et/ou modalité de traitement ;
- la DP est moins coûteuse que l'hémodialyse ;
- au regard des résultats d'un questionnaire cherchant à révéler les préférences des patients, 50 % d'entre eux auraient une préférence pour la dialyse péritonéale.

Par ailleurs, le NICE a mesuré l'impact économique de la mise en application de ces recommandations cliniques. La perspective était celle du NHS et l'horizon temporel était de 5 ans. Les données de coûts correspondaient aux tarifs mis en place pour l'année 2011/2012. Passer de 15 % à 39 % de patients en dialyse péritonéale générerait 37 millions de livres d'économies. Les analyses de sensibilité mettaient en évidence l'impact important du choix des patients à l'initiation du traitement et le fait de rester le plus longtemps possible en dialyse péritonéale à long terme. Enfin, le NICE concluait dans ses recommandations qu'il n'existait pas dans la littérature de preuve suffisante pour établir une différence discriminante entre la DPA et la DPCA (117).

En Australie, CARI (*Caring for Australians with Renal Impairment*) soulignait qu'aucune recommandation, fondée sur un niveau de preuve de niveau I ou II, ne pouvait être établie concernant l'orientation des patients vers une technique de dialyse lors de l'initiation du traitement.

---

<sup>36</sup> Cooper *et al.* 2004 (152) présentaient les fondements méthodologique d'une étude multicentre qui devait être conduite en Australie et en Nouvelle-Zélande. Cette étude devrait permettre d'avoir les résultats d'un essai contrôlé randomisé incluant jusqu'à 800 patients suivis sur trois ans. L'objectif était toutefois, non pas de comparer les techniques, mais de déterminer le moment opportun pour entamer la dialyse.

Les principaux déterminants du traitement initial devaient inclure les préférences pleinement informées des patients, l'absence de contre-indications médicales ou chirurgicales et la disponibilité des ressources. Les contre-indications identifiées comme relatives ou absolues étaient peu nombreuses, et elles étaient fondées sur un niveau de preuve IV. Quand le choix de la technique n'était pas contraint, alors la DPCA était considérée comme préférable à l'hémodialyse : meilleure préservation de la fonction résiduelle rénale et de graduation l'introduction de la dialyse (preuve de niveau III).

Au total, l'absence d'étude clinique de bonne qualité méthodologique et de résultats fiables concernant la comparaison des techniques et/ou des modalités de prise en charge de l'IRCT pèse nécessairement sur l'évaluation économique de ces dernières.

#### - *Mesure de l'utilité : QALY*

Différentes méthodes peuvent être mises en œuvre pour obtenir le score de préférence correspondant au QALY associé à chacun des états de santé pris en compte individuellement. Selon la méthode utilisée, le score obtenu ne sera pas le même. Dans la revue de la littérature, les méthodes mentionnées sont les échelles visuelles analogues (EVA), le *time trade-off* (TTO), le Standard Gamble (SG), l'EuroQol 5D (EQ-5D), le HUI et le SF36. L'EQ-5D, le HUI et le SF36 sont des instruments génériques utilisés pour décrire les états de santé. Lorsque les états de santé sont décrits par l'EQ-5D ou le HUI, un score de préférence peut ensuite leur être associé pour les valoriser. Le TTO, le SG et l'EVA sont des méthodes dites de révélation directe des préférences. Seules les méthodes s'appuyant sur l'EQ-5D, l'HUI3, le TTO ou le SG sont reconnues en France pour estimer les QALY<sup>37</sup>. Il est à noter que les deux dernières sont très complexes à mettre en œuvre.

En France, à l'initiative de l'Institut de veille sanitaire, deux enquêtes ont été proposées : l'une portant sur la qualité de vie des patients dialysés et l'autre portant sur la qualité de vie des patients transplantés d'un rein (153, 154). La seconde enquête a été réalisée en 2007 (154). Son objectif principal était de décrire la qualité de vie des patients transplantés. L'un des objectifs secondaire était de comparer les résultats du volet transplantation à ceux du volet dialyse. Cette étude transversale a été réalisée auprès d'un groupe représentatif de patients prévalents porteurs d'un greffon fonctionnel depuis au moins un an, suivis dans les centres de transplantations des huit régions participantes au registre REIN en 2007. Le recueil des données a été réalisé sur la base de deux questionnaires de qualité de vie : un générique, le SF-36 et un spécifique aux patients transplantés, le ReTransQol. Le niveau de qualité de vie des patients transplantés est plus bas que celui de la population générale et ce dans toutes les dimensions ; ce score était toutefois supérieur à celui des patients dialysés.

Dans la littérature étrangère, deux méta-analyses ont été identifiées :

- Une méta-analyse publiée en 2007 (155) comparait la qualité de vie parmi les patients des trois techniques de traitement – l'hémodialyse, la dialyse péritonéale et la transplantation – en utilisant le questionnaire SF36. Cinquante-deux études ont été identifiées lesquelles incluaient 44 groupes de patients en hémodialyse (30 372 patients) ; 20 groupes de patients en dialyse péritonéale (3 262 patients) et 28 groupes de patients transplantés (2 948 patients). Les scores du SF36 étaient significativement plus faibles pour les patients dialysés que pour les patients transplantés, excepté pour les dimensions associées à la « santé mentale » pour lesquelles les scores des patients en dialyse péritonéale n'étaient pas différents de ceux des patients transplantés. L'ajustement des patients en fonction de leurs caractéristiques réduisait l'écart entre la dialyse et la transplantation. Aucune différence n'a été mise en évidence entre les scores associés à l'hémodialyse et ceux associés à la dialyse péritonéale.
- Une méta-analyse, publiée en 2008 (156), a intégré 27 études reportant des valeurs obtenues à partir d'échelle visuelle analogue, de *time trade-off* (TTO), de Standard Gamble (SG), à partir d'EuroQol 5D (EQ-5D) ou d'HUI. La plupart des scores de préférence étaient obtenus à partir

---

<sup>37</sup> Choix méthodologiques pour l'évaluation économique, octobre 2011 (4).

du questionnaire EQ-5D et d'un TTO. Les valeurs obtenues avec TTO étaient 0,61 pour l'hémodialyse (95 %CI 0,54-0,68), 0,73 pour la dialyse péritonéale (95 %CI 0,61-0,85) et 0,78 pour la transplantation (95 %CI 0,63-0,93). Les études utilisant le questionnaire EQ-5D ont mis en évidence des scores de préférence de 0,56 pour l'hémodialyse (95 % CI 0,49-0,62), de 0,58 pour la dialyse péritonéale (95 % CI 0,50-0,67) et de 0,81 pour la transplantation (95 % CI 0,72-0,90). Il n'y avait pas de différence statistiquement significative entre les scores associés à l'HD et à la DP. L'absence de différence significative entre les techniques de traitement d'hémodialyse et de dialyse péritonéale pourrait cependant masquer des différences entre les modalités de prise en charge qui n'étaient pas distinguées.

- Wyld *et al.* en 2011 (157) concluaient que la transplantation était associée à une utilité de 0,82 (95 % CI : 0,74-0,90). À ce score il fallait retirer 0,11 lorsque les patients étaient traités par dialyse (95 % CI : -0,15-0,08). Concernant la comparaison des deux techniques d'épuration extra-rénale, le score associé à la dialyse péritonéale était plus élevé que celui de l'hémodialyse, respectivement 0,69 (95 % CI : 0,59 ; 0,80) et 0,72 (95 % CI : 0,62 ; 0,85). Cependant, cette différence n'était pas statistiquement significative ( $p = 0,08$ ). Concernant la dialyse péritonéale, la DPA avait un score significativement plus élevé que la DPCA, respectivement, 0,80 (CI 95 % : 0,69 ; 0,91) et 0,72 (95 % CI : 0,60, 0,85). Les patients diabétiques avaient une décroissance d'utilité de 0,10. Les auteurs soulignaient que les scores d'utilité variaient en fonction de l'outil de mesure utilisé. Ils étaient les plus élevés avec le Standard Gamble et les moins élevés avec la fonction de transformation SF-6D appliquée au SF36. Ils mentionnaient également les limites de cette analyse qui se fondait sur des études non randomisées. Ils soulignaient également qu'il n'existait pas de données longitudinales, et que les scores en EQ-5D étaient calculés à partir de données d'enquête SF36 et SF12 sans qu'il soit certain que les algorithmes utilisés reflètent des scores obtenus directement avec l'EQ-5D.

Concernant l'origine des scores utilisés dans les évaluations économiques coût-utilité prise en compte dans la revue de la littérature, les deux études suivantes étaient souvent citées :

1) Laupacis *et al.* (1996) (158) ont évalué les scores d'utilité à partir du TTO. Les résultats étaient les suivants : avant la transplantation le score de préférence est de 0,57, et il était de 0,70 deux ans après la transplantation. La transplantation permettait une augmentation de 23 % du score d'utilité. L'analyse coût-utilité de Whiting *et al.* 2004 (136) s'est fondée sur ces scores de préférence.

2) L'étude de De Wit *et al.* (1998) (159) portait sur les différentes modalités d'hémodialyse et de dialyse péritonéale. Cette étude a distingué quatre modalités de prise en charge (HDC ; HD hors centre ; DPCA et DPCC<sup>38</sup>). Les résultats différaient en fonction de la perspective adoptée et de la méthode d'évaluation retenue. Selon la perspective des patients, aucune méthode n'a mis en évidence de différence significative entre les différentes modalités de prise en charge. Selon la perspective de la population générale, les scores de préférence associés à la l'hémodialyse hors centre et à la DPCC étaient significativement plus élevés que ceux associés à l'hémodialyse en centre et à la DPCA.

De Wit *et al.* (159) ont retenu les scores de préférence obtenus en population générale dans leur analyse de référence. Par ailleurs, à partir du différentiel de 23 % identifié par Laupacis *et al.* (1996) (158) entre les scores d'utilité associés à la dialyse et à la transplantation, De Wit *et al.* (159) ont estimé que la transplantation avait un score d'utilité de 0,9.

---

38 DPCC : échange de fluide de dialyse automatisé par cycle continu pendant la nuit.



**Tableau 15. Scores d'utilité – source : De Wit *et al.* (1998) (159)**

	HDC	HD hors centre (HDD et autonome)	DPCA	DPCC
Patients SG	0,84 (SD 0,21)	0,91 (SD 0,12)	0,81 (SD 0,24)	0,74 (SD 0,24)
Patient TTO	0,87 (SD 0,20)	0,93 (SD 0,22)	0,86 (SD 0,23)	0,93 (SD 0,14)
Patient EQ-5D	0,58 (SD 0,19)	0,65 (SD 0,14)	0,61 (SD 0,20)	0,61 (SD 0,19)
Population générale <sup>39</sup>	0,66 (SD 0,29)	0,81 (SD 0,24)	0,71 (SD 0,29)	0,81 (SD 0,19)

Plusieurs études coût-utilité répondant aux critères de sélection ont utilisé les résultats de l'étude de De Wit *et al.* (159) pour estimer le coût par QALY des différentes stratégies de prise en charge.

- Mowatt *et al.* 2003 (120) et Gonzalez-Perez et Vale 2005 (129) ;
- Haller *et al.* 2011 (141), Autriche.

Enfin, concernant les autres scores d'utilité identifiés dans la présente revue de littérature, 4 autres analyses coût-utilité répondants aux critères de sélection de la revue de la littérature médico-économique proposant des scores d'utilité non fondés sur la littérature ont également été analysées : ces scores sont présentés dans le tableau ci-dessous.

**Tableau 16. Scores d'utilité (autre)**

	Méthode	Hémodialyse			Dialyse péritonéale	transplantation
		HD centre	HDDq	HDDn		
Sennfält <i>et al.</i> 2002 (140), Suède	EQ-5D Groupes de 27 patients ajustés	0,44			0,65	0,86
Kontodimopoulos et Niakas, 2008 (137), Grèce	Fonction de transformation SFD6 appliquée à un questionnaire SF36	0,64 HD (SD 0,152 ; CI 95 % 0,629-0,651)			0,60 DP (SD 0,158 ; CI 95 % 0,558-0,640)	0,72 Tx (SD 0,114 ; CI 95 % 0,697-0,735).
Kroeker <i>et al.</i> 2003 (134), Canada	HUI	initial 0,80 +/- 0,07 ; annualisé : 0,71 +/- 0,9	initial 0,80 +/- 0,14 ; annualisé : 0,84 +/- 0,12	initial 0,69 +/- 0,14 ; annualisé : 0,70 +/- 0,13		
McFarlane <i>et al.</i> (119, 135), Canada	Standard Gamble (19 et 24 patients dans chacun des groupes)	0,53 (SD 0,35)		0,77 (SD 0,23)		

Au total, l'analyse des données de la littérature met en évidence le manque d'homogénéité des méthodes utilisées, des techniques et modalités comparées ainsi que de la présentation des résultats. Par ailleurs, les résultats en termes d'utilité obtenus et intégrés dans les études coût-

<sup>39</sup> La méthode n'a pas été explicitement décrite ; il semble EQ-5D.

utilité retenues étaient variables. Si la transplantation a toujours été considérée comme permettant d'obtenir des scores de préférence plus élevés, l'interprétation des conclusions est moins évidente pour les différentes techniques de dialyse au regard des données disponibles.

### **3.3.6 Conclusions de l'analyse des études de coût-résultat**

#### **Encadré 6. Conclusions de l'analyse des études de coût-résultat**

La revue de la littérature a permis d'identifier 15 études coût résultats : 4 études étaient des études de coût-efficacité prenant la durée de vie comme critère d'efficacité, et 10 études proposaient un résultat exprimé en termes de coût-utilité prenant le QALY comme critère d'utilité. En outre, une étude présentait des résultats en termes de coûts et de qualité de vie, mais sans les mettre en perspective.

Les conclusions des études étaient en faveur de la transplantation. Concernant la comparaison entre l'hémodialyse et la dialyse péritonéale, les conclusions étaient généralement en faveur de la dialyse péritonéale. Concernant l'évaluation économique des modalités de prise en charge en hémodialyse, les conclusions semblaient s'accorder en faveur d'une prise en charge « hors centre ». Ces conclusions doivent cependant être interprétées avec précautions, en raison de la qualité méthodologique des études et du manque de robustesse des données permettant de mesurer les résultats de santé associés aux différentes modalités de prise en charge des patients en IRCT. Si les techniques et les modalités ne peuvent être différenciées en termes de résultats, alors seuls les coûts entrent en considération. Les études de coût-résultat n'ont alors aucun apport spécifique par rapport aux études de coût.

### 3.4 Conclusion de la revue de la littérature

Cette revue de la littérature se fonde sur l'analyse de 36 études dont 21 études de coût et 15 études de type coût-résultat. Elle a également pris en compte 4 revues de littérature et 2 méta-analyses antérieures.

La transplantation est d'emblée apparue comme devant être distinguée des deux techniques d'épuration extra-rénale. Elle est présentée par les auteurs comme la modalité la plus efficace par rapport aux autres traitements de suppléance (plus efficace et moins coûteuse) devant être développée. Un travail à part entière a donc été consacré à l'analyse de ses possibilités de développement de la transplantation rénale (3). La rareté des greffons justifie toutefois de chercher la meilleure stratégie de prise en charge alternative.

L'analyse des caractéristiques des études relative à l'épuration extra-rénale a mis en évidence la grande hétérogénéité des stratégies évaluées (techniques et modalités de prise en charge) et des coûts estimés qui rendaient les résultats difficilement comparables. En outre, la qualité méthodologique des évaluations était faible ; l'une des principales difficultés étant l'absence d'étude clinique de niveau de preuve élevée. Dans ce contexte, la revue de la littérature ne permet pas de conclure quant à l'efficacité d'une technique d'épuration extra-rénale par rapport à l'autre. Les tendances observées concernant la comparaison entre les techniques d'épuration extra-rénale et/ou les différentes modalités de prise en charge sont à prendre avec précautions au regard des limites des études et de l'absence de données françaises.

La majeure partie des études identifiées dans la revue de la littérature ne prenaient pas en compte les possibilités de changement de traitement du patient au cours du temps. Mais quelques études ont proposé des comparaisons en termes de trajectoires, définir des trajectoires permet de prendre en considération les conditions réelles de prise en charge des patients. La prise en charge de l'IRCT est en effet souvent décomposée en une suite d'états de santé mutuellement exclusifs qui correspondent aux différents traitements de suppléance. Ainsi, par trajectoire de patients est entendu que les différentes techniques et/ou modalités de prise en charge ne sont plus considérées comme parfaitement substituables, mais comme des alternatives en partie complémentaires dans le temps. La trajectoire d'un patient en IRCT peut être ainsi appréhendée comme la succession de différentes modalités de traitements.

Une approche en termes de trajectoires de patients permettra d'aborder la problématique sous un angle différent et de dresser un constat plus réaliste des pratiques actuelles. Afin d'obtenir des informations concernant l'efficacité des différentes stratégies de prise en charge, ces trajectoires pourront être modélisées et associées aux données de coûts. Concernant les données de coûts disponibles, l'étude de coût la plus pertinente pour donner un éclairage de la situation française est l'étude de Blotière *et al.* en 2007 (35). Cependant, elle ne permet pas d'estimer le coût des différentes modalités de prise en charge.

### **Encadré 7. Avis du groupe de travail sur la revue de la littérature**

Les experts étaient en accord avec les conclusions qui ont été tirées de l'analyse de la littérature.

Le groupe de travail s'accordait sur le fait que la revue de la littérature montre l'intérêt médico-économique de développer la transplantation rénale. Le groupe de travail a précisé, qu'en l'état actuel, le développement de la transplantation repose sur l'augmentation du nombre de donneurs décédés et vivants. Il a été souligné que ces questions devaient être abordées dans une perspective intégrant une dimension éthique.

Considérant la faible qualité méthodologique des études, l'hétérogénéité des techniques et/ou modalités de prise en charge comparées, le groupe de travail s'accordait sur le fait que les résultats de la revue de la littérature ne permettaient pas de conclure de façon globale concernant l'efficacité d'une technique d'épuration extra-rénale par rapport à une autre (hémodialyse et dialyse péritonéale). Il souligne en outre que les études cliniques ne permettent pas clairement de trancher sur la question de l'efficacité entre les deux techniques d'épuration extra-rénale.

Le groupe de travail reconnaissait la non-pertinence de recommander la mise en place d'études économiques de bonne qualité méthodologique, dans la mesure où la principale difficulté provient de l'absence d'études cliniques de niveau de preuve élevé. De telles études ne peuvent pas aisément être mises en œuvre compte tenu des déterminants à prendre en compte dans le choix du mode de traitement.

S'il n'y a pas de consensus sur la « meilleure modalité » de traitement, en dehors de la transplantation rénale, et que les modalités de traitement ne sont pas toujours en concurrence pour un patient donné, le groupe de travail s'accordait pour reconnaître que les différentes techniques et/ou modalités sont, le plus souvent, complémentaires.

Dans la mesure où les techniques et méthodes de traitement ne sont pas complètement substituables, le groupe de travail s'accordait sur le fait qu'explorer les séquences de traitement (trajectoires) et ne pas procéder par analyse comparative entre différentes techniques et modalités de prise en charge constitue une approche novatrice par rapport à ce qui a pu être identifié jusqu'à présent dans la littérature. Cependant, les membres du groupe de travail ont souligné que cette approche relevait d'une recherche exploratoire à part entière dont, par définition, la pertinence des résultats n'est pas garantie *a priori*.

Il a été souligné que les enjeux éthiques soulevés par le traitement en dialyse méritaient d'être pris en considération, au même titre que ceux liés au développement de la transplantation rénale.

## 4. Coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement et analyse des facteurs de variation

### Encadré 8. Étude de coûts : points-clés

#### Objectif

L'étude de coût relative au traitement des patients en IRCT a été réalisée selon deux objectifs :

1. évaluer le coût de prise en charge d'un patient en IRCT en fonction des différentes modalités de traitement et des autres facteurs de variation ;
2. alimenter le modèle permettant d'évaluer l'efficacité des stratégies de prise en charge.

**La perspective adoptée est celle de l'Assurance maladie.**

#### Méthode

L'étude de coût a été réalisée à partir des données exhaustives du SNIIRAM-DCIR chaînées aux données du PMSI pour l'année 2009. La population d'analyse correspondait aux patients de plus de 18 ans, en traitement de suppléance par dialyse ou transplantation, ayant eu au moins une consommation de soins sur la période de l'étude. Des choix méthodologiques ont été imposés par les caractéristiques des données analysées.

Le **coût de prise en charge mensuel** d'un patient en IRCT a été estimé pour **9 modalités de traitement**<sup>40</sup>, en fonction des caractéristiques des patients (âge, présence ou non de diabète) et de leur statut (prévalent, incident) ou de leur état (transplanté, décédé) sur la période de l'étude.

Afin de tenir compte du passage d'une modalité de traitement à une autre au cours du temps, le temps passé dans chacune des 9 modalités durant la période de l'étude a été pris en compte.

Un coût de prise en charge mensuel moyen a ainsi été estimé pour des prises en charges stables (une modalité de traitement majoritaire durant la période d'étude) et pour des prises en charges mixtes, selon les caractéristiques, statuts et états des patients sur la période de l'étude.

Le coût de certaines transitions a été estimé afin d'alimenter le modèle :

- décès (patients décédés dans l'année) : coût du dernier mois de traitement ;
- transplantation rénale (greffés de l'année) : coût moyen des 6 premiers mois post-transplantation ;
- démarrage du traitement par dialyse (patients incidents de l'année) : coût du premier mois en hémodialyse ou dialyse péritonéale.

#### Résultats

Le coût moyen mensuel de traitement d'un patient prévalent avec une prise en charge stable sur la période de l'étude était variable selon la modalité de traitement. Le classement des

<sup>40</sup> Le coût de la transplantation à partir de donneur vivant et donneur décédé n'a pu être différencié en raison des caractéristiques des données disponibles.

modalités de traitement, de la plus coûteuse à la moins coûteuse était le suivant : hémodialyse en centre (7 253 €), DPA assistée (5 744 €), DPCA assistée (5 337 €), hémodialyse en UDM (5 196 €), DPA non assistée (4 419 €), autodialyse (4 377 €), hémodialyse à domicile (4 173 €), DPCA non assistée (3 774 €) et les patients porteurs de greffon (1 128 €).

Le coût moyen mensuel d'un patient prévalent stable variait également selon les caractéristiques du patient : le traitement des patients diabétiques impliquait un coût moyen mensuel plus élevé notamment pour les patients jeunes, et ce quelle que soit la modalité de traitement.

Le coût moyen mensuel correspondait pour plus de 50 % au traitement de suppléance, excepté pour les modalités de DP assistée du fait de l'importance du poste « soins infirmiers » (26 % pour la DPA et 37 % pour la DPCA). Le poste « transport » représentait une part importante pour les modalités d'hémodialyse (près de 20 % du coût total mensuel, excepté pour l'HD domicile).

Des coûts additionnels ont été constatés dans la trajectoire des patients le mois de démarrage du traitement de suppléance, le mois de la transplantation et le mois du décès par rapport au coût moyen mensuel d'un patient prévalent avec une prise en charge stable. L'analyse des forfaits et tarifs a permis d'estimer ces coûts de transition qui ont été pris en compte pour alimenter le modèle (cf. Chapitre 5).

### **Messages-clés**

Dans le contexte français, cette étude a montré l'importance d'analyser les coûts selon les modalités de traitement (et non uniquement selon la technique), les caractéristiques cliniques des patients (âge et statut diabétique), et selon la trajectoire des patients (démarrage, changement de traitement, décès).

## **4.1 Méthode**

### **4.1.1 Objectifs de l'étude de coût**

L'étude de coût relative au traitement des patients en IRCT a été réalisée selon deux objectifs :

- évaluer le coût de prise en charge d'un patient en IRCT en fonction des différentes modalités de traitement et des facteurs de variation (caractéristiques des patients, trajectoire des patients selon les modalités de traitement, *i.e.* démarrage, changement, décès) ;
- alimenter le modèle permettant d'évaluer l'efficacité des stratégies de prise en charge.

La mise en œuvre de cette étude se justifie par l'absence de données dans la littérature permettant de répondre à ce double objectif<sup>41</sup>.

### **4.1.2 Méthodologie d'analyse des données**

L'étude de coût a été réalisée à partir des données du SNIIRAM-DCIR chaînées aux données du PMSI pour l'année 2009<sup>42</sup>.

<sup>41</sup> La revue de la littérature a permis d'identifier deux études de coût réalisées dans le contexte français : l'étude de Benain *et al.* en 2007 (95) et l'étude de Blotière *et al.* en 2010 (35). Cependant, l'étude de Benain *et al.* était trop ancienne pour être transposée au contexte actuel. Quant à l'étude de Blotière *et al.*, elle ne permettait pas de renseigner le coût des différentes modalités de traitement de dialyse. Par ailleurs, aucune étude dans la littérature n'a évalué le coût de prise en charge en fonction des caractéristiques cliniques des patients et du temps passé dans la modalité de traitement.

<sup>42</sup> La source des données est davantage présentée dans l'annexe méthodologique.

L'analyse des données a été structurée en cinq étapes qui correspondent également aux sections de ce chapitre :

- 1) Identification des patients en IRCT et sélection de la population d'analyse ;
- 2) Définition de sous-populations d'analyse : patients prévalents, incidents, décédés, transplantés sur la période de l'étude et stratification sur l'âge et la présence de diabète ;
- 3) Classement des patients dans une ou plusieurs modalités de traitement : patients avec une prise en charge stable ou mixte sur la période de l'étude ;
- 4) Choix méthodologiques pour l'analyse des coûts ;
- 5) Estimation des coûts.

La méthode sur laquelle se fonde l'analyse des données du SNIIRAM-PMSI est détaillée dans le document annexe (Annexe 2, Section 1).

### **1) Identification des patients en IRCT et sélection de la population d'analyse**

Dans un premier temps, une interrogation des bases du SNIIRAM-DCIR et du PMSI la plus large possible<sup>43</sup> a été réalisée afin de sélectionner, au sein de l'ensemble de la population française ayant consommé des soins, un échantillon englobant les patients repérés comme étant en traitement de suppléance par dialyse ou transplantation (cf. Annexe 2, section 1.1.2).

Dans un second temps, une sélection plus fine a permis de délimiter la population d'analyse aux patients de plus de 18 ans en traitement de suppléance pour IRCT ayant eu au moins une consommation de soins enregistrée entre le 1<sup>er</sup> mars 2009 et le 28 février 2010.

#### **Sélection initiale de la population traitée pour IRCT**

##### *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 et aux séjours d'insuffisance rénale avec dialyse ou à partir des codes des actes CCAM correspondant aux séances de dialyse.

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

##### *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 transplantation ou d'un code acte CCAM correspondant aux séjours de transplantation rénale.

Dans le SNIIRAM-DCIR, les patients porteurs d'un greffon rénal ont été repérés à partir des codes CIP d'immunosuppresseurs.

#### **Sélection de la population d'analyse : critères d'exclusion**

A partir de la sélection initiale de la population traitée pour IRCT, une sélection plus fine a été réalisée afin de pouvoir répondre aux objectifs de l'étude. Les patients répondant aux critères suivants ont été exclus de la population d'analyse<sup>44</sup> :

- les patients ayant des séances de dialyse sans consommation de soins de ville remboursée par l'Assurance maladie sur la période de l'étude ;
- les patients de moins de 18 ans ;

<sup>43</sup> 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.

<sup>44</sup> Les effectifs de patients associés à chaque critère d'exclusion sont mentionnés dans l'annexe méthodologique (Annexe 2, Section 1.1.2).

- 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) ;
- les patients identifiés comme ayant une maladie rénale, sans séance de dialyse, avec moins de 3 prescriptions d'immunosuppresseurs durant la période de l'étude (identifiés initialement comme potentiellement porteurs de greffon) ;
- les patients non classés dans une modalité de traitement ;
- les patients dont les informations sur l'âge, la présence ou non de diabète et le mois de décès sur la période de l'étude étaient manquantes ;
- les patients étant identifiés comme atteints d'une insuffisance rénale aiguë : patients dont la durée de traitement est inférieure à 45 jours (en dehors des patients incidents de fin d'année).

## **2) Définition de sous-populations d'analyse : patients prévalents, incidents, décédés, transplantés sur la période de l'étude et stratification sur l'âge et la présence de diabète**

Différents facteurs considérés comme des sources d'hétérogénéité des coûts peuvent être identifiés concernant les caractéristiques spécifiques des patients.

En premier lieu, la répartition des patients à travers les différentes modalités de traitement varie en fonction de certaines caractéristiques, notamment l'âge et la présence de comorbidités. En effet, les indicateurs du registre REIN mettent en évidence que l'âge, de même que la présence d'un diabète ou d'une ou plusieurs comorbidités, influencent fortement la survie en dialyse et l'accès à la greffe (7, 153).

Le profil des patients selon l'âge et les comorbidités ont donc une influence sur les trajectoires des patients dans les différentes modalités de traitement et les coûts associés. Par conséquent, l'analyse descriptive du coût de prise en charge d'un patient traité pour IRCT a pris en compte le profil des patients selon l'âge et la présence de diabète<sup>45</sup>.

Le statut du patient lié au temps passé en traitement de suppléance sur la période de l'étude (par exemple, incident ou prévalent) ou à son état (par exemple, transplanté, décédé) peut aussi être une source importante d'hétérogénéité des coûts : le coût de traitement est différent selon que le patient est prévalent avec 12 mois complet de traitement dans la période d'étude ou que le patient est incident ou décédé avec une année incomplète de traitement. Pour prendre en compte cette source d'hétérogénéité, la notion de « temps passé en traitement de suppléance » a été prise en compte dans l'estimation des coûts en fonction de 4 sous-populations de patients :

- les patients prévalents ;
- les patients incidents, démarrant un traitement par dialyse durant la période de l'étude ;
- les patients décédés durant la période d'étude (patients prévalents-décédés et incidents-décédés) ;
- les patients transplantés durant la période d'étude.

Au total, le coût de prise en charge d'un patient en IRCT en fonction des différentes modalités de traitement a donc été évalué en fonction de sous-populations de patients ayant des profils homogènes et d'une stratification selon l'âge et la présence de diabète.

## **3) Classement des patients dans une ou plusieurs modalités de traitement : patients avec une prise en charge stable ou mixte sur la période de l'étude**

Sur une période de temps, les patients peuvent passer d'une modalité de traitement à une autre. Il s'agissait donc de connaître, pour chaque patient, le temps passé dans chacune de ces modalités afin de lui affecter une ou plusieurs modalités de traitement sur la période de l'étude.

---

<sup>45</sup> La présence d'une ou plusieurs comorbidités cardio-vasculaire n'a pas été retenue pour deux raisons : à la différence du diabète, ces données ne sont pas disponibles pour tous les patients ; une stratification sur l'âge, le diabète et l'existence d'une pathologie cardio-vasculaire aurait généré des effectifs trop faibles par strates.



Pour estimer le temps passé dans les modalités de traitement repérables dans le PMSI et le SNIIRAM-DCIR, des hypothèses ont été retenues de façon à prendre en compte les marges d'erreurs sur les dates dans les différentes bases de données (Annexe 2, Section 1.2).

### **Estimation du temps passé, par patient, dans chaque modalité de traitement, selon le statut de l'établissement**

Les informations du PMSI et du SNIIRAM-DCIR se recoupent en ce qui concerne les données de l'hospitalisation privée (à 95 %). En revanche, les données des séjours en hospitalisation publique sont seulement disponibles dans le PMSI. Les séances de dialyse ont donc été identifiées à partir des données du PMSI pour les établissements publics, et des données renseignées dans le SNIIRAM-DCIR pour les établissements privés et les associations.

Pour les établissements publics, le temps passé dans chaque modalité de traitement a été estimé à partir des dates d'entrée et de sortie des séjours enregistrés dans le PMSI. La concordance entre la durée de séjour et le nombre de séances renseignés a été vérifiée, et la règle de tarification choisie par l'établissement (à la séance ou au mois) a été prise en compte.

Pour les établissements associatifs ou privés, le temps passé dans chaque modalité de traitement a été estimé à partir des soins enregistrés dans le SNIIRAM-DCIR. Le classement des patients dans une ou plusieurs modalités de traitement a été réalisé par mois de soins. La concordance entre les durées de traitement et les montants remboursés par l'Assurance maladie a été vérifiée.

### **Repérage et analyse des patients transplantés**

Les patients qui ont été 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 » est considérée comme une modalité de traitement à part entière, au même titre que les modalités de traitement par dialyse.

#### *Patients transplantés 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 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 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 pour surveillance ou rejet du greffon.

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.

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

### **Classement des patients dans une ou plusieurs modalités de traitement**

En dehors des patients caractérisés comme transplantés durant toute 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. Au total, 9 modalités de traitement ont été considérées<sup>46</sup> : l'hémodialyse en centre, l'hémodialyse en UDM, l'hémodialyse en autodialyse, l'hémodialyse à domicile, la DPA assistée/non assistée, la DPCA assistée/non assistée, les porteurs de greffon.

Les patients peuvent passer d'une modalité de traitement à une autre au cours de la période de l'étude. Leur classement parmi les différentes modalités a été effectué après avoir calculé le temps total passé dans chaque modalité et la part de chaque modalité dans le temps total de traitement pour dialyse.

La reconstitution du coût des trajectoires des patients selon le temps passé dans une modalité de traitement à partir des dates entrées-sorties des séjours hospitaliers (PMSI) et des consommations de soins (mois de soins, DCIR) n'a pu être effectuée : les dates de traitement dans le PMSI et le SNIIRAM-DCIR n'étaient pas concordantes (date ou mois de soins) et pas suffisamment fiables (les dates dépendent des règles de facturation de chaque établissement) pour décomposer les trajectoires de chaque patient (analyse de coûts cumulée).

Les biais et les limites des données de facturation ont justifié la nécessité d'établir des règles de classement à partir du calcul du temps passé dans chaque modalité et de la part de chaque modalité de traitement dans la durée totale.

Deux catégories de patients ont été distinguées – **les patients stables et les patients mixtes** – selon la règle de classement suivante :

- Les patients pris en charge par la même modalité de traitement pendant plus de 75 % de leur 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.

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, Section 2.1.4, Tableau 20). Le choix de ce seuil de 75 % paraît raisonnable dans l'objectif d'estimer des coûts de prise en charge associés à chaque modalité de traitement ; il permet de conserver les patients qui ont des périodes d'entraînements ou de replis.

#### 4) Choix méthodologiques pour l'analyse des coûts

Les choix méthodologiques structurants pour la mesure des coûts ont été justifiés au regard des principes énoncés dans le guide méthodologique pour l'évaluation économique (4).

##### Champ de l'étude

**La perspective adoptée est celle de l'Assurance maladie.** Elle est plus restrictive que la perspective collective recommandée dans l'analyse de référence permettant de prendre en compte l'ensemble des parties prenantes concernées par l'intervention étudiée dans le contexte du système de santé français. Dans le cadre de cette étude, ce choix se justifie par l'impossibilité d'estimer l'ensemble des coûts<sup>47</sup>. Cependant, la population d'analyse peut être considérée dans la plupart des cas en affection de longue durée et donc prise en charge à 100 % par l'Assurance maladie, ce qui limite l'impact sur les résultats d'une perspective restrictive.

La période d'analyse a été définie en tenant compte du changement de codification des GHM dans le PMSI : elle s'étend du 1<sup>er</sup> mars 2009 (date de changement du système de codification des GHM pour les données PMSI) au 28 février 2010.

---

<sup>46</sup> L'hémodialyse concerne toutes les techniques (hémodiafiltration, dialyse sans acétate) en l'absence de différentiel de coûts dans les forfaits ; de même que pour l'hémodialyse longue et courte.

<sup>47</sup> Par exemple : données sur les complémentaires de santé non disponibles, information sur les dépassements d'honoraires issues de sources déclaratives et incomplètes, coûts de production non disponibles pour l'ensemble des fournisseurs de soins, estimation des coûts à la charge des patients et des aidants non disponibles.

La population d'analyse concerne l'ensemble des patients traités pour une IRCT des trois principaux régimes d'assurance maladie obligatoires (CNAMTS – RSI – MSA), y compris les sections locales mutualistes (SLM), ainsi que deux régimes spéciaux (clerc de notaire, et régime des cultes) répondant aux critères de sélection définis dans l'étape 1.

### Périmètre des coûts

Dans l'analyse de référence recommandée par la HAS, l'évaluation économique est fondée sur l'analyse des **coûts de production** quel que soit la nature des composantes de ce coût et quel que soit l'acteur qui supporte ce coût. Dans cette optique, le périmètre des coûts prend en compte l'ensemble des facteurs de production, c'est-à-dire toutes les ressources consommées (en biens, en services et en temps) pour produire les interventions<sup>48</sup>.

Dans cette étude, compte tenu de la perspective adoptée et des données disponibles, les coûts des postes suivants ont été pris en compte :

- les séances de dialyse ou séjours hospitaliers pour rejet ou suivi de greffe : poste intitulé par la suite « traitement de suppléance » ;
- les autres séjours hospitaliers ;
- les honoraires médicaux ;
- les soins infirmiers ;
- les soins d'autres auxiliaires ;
- la pharmacie ;
- les médicaments en sus ;
- les dispositifs médicaux ;
- la biologie ;
- les transports ;
- le forfait dialyse tierce personne.

L'analyse des données a été conduite à partir de l'intégralité des consommations de soins identifiées pour un patient en IRCT durant la période de l'étude qu'elles soient relatives au traitement de suppléance ou aux comorbidités prises en charge.

Les séjours hospitaliers ont fait l'objet d'une analyse spécifique afin de classifier les causes d'hospitalisation et leur lien avec le traitement de suppléance : infection en lien ou non avec le traitement, cancer en lien ou non avec le traitement, maladie cardio-vasculaire et autres (cf. Annexe 2, Section 1.4).

Les points suivants apportent quelques précisions sur certains coûts non pris en compte dans le cadre de cette étude :

- les dépassements d'honoraires et médicaments non remboursables ne correspondaient pas aux montants remboursés par l'Assurance maladie et il n'était pas possible d'accéder à ces informations ;
- les sommes versées aux professionnels de santé à visée rémunératrice non affectées à un patient (ex : contrats liées à l'organisation d'une filière de soins ou d'un réseau) : l'information sur ce type de consommations n'était pas accessible ;
- la valorisation de l'activité externe réalisée dans les établissements publics ; ces données n'étaient pas disponibles<sup>49</sup>. Par exemple, les bilans pré-transplantation réalisés en consultation externe dans les établissements, sauf si ces bilans ont été effectués dans le cadre d'une hospitalisation de jour dans ce cas, les coûts de ces examens ont été comptabilisés dans la mesure où il existe un GHS spécifique.

<sup>48</sup> Il s'agit notamment de la consommation de soins hospitaliers et ambulatoires, de biens médicaux, de transport, organisation d'un programme de santé ou temps des personnes auxquelles s'adressent les interventions et des aidants.

<sup>49</sup> Ces données sont issues des fichiers RSFA de l'ATIH, mais ne sont pas mises à la disposition de la HAS. Par ailleurs, le fichier RSFA n'est pas chaînable avec le DCIR.

- les sommes versées par l'Assurance maladie au titre des missions d'intérêt général et de l'aide à la contractualisation<sup>50</sup> des établissements publics et du Forfait annuel greffe (FAG) n'ont pas été prises en compte, compte tenu de la difficulté de connaître le montant de ces enveloppes dédiée à l'activité de dialyse et de greffe ;
- les coûts indirects<sup>51</sup> incluant les arrêts de travail et les coûts liés aux difficultés de « socialisation » induites par la dialyse n'ont pas été pris en compte dans le calcul des coûts ; ces coûts n'étant pas considérés comme entrant dans le processus de production selon l'analyse de référence HAS. À noter que cette population en IRCT a un âge médian de 63 ans, et que la plupart sont en arrêt maladie longue durée. L'enquête organisée auprès des patients dans le cadre des États Généraux du REIN a montré les résultats suivants : parmi les 25-49 ans, 59 % des hommes et 53 % des femmes sont en activité (vs 94 et 84 % respectivement dans la population générale), parmi les 50-64 ans, ces pourcentages sont de 34 et 27 % respectivement (vs 62 et 55 % en population générale)<sup>52</sup> ;
- seul le secteur MCO a été pris en compte dans l'étude. En 2009, les activités de long séjour, de soins de suite et de psychiatrie n'étaient pas encore assujetties à la tarification à l'activité ; aussi, en théorie, il n'était pas possible pour l'établissement de santé qui prend en charge un patient dans une de ces 3 activités de soins de facturer un forfait de dialyse. En revanche, un porteur de greffon peut avoir été hospitalisé en soins de suite et réadaptation, en psychiatrie ou en soins de longue durée une fois transplanté<sup>53</sup>.

### Mesure des coûts

La mesure des ressources consommées a été effectuée à partir de l'exploitation des informations enregistrées dans les bases de données médico-administratives du SNIIRAM-PMSI correspondants aux montants financés par l'Assurance maladie (régime obligatoire).

### Valorisation des coûts

Compte tenu de la perspective, l'estimation des coûts a été fondée sur les tarifs de remboursements par l'Assurance maladie : montant du tarif d'un GHS ou d'un forfait, tarif de remboursement d'une consultation, etc.

Pour les séances de dialyse et séjours hospitaliers du secteur public et privé renseignés dans le PMSI, la valorisation a été réalisée par l'ATIH à l'aide de leur propre algorithme, à partir des tarifs des GHS (Groupe Homogène de Séjours), suppléments, dispositifs médicaux et médicaments en sus.

Pour les séances de dialyse et séjours hospitaliers du secteur privé non renseignés dans le PMSI, la valorisation a été effectuée à partir des forfaits de dialyse ou des GHS enregistrés dans le SNIIRAM-DCIR ; les soins délivrés en ambulatoire et les actes effectués dans le secteur privé ont été valorisés par les montants renseignés dans le SNIIRAM-DCIR sur la base des tarifs conventionnels.

## 5) Estimation des coûts

Ce paragraphe explicite la méthode sur laquelle repose l'estimation des coûts en fonction des différentes modalités de traitement. Il précise également les coûts pris en considération permettant d'alimenter le modèle statistique qui évalue l'efficacité des stratégies de prise en charge.

<sup>50</sup> Les MIGAC concernent les activités suivantes : SAMU, SMUR, centres de référence pour maladies rares, COREVIH, actes hors nomenclature, éducation thérapeutique, consultations mémoire, consultations de génétique, prise en charge de la douleur chronique rebelle, équipes mobiles de soins palliatifs, équipes de liaison et consultations en addictologie, soins aux détenus, dispositifs médicaux innovants, médicaments sous ATU, etc.

<sup>51</sup> Les coûts indirects renvoient à l'impact des interventions évaluées sur l'activité des personnes de la population d'analyse (hors temps consacré à la production des interventions qui relève des coûts directs), que cette activité soit rémunérée ou non : mortalité précoce ou état morbide avec incapacité totale ou partielle d'activité (différentiel d'activité des personnes concernées en fonction des différentiels de durée de vie ou d'incapacité).

<sup>52</sup> Site [www.renaloo.com](http://www.renaloo.com)

<sup>53</sup> À noter cependant une faible utilisation de ces services par les patients en IRCT.

### Ajustement des petits effectifs

Les cinq sous-populations (prévalent, incident, prévalent-décédé, incident-décédé et transplanté) et la stratification selon l'âge et la présence de diabète amène à avoir dans certains groupes des effectifs trop faibles. Dès lors que l'effectif dans un groupe de patients était inférieur à 10, les résultats de coûts ont été ajustés en posant des règles qui sont explicitées dans l'annexe méthodologique.

### Estimation du coût mensuel (ensemble des patients)

Pour chaque patient, les dépenses remboursées par l'Assurance maladie sur la période de l'étude ont été divisées par le temps passé en IRCT (c'est-à-dire avec un traitement par dialyse ou transplantation rénale).

Ainsi, le coût mensuel a été calculé de la façon suivante :

$$\text{cout\_mensuel} = \frac{\text{dépense totale remboursée par l'Assurance Maladie}}{\text{temps(en mois) passé en IRCT sur la période de l'étude}}$$

Le temps passé en traitement de suppléance pour IRCT (dénominateur) a été calculé en fonction du statut du patient sur la période de l'étude<sup>54</sup> (prévalent, incident, prévalent-décédé, incident-décédé, transplanté).

La mise en œuvre du modèle évaluant l'efficacité a également nécessité d'estimer les coûts suivants : coût mensuel post-transplantation rénale, coût mensuel de démarrage d'un traitement de suppléance, coût mensuel du dernier mois avant décès.

### Estimation du coût mensuel post-transplantation rénale

À partir des données issues du groupe de patients « transplantés de l'année », un coût mensuel sur les 6 premiers mois post-transplantation a été estimé. Le choix de considérer cette période se justifie par l'importance des coûts initiaux post-greffe, liés à l'hospitalisation, aux consultations et aux bilans rapprochés, mais aussi aux traitements d'éventuels rejets précoces

Le sous-groupe des greffes préemptives (patients greffés sans passage initial par de la dialyse) a fait l'objet d'une analyse complémentaire.

### Estimation du coût mensuel de démarrage d'un traitement de suppléance (incidents)

À partir des données issues des groupes de patients « incidents » et « incidents décédés », le coût du premier mois après démarrage de la dialyse a été analysé par âge et présence de diabète, et ce pour les 2 techniques de traitement hémodialyse et dialyse péritonéale.

Ce coût du premier mois de traitement a été utilisé dans le modèle pour calculer un coût additionnel pour chaque patient démarrant un traitement de suppléance.

### Estimation du coût mensuel du dernier mois de traitement pour les patients décédés

À partir des données issues des groupes de patients « prévalents-décédés » et « incidents décédés », le coût du dernier mois de traitement a été analysé. Pour 86 % des patients, le coût de ce dernier mois de traitement correspondait au coût du mois du décès, à la fois pour les dépenses

---

<sup>54</sup> Estimation du temps passé en traitement de suppléance (dénominateur) :

- si le patient est prévalent : le temps passé en traitement de suppléance est de 12 mois ;
- si le patient est incident, le temps passé en traitement de suppléance correspond au dernier mois de la période d'étude – mois de début de dialyse + 1 ;
- si le patient est prévalent-décédé, le temps passé en traitement de suppléance correspond au mois de décès – premier mois de la période de l'étude +1 ;
- si le patient est incident-décédé, le temps passé en traitement de suppléance correspond au mois de décès – mois de début de dialyse + 1 ;
- si le patient est transplanté dans la période de l'étude, le temps passé en traitement de suppléance correspond au mois du dernier remboursement – mois du premier remboursement +1.

hospitalières et ambulatoires. Pour les autres patients, le coût de ce dernier mois de traitement correspondait au coût du mois antérieur au décès (dernières dépenses hospitalières ou dernières dépenses ambulatoires renseignées le mois antérieur au décès)<sup>55</sup>. Ces dernières dépenses renseignées le mois antérieur au décès ont été prises en compte, dans la mesure où le décès peut survenir au début de mois ou il peut exister un décalage dans la date de renseignement du décès.

En raison des petits effectifs, cette estimation a été faite pour l'ensemble des patients (âge et présence ou non de diabète confondus), mais pour chaque modalité de traitement.

Le coût moyen du dernier mois de traitement par modalité a été utilisé dans le modèle comme un coût additionnel pour les patients transitant vers l'état décédé.

### **Distribution des données de coûts et choix de la moyenne / médiane**

Les données de coûts sont des données qui présentent dans la majorité des cas une asymétrie à droite, c'est-à-dire des queues de distribution étalées vers les coûts les plus élevés. Face à des données asymétriques, la question de la présentation des résultats par la moyenne ou la médiane se pose.

D'un point de vue méthodologique, la présentation des coûts par la médiane peut être préférée dans la mesure où les données extrêmes sont considérées comme des valeurs aberrantes. Dans ce cas, la présence de valeurs extrêmes rendrait la moyenne non représentative de la majorité des observations. Cependant, lorsque les valeurs extrêmes ne peuvent pas être considérées comme des valeurs aberrantes, la moyenne est préférée, car elle permet de prendre en compte chaque observation individuelle et de conserver ainsi la variabilité observée sur le terrain.

Dans la présente étude, la moyenne a été retenue afin de prendre en compte tous les coûts observés sur le terrain et ainsi ne pas sous-estimer le coût par patient. Une vérification sur les données extrêmes a été réalisée afin de s'assurer qu'il ne s'agissait pas de valeurs aberrantes. Dans le cas où les données de coûts présentaient une très forte variabilité, la moyenne et la médiane ont été présentées.

## **4.2 Résultats : coût de la prise en charge d'un patient en traitement de suppléance pour IRCT**

### **4.2.1 Population d'analyse**

La population d'analyse comportait 65 662 patients traités pour IRCT, dont 2 265 patients ayant bénéficié d'une transplantation rénale entre 1<sup>er</sup> mars 2009 et le 28 février 2010.

#### **► Caractéristiques de la population d'analyse**

La description de la population d'étude a pris en compte l'âge des patients, l'existence ou non d'un diabète ainsi que les cinq sous-populations définies à partir du statut du patient lié au temps passé en traitement de suppléance sur la période de l'étude ou à un état (décédé, transplanté).

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

L'âge moyen des patients inclus était de 61 ans et l'âge médian de 62 ans. La répartition de la population d'analyse selon les 3 groupes d'âge était la suivante : 17 % des patients avaient entre 18 et 44 ans, 48 % entre 45 et 69 ans et 35 %, plus de 70 ans.

---

<sup>55</sup> Le coût du dernier mois de traitement pris en compte correspondait à :

- pour 86 % des patients, le coût du dernier mois de traitement correspondait au coût du mois de décès ;
- pour 10 % des patients, les dernières dépenses ambulatoires correspondaient au mois antérieur au décès, tandis que les dernières dépenses hospitalières correspondaient au mois du décès ;
- pour 3 % des patients, les dernières dépenses ambulatoires correspondaient au mois du décès, tandis que les dernières dépenses hospitalières correspondaient au mois antérieur au décès ;
- pour 1 % des patients, les dernières dépenses ambulatoires et hospitalières correspondaient au mois antérieur au décès.

La présence de diabète se retrouvait principalement dans les groupes d'âge supérieurs à 45 ans (cf. Annexe 2, Section 2.1.1, Tableau 12). Au total, 23 % des patients de la population étaient diabétiques.

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

Le statut du patient est lié au temps passé en traitement de suppléance sur la période de l'étude (incident ou prévalent) ou à un état (décédé ou transplanté).

La majorité des patients inclus était des patients prévalents (78 % de la population) ; les patients incidents représentaient 12 %, les patients décédés et transplantés de l'année représentaient respectivement 6,6 % et 3,5 % de la population d'analyse.

Les patients décédés au cours de la période de l'étude étaient dans 47 % des cas des patients de plus de 70 ans non diabétiques et dans 23 % des cas des patients de plus de 70 ans diabétiques (cf. Tableau 17 au-dessous, et Annexe 2, section 2.1.1, figure 1). Les patients prévalents étaient dans 40 % des cas dans le groupe d'âge 45-69 ans sans diabète.

**Tableau 17. Répartition (% colonne) des patients par statut, selon leur âge et la présence de diabète**

Âge et présence de diabète	Prévalent	Incident	Décédé	Transplanté de l'année
<b>Effectif</b>	<b>51 209</b>	<b>7 811</b>	<b>4 377</b>	<b>2 265</b>
18-44 ans diabétiques	1,35	1,40	0,57	2,21
18-44 ans non diabétiques	17,27	9,51	1,99	30,82
45-69 ans diabétiques	10,79	13,60	11,03	14,30
45-69 ans non diabétiques	39,69	25,90	17,16	47,55
70+ ans diabétiques	8,89	16,60	22,55	1,81
70+ ans non diabétiques	22,02	32,99	46,70	3,31

### Parallèle entre la structure de la population d'étude et les données du registre REIN

D'après les données REIN, en 2012, l'âge moyen des patients prévalents était de 62 ans, l'âge médian de 63 ans.

Selon les données REIN en 2012, la néphropathie diabétique était considérée dans 15 % des cas comme la maladie rénale initiale des patients prévalents (21 % chez les patients en dialyse, 7 % chez les patients porteurs d'un greffon rénal fonctionnel) et le diabète était présent chez 38 % des patients en dialyse.

La répartition des patients selon le statut prévalents/incidents/décédés est cohérente avec les proportions observées dans registre

La comparaison entre ces données est cependant à interpréter avec précaution, car les méthodes de sélection des patients ne sont pas similaires : les données publiées du registre REIN sont basées sur une observation de l'ensemble des patients vivants à la date du 31/12 (prévalence ponctuelle), tandis que les données analysées dans la présente étude se fondent sur une observation des patients sur une période d'un an (prévalence sur une période) et des critères de sélection définis afin d'étudier les coûts.

### ► Classement des patients par modalité de traitement

L'application de la règle de classement des patients en fonction de leur passage dans les modalités de traitement a conduit à distinguer différents types de prise en charge sur la période de l'étude :

- Les patients avec **une prise en charge stable** avec 75 % de leur temps de traitement passé dans une seule modalité de traitement sur la période de l'étude : 58 646 patients (89 % de la population d'analyse).
- Les patients avec **une prise en charge mixte** dont la trajectoire retrace le passage par plusieurs modalités de traitement sur la période de l'étude : 4 751 patients (7 % de la population d'analyse).
- Les **patients transplantés** sur la période de l'étude : 2 265 patients (4 % de la population d'analyse).

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

La distribution des modalités de traitement parmi les 58 646 patients ayant une prise en charge stable était la suivante (cf. Annexe 2, Section 2.1.2, Figure 2) :

- 39 % des patients étaient porteurs de greffon ;
- 57 % des patients étaient en hémodialyse ;
- 4 % des patients étaient en dialyse péritonéale.

Parmi les patients en hémodialyse en 2009, 70 % étaient en hémodialyse en centre, 20 % en autodialyse, 9 % en UDM et 1 % en hémodialyse à domicile.

Concernant la dialyse péritonéale, la DPCA assistée (42 %) et la DPA non assistée (28 %) étaient les plus utilisées. Ces résultats confirment la prédominance de l'hémodialyse en centre par rapport aux autres modalités de prise en charge et la pratique minoritaire de la dialyse péritonéale (cf. Tableau 18, page 96).

La distribution des modalités de traitement était cohérente avec celle du registre REIN au 31/12/2012<sup>56</sup>.

La classification des patients en « entraînement » doit être interprétée de la façon suivante : « 315 patients (0,5 %) ont passé au moins 75 % de leur temps de traitement dans cette modalité sur la période de l'étude ». Dans 38 % des cas, ces patients étaient des prévalents alors que cette modalité est censée être temporaire, reflétant soit des erreurs de codage, soit probablement les limites de l'identification des modalités de traitement dans les bases médico-administratives.

**Tableau 18. Répartition des 58 646 patients stables par modalité de traitement**

Modalité de traitement	Fréquence	Pourcentage
HD centre	23 291	39,7
Porteur de greffon	22 768	38,8
HD autodialyse	6 584	11,2
HD UDM	3 005	5,1
DPCA assistée	1 045	1,8
DPA non assistée	699	1,2
DPCA non assistée	470	0,8
Entraînement HD ou DP	315	0,6

<sup>56</sup> À noter qu'il s'agit d'une prévalence ponctuelle et non d'une répartition sur une période d'un an.



Modalité de traitement	Fréquence	Pourcentage
HD domicile	246	0,4
DPA assistée	223	0,4
Total	58 646	100

*Selon l'âge et la présence de diabète (cf. Annexe 2, Section 2.1.2, Tableau 13 et 14, Figure 3)*

Les patients jeunes (18-44 ans) étaient en grande partie porteurs de greffon sur la période de l'étude : 68 % pour les patients non diabétiques et 48 % pour les patients diabétiques. La part de la prise en charge en hémodialyse en centre était croissante avec l'âge et la présence de diabète. Les patients de plus de 70 ans et diabétiques étaient pris en charge à 75 % en hémodialyse en centre. Pour les patients les plus âgés, la part de prise en charge en DPCA assistée était plus importante que pour les autres tranches d'âge : de 4 % pour les non diabétiques à 5 % pour les diabétiques, versus moins de 1 % pour les patients plus jeunes.

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

La répartition des patients avec une prise en charge stable dans les différentes modalités de traitement était différente selon le statut du patient sur la période de l'étude (cf. Annexe 2, Section 2.1.2, Tableau 15).

- Les patients prévalents étaient porteurs de greffon dans 47 % des cas ; 32 % étaient dialysés en centre, 12 % en autodialyse, 5 % en UDM et seulement 3 % étaient pris en charge dans une modalité de dialyse péritonéale.
- Les patients incidents étaient dans 76 % des cas suivis en centre. Une prise en charge dans une modalité de dialyse péritonéale survenait dans 9 % des cas.
- Les patients prévalents-décédés étaient pris en charge pour 73 % d'entre eux en centre, et 7 % étaient porteurs de greffon.
- Les patients incidents-décédés (0,9 %), qui présentaient peut être un profil plus lourd, étaient pris dans la grande majorité des cas en centre.

**Classement des patients avec une prise en charge mixte sur la période de l'étude**

Sur la période, 4 751 patients ont été classés dans plusieurs modalités de traitement, soit 7 % de la population d'analyse. Parmi les patients ayant une prise en charge mixte, 74 % ont combiné plusieurs modalités de traitement d'hémodialyse sur la période de l'étude (cf. Tableau 19, page 97).

**Tableau 19. Répartition des 4 751 patients mixtes par modalités de traitement**

Modalités de traitement	Fréquence	Pourcentage
Plusieurs modalités de traitement HD	3 494	73,5
Modalités de traitement HD et porteur de greffon	570	12,0
Modalités de traitement HD et DP	350	7,4
Plusieurs modalités de traitement DP	299	6,3
Modalités de traitement DP et porteur de greffon	31	0,6
Modalités de traitement HD, DP et porteur de greffon	7	0,2
Total	4 751	100,0

## Classement des patients transplantés sur la période de l'étude

Durant la période de l'étude, 2 265 patients ont eu une transplantation. Les patients transplantés de l'année avaient une moyenne d'âge de 50 ans *versus* 61 ans pour les patients dialysés. Au total 241 patients ont eu une greffe préemptive. Ces patients étaient dans 87 % des cas non diabétiques, et 93 % d'entre eux avaient moins de 69 ans.

Au total 95 % des patients transplantés de l'année ont été suivis sur les 12 mois de la période d'analyse. Les modalités de prise en charge avant la réalisation de la transplantation ont été recueillies à partir du mois de mars 2009. Parmi les patients ayant eu une transplantation après le mois de mars 2009 (1 813 patients sur 2 265), il était possible de déterminer la modalité de traitement suivie avant la transplantation.

Dans 36 % des cas, le patient était pris en charge en autodialyse avant sa transplantation, 31 % l'étaient en centre (cf. Annexe 2, Section 2.1.2, Tableau 16). La part des patients pris en charge en autodialyse avant la transplantation était décroissante avec l'âge, au profit d'une prise en charge en centre et dans une moindre mesure en UDM (cf. Annexe 2, Section 2.1.2, Tableau 17). Dans chaque tranche d'âge, la présence d'un diabète s'accompagne d'une prise en charge plus médicalisée.

### Encadré 9. Synthèse. Caractéristiques et classement de la population d'analyse

La majorité des patients (89 %) avait une prise en charge stable sur la période de l'étude. Parmi ces patients, 39 % étaient porteurs de greffon, 57 % était en hémodialyse (dont 70 % en centre) et 4 % étaient en dialyse péritonéale (dont 42 % en DPCA assistée).

Le profil des patients, défini par le statut dans la pathologie (prévalent, incident ou décédé), l'âge et la présence de diabète, étaient différents selon que le patient avait une prise en charge stable, mixte ou était transplanté sur la période d'étude (cf. Tableau 18 et 19) :

#### Selon l'âge et la présence de diabète (cf. Annexe 2, Section 2.1.3, Tableau 18) :

- La répartition des patients selon l'âge et la présence de diabète était relativement équivalente selon que la prise en charge était stable ou mixte sur la période de l'étude. Dans les deux groupes de patients, la part des patients âgés de 45 à 69 ans non diabétiques était prépondérante (34 % chez les patients stables et 37 % chez les patients mixtes).
- Les caractéristiques des patients transplantés sur la période d'étude étaient différentes de celles des autres patients : les patients transplantés de l'année étaient plus jeunes (31 % de patients âgés de 18-44 ans), et la part de patients diabétiques était plus faible (18 % vs 23 % parmi les patients dialysés).

#### Selon le statut du patient sur la période de l'étude (cf. Annexe 2, Section 2.1.3, Tableau 19) :

- Patients avec une prise en charge stable : 82 % étaient prévalents, 11 % incidents.
- Patients avec une prise en charge mixte : le taux de patients incidents était plus élevé (25 %), l'ajustement progressif à la meilleure modalité de prise en charge lors de l'initiation du traitement de suppléance d'un patient semble expliquer ce constat.
- Patients transplantés : 87 % étaient prévalents, 10 % ont bénéficié d'une greffe préemptive (patients incidents).

#### 4.2.2 Coût mensuel de prise en charge d'un patient prévalent stable sur la période de l'étude

Le coût de prise en charge d'un patient, en fonction des différentes modalités de traitement de l'IRCT, a été estimé à partir des montants financés par l'Assurance maladie en 2009 sur la population des patients prévalents stables. Ce choix se justifie par la volonté de ne pas inclure un éventuel surcoût lié à la mise en dialyse ou au décès ou à de nombreux changements de modalité de traitement. Un coût mensuel et non annuel a été estimé afin de prendre en compte le temps passé dans la modalité de suppléance et de pouvoir alimenter le modèle statistique qui évalue l'efficacité des stratégies de prise en charge.

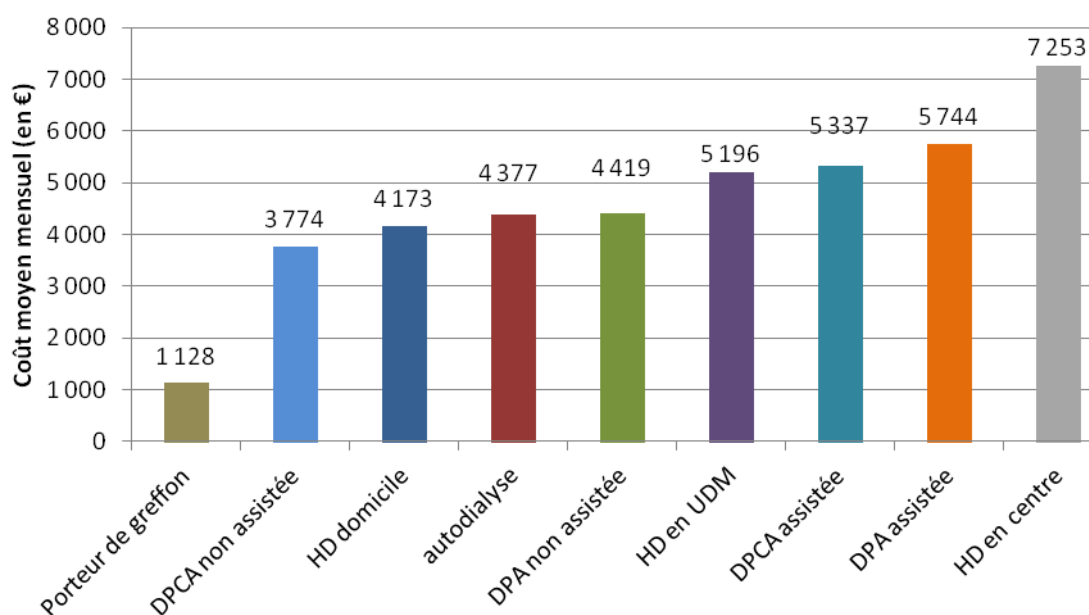
Pour ces patients, les facteurs de variation du coût de traitement ont été analysés selon l'âge, la présence ou non de diabète et par postes de coûts.

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

47 862 patients de la population d'analyse avaient une prise en charge stable et étaient prévalents sur la période de l'étude<sup>57</sup>. Le coût moyen mensuel<sup>58</sup> (+/-écart-type) variait fortement selon la modalité de dialyse de la façon suivante (cf. Figure 3

Tableau 20).

**Figure 3. Coût moyen mensuel par modalité de traitement pour un patient prévalent stable**



Une analyse de la variance (ANOVA)<sup>59</sup> indiquait que les coûts moyens mensuel étaient significativement différents selon les modalités de traitement, ou du moins qu'à minima une modalité de traitement avait un coût moyen mensuel différent des autres modalités (test F de Fisher : p-value < 0,0001). Même en supprimant la modalité « porteur de greffon », la différence

<sup>57</sup> Au total, 47 961 patients étaient prévalents avec une prise en charge stable sur la période de l'étude. Pour l'analyse du coût mensuel d'un patient prévalent stable par modalité de traitement, les 99 patients qui étaient classés dans une modalité d'entraînement mixte (HD et DP) n'ont pas été pris en compte.

<sup>58</sup> Le calcul d'un coût annuel n'est possible que pour les patients prévalents qui ont été observés sur l'ensemble de la période d'analyse : coût mensuel \* 12 mois. Ainsi, le coût annuel d'un patient pris en charge au moins 75 % du temps de traitement était de : 87 036 € en hémodialyse en centre, 68 928 € en DPA assistée, 64 044 € en DPCA assistée, 62 352 € en UDM, 53 028 € en DPA non assistée, 52 512 € en autodialyse, 50 064 € en hémodialyse à domicile, 45 288 € en DPCA non assistée et 13 536 € pour les porteurs de greffon.

<sup>59</sup> L'ANOVA permet de tester l'hypothèse H0 que les coûts moyens des différentes modalités de traitement sont égaux.

entre modalités restait significative. Les coûts médians étaient également significativement différents (test de Kruskal Wallis<sup>60</sup> : p-value < 0,0001).

Les coûts moyens étaient proches des coûts médians (moins de 100 € d'écart) et la variabilité des coûts estimés était relativement peu élevée pour la quasi-totalité des modalités de traitement. Deux modalités de traitement faisaient exception : l'hémodialyse en centre (écart-type : 2 163) et les porteurs de greffon (écart-type : 1 148).

Pour ces deux modalités, des valeurs extrêmes hautes ont été observées (cf. Annexe 2, Section 2.2.1, Figure 4), mais, après analyse, elles ne se sont pas révélées être aberrantes. Ces valeurs correspondaient à des situations cliniques sévères et témoignaient de l'hétérogénéité des patients dans ces modalités de traitement.

**Tableau 20. Distribution des coûts mensuels par modalité de traitement**

Modalité de traitement	Effectif	Moyenne IC95 %	Écart-type	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur
HD centre	15 158	7 253 [7 219 ; 7 287]	2 163	6 999	5 952	8 412
DPA assistée	149	5 744 [5 435 ; 6 053]	1 907	5 821	4 793	6 796
DPCA assistée	583	5 337 [5 189 ; 5 485]	1 819	5 336	4 305	6 426
HD UDM	2 488	5 196 [5 129 ; 5 264]	1 706	5 120	4 301	6 141
DPA non assistée	533	4 419 [4 293 ; 4 545]	1 484	4 440	3 922	5 118
HD autodialyse	5 882	4 377 [4 339 ; 4 415]	1 495	4 403	3 731	5 138
HD domicile	237	4 173 [3 940 ; 4 406]	1 821	4 049	3 179	5 049
DPCA non assistée	306	3 774 [3 622 ; 3 926]	1 348	3 796	3 182	4 535
Porteur de greffon	22 526	1 128 [1 113 ; 1 143]	1 148	840	589	1 267
Total	47 862*	3 812	3 155	3 335	870	6 221

\* hors modalités d'entraînement

Le modèle, qui a pour objectif d'évaluer l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge des patients en IRCT, a été alimenté à partir des coûts moyens mensuels relatifs à un patient prévalent stable, en prenant en considération l'âge et la présence de diabète (cf. ci-dessous).

► **Coût mensuel d'un patient prévalent stable selon l'âge et la présence de diabète**

Le coût moyen mensuel d'une modalité de traitement variait selon les caractéristiques des patients pris en charge (cf. Tableau 21).

- Le traitement des patients diabétiques impliquait un coût moyen mensuel plus élevé, quelle que soit la modalité de traitement, notamment pour les patients jeunes. Cependant, la stratification de la population relative aux prévalents stables selon l'âge et le diabète a conduit à obtenir de faibles effectifs chez les jeunes diabétiques dont il faut tenir compte dans l'interprétation des résultats.
- Le traitement des patients non diabétiques impliquait des coûts moyens moins fluctuants en fonction de l'âge.

<sup>60</sup> Test de Kruskal Wallis : ce test utilise non pas les valeurs prises par les observations, mais le rang de ces observations. Il permet de tester si k échantillons indépendants sont issus de la même population.

L'hémodialyse en centre restait la modalité la plus coûteuse et la DPCA non assistée et la greffe les moins coûteuses et cela quel que soit l'âge et la présence de diabète. La dialyse péritonéale assistée (DPA et DPCA) conservait sa seconde place dans le classement des coûts. En revanche, l'hémodialyse en UDM était, en moyenne, plus coûteuse que la DPCA assistée pour les patients de 45-69 ans et pour les plus de 70 ans non diabétiques.

**Tableau 21. Coût moyen mensuel en euros (réajusté pour les petits effectifs) par modalité de traitement selon l'âge et la présence de diabète, pour les 47 862 patients prévalents stables**

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
Effectif	634	8 364	5 049	19 156	4 220	10 439
HD centre	8 298	6 915	7 992	6 964	7 736	6 916
DPA assistée	6 717	5 550	6 543	6 274	5 796	5 265
DPCA assistée	6 018	4 850	6 497	4 899	5 923	4 932
HD UDM	5 886	4 739	5 810	5 136	5 425	5 003
DPA non assistée	5 376	4 208	4 984	4 324	5 118	4 085
HD autodialyse	5 360	4 083	4 940	4 304	4 696	4 340
HD domicile	5 038	4 159	5 439	4 118	4 374	3 484
DPCA non assistée	4 382	3 214	4 093	3 856	4 295	3 462
Porteur de greffon	2 091	1 043	1 640	1 075	1 475	1 038

► **Coût mensuel d'un patient prévalent stable par poste de coûts**

**Encadré 10. Point de méthode : définition des postes de coûts**

Le coût de prise en charge d'un patient en traitement de suppléance pour IRCT a été estimé à partir de l'intégralité des montants remboursés pour les soins réalisés au cours de la période de l'étude. **Toutes les consommations identifiées en lien ou non avec le traitement de suppléance ont été prises en compte dans le périmètre des coûts.**

Le coût global mensuel a été ventilé par postes de coûts en distinguant le coût moyen mensuel associé aux postes suivants :

- les séances de dialyse réalisées dans les établissements publics ou privés, les hospitalisations pour suivi de greffe et les hospitalisations pour rejet de greffon (noté par la suite « traitement de suppléance ») ;
- les autres hospitalisations, pour un autre motif que le traitement de suppléance (noté par la suite « autres hospitalisations »). Dans ce cas, les séances de dialyse potentiellement réalisées au cours de ces séjours ne sont pas comptabilisées dans le poste « traitement de suppléance », mais sont intégrées aux séjours comptabilisés dans le poste « autres hospitalisations ». Le cas particulier des hospitalisations pour insuffisance rénale avec dialyse<sup>61</sup> a été pris en compte dans le poste « autres hospitalisations », car ces hospitalisations sont considérées comme des accidents de parcours ;
- le transport ;
- les soins infirmiers ;

<sup>61</sup> GHM codé 11K021 ou 11K022 ou 11K023 ou 11K024 ou 11K02J.

- la pharmacie ;
- le forfait dialyse tierce personne ;
- la biologie ;
- les dispositifs médicaux ;
- les honoraires ;
- les soins auxiliaires.

Les différences de financement des soins entre les établissements publics et privés sont à prendre en considération dans l'interprétation de la répartition des coûts par postes :

- dans le public, le GHS prend en compte à la fois la séance de dialyse, les honoraires du médecin qui surveille la dialyse, la pharmacie, la biologie ;
- dans le privé, la tarification de la séance de dialyse est faite par la facturation d'un forfait D payé à l'établissement, et la facturation d'un acte pour le médecin qui surveille la séance de dialyse (honoraires) et de toutes les autres consommations de soins.

Les résultats de l'analyse du coût de traitement d'un patient prévalent stable par poste de coûts doivent être interprétés avec précautions compte tenu de l'hétérogénéité du financement des soins entre les établissements publics et privés et en raison de certains effectifs faibles. Les principaux constats de cette analyse par poste de coûts étaient les suivants (cf. Tableau 22, page 103) :

- la part du coût associé au poste « traitement de suppléance » dans le coût moyen mensuel était variable selon la modalité de prise en charge : de plus de 55 % pour l'HD centre à 35 % pour la DPCA assistée. Le coût moyen du traitement de suppléance en hémodialyse à domicile (2 737 €) qui concernait 237 patients, était légèrement supérieur à celui de l'autodialyse (2 550 € pour 5 882 patients). En revanche, le coût médian était plus bas en HD domicile. Ceci s'explique peut-être par un certain nombre de patients « extrêmes » en dialyse quotidienne à domicile.
- le poste « autres hospitalisations » représentait entre 13 et 16 % du coût moyen mensuel pour les modalités de DP, entre 5 et 9 % pour les modalités d'HD et 22 % pour les patients porteurs de greffon (les causes d'hospitalisation ont été analysées dans le paragraphe suivant) ;
- le poste « transport » représentait une part importante du coût moyen mensuel pour les modalités de traitement d'hémodialyse : 20 % pour l'hémodialyse en centre, 20 % pour l'UDM<sup>62</sup>, 17 % pour l'autodialyse. Le montant mensuel moyen était de 1 421 € en moyenne pour le centre et 742 € pour l'autodialyse ;
- le poste « soins infirmiers » représentaient 26 % du coût moyen mensuel pour la DPA assistée et 37 % pour la DPCA assistée ;
- le poste « pharmacie » représentait 54 % du coût moyen mensuel pour les patients porteurs de greffon, et entre 10 et 12 % pour la DPA et la DPCA non assistées et pour l'hémodialyse à domicile ;
- le poste « forfait dialyse tierce personne » représentait entre 7 et 8 % du coût moyen mensuel pour la DPA et la DPCA non assistées et pour l'hémodialyse à domicile ;
- le poste « dispositifs médicaux » était deux fois plus important en moyenne pour les modalités de traitement de DP assistée, que pour les modalités de DA non assistée.

Une représentation graphique pour chaque modalité de traitement est proposée en Annexe 2 (Section 2.2.1, Figure 5 : part du coût moyen mensuel de chaque poste de coûts dans le coût total moyen mensuel).

<sup>62</sup> En 2009, la plupart des UDM étaient adossées aux centres de dialyse.

**Tableau 22. Coût moyen mensuel d'un patient prévalent stable par poste de coûts et part du coût de chacun de ces postes dans le coût total moyen mensuel (% colonne)**

Poste de coûts	HD en centre	DPA assistée	DPCA assistée	HD en UDM	DPA non assistée	HD autodialyse	HD domicile	DPCA non assistée	Porteur de greffon
<b>Effectifs</b>	<b>15 158</b>	<b>149</b>	<b>583</b>	<b>2 488</b>	<b>533</b>	<b>5 882</b>	<b>237</b>	<b>306</b>	<b>22 526</b>
Traitement de suppléance	4 024 55,5 %	2 507 43,6 %	1 894 35,5 %	2 850 54,8 %	2 631 59,5 %	2 550 58,3 %	2 737 65,6 %	2 010 53,3 %	47 4,2 %
Autres hospitalisations	646 8,9 %	869 15,1 %	708 13,3 %	402 7,7 %	654 14,8 %	287 6,6 %	228 5,5 %	615 16,3 %	250 22,2 %
Transport	1 421 19,6 %	143 2,5 %	129 2,4 %	1 020 19,6 %	87 2,0 %	742 17,0 %	76 1,8 %	105 2,8 %	58 5,1 %
Soins infirmiers	141 1,9 %	1 514 26,4 %	1 975 37,0 %	75 1,4 %	97 2,2 %	49 1,1 %	24 0,6 %	141 3,7 %	19 1,7 %
Pharmacie	359 4,9 %	403 7,0 %	330 6,2 %	399 7,7 %	430 9,7 %	394 9,0 %	510 12,2 %	383 10,1 %	610 54,1 %
Forfait dialyse tierce personne	0 0,0 %	1 0,0 %	1 0,0 %	0 0,0 %	288 6,5 %	0 0,0 %	341 8,2 %	290 7,7 %	0 0,0 %
Biologie	138 1,9 %	92 1,6 %	85 1,6 %	160 3,1 %	87 2,0 %	164 3,7 %	99 2,4 %	84 2,2 %	58 5,1 %
Dispositifs médicaux	69 1,0 %	84 1,5 %	91 1,7 %	41 0,8 %	45 1,0 %	28 0,6 %	33 0,8 %	41 1,1 %	21 1,9 %
Honoraires	429 5,9 %	88 1,5 %	77 1,4 %	228 4,4 %	88 2,0 %	146 3,3 %	98 2,3 %	93 2,5 %	62 5,5 %
Soins d'auxiliaires	13 0,2 %	32 0,6 %	32 0,6 %	5 0,1 %	6 0,1 %	3 0,1 %	4 0,1 %	7 0,2 %	3 0,3 %
Autre	14 0,2 %	12 0,2 %	17 0,3 %	19 0,4 %	6 0,1 %	15 0,3 %	22 0,5 %	4 0,1 %	1 0,1 %
<b>Total</b>	<b>7 253</b>	<b>5 744</b>	<b>5 337</b>	<b>5 197</b>	<b>4 419</b>	<b>4 377</b>	<b>4 173</b>	<b>3 774</b>	<b>1 128</b>

Un focus a été effectué sur la répartition des postes de coûts pour les patients pris en charge en hémodialyse en centre qui était différente selon l'âge des patients et la présence de diabète (cf. Annexe 2, section 2.2.2, Tableau 21). Dans l'ensemble, les dépenses étaient plus élevées chez les patients diabétiques, quel que soit le poste de dépense.

### **Analyse des causes des autres hospitalisations, autres que pour le traitement de suppléance, des patients prévalents stables**

Les motifs d'hospitalisation ne concernant pas le traitement de suppléance (poste « autres hospitalisations ») ont fait l'objet d'une analyse, dans la mesure où ils représentaient une part non négligeable du coût global moyen mensuel, et que leur part pouvait être variable selon les modalités de traitement. Cette analyse non exhaustive a été réalisée dans un objectif d'analyse des facteurs de variation du coût selon la modalité de traitement et non dans un objectif clinique.

Parmi les 47 862 patients stables prévalents, 28 263 ont été hospitalisés au moins une fois au cours de la période pour un autre motif que leur traitement de suppléance. Le nombre moyen de séjours était plus élevé pour les patients pris en charge en dialyse péritonéale (en moyenne 5-6 séjours par patient vs 2-3 séjours pour les patients en hémodialyse) (cf. Tableau 23).

**Tableau 23. Nombre de séjours d'hospitalisation et de patients concernés, par modalité de traitement**

Modalité de traitement	Nombre de séjours	Nombre de patients	Pourcentage de patients hospitalisés	Nombre moyen de séjours par patient
DPA assistée	721	121	81,2 %	6
DPA non assistée	2 652	452	84,8 %	5,9
DPCA assistée	2 304	465	79,7 %	5
DPCA non assistée	1 234	251	82,0 %	4,9
HD domicile	308	128	54,0 %	2,4
HD UDM	4 681	1 674	67,3 %	2,8
HD centre	40 798	11 187	73,8 %	3,6
HD autodialyse	8 636	3 463	58,8 %	2,5
Porteur de greffon	29 386	10 522	46,7 %	2,8
Total	90 720	28 263	59,1 %	3,2

#### *Hospitalisation d'une journée, pour un autre motif que le traitement de suppléance*

Sur un total de 90 720 hospitalisations, 36 167 séjours (soit 40 %) étaient des séjours d'une journée, avec une date d'entrée et de sortie identique. Le pourcentage de séjours d'une journée était différent selon la modalité de traitement : entre 60 % et 70 % des hospitalisations duraient une journée pour les patients pris en charge en DP, entre 30 % et 47 % pour les patients pris en charge en HD et 49 % pour les patients porteurs de greffon.

Concernant les patients pris en charge en DP, entre 62 % et 64 % des séjours d'une journée étaient classés dans l'un des trois GHM suivants, ce qui laisse supposer qu'il s'agit d'hospitalisations pour réalisation de bilans (clairances) chez des patients par ailleurs traités à domicile :

- Explorations et surveillance pour affections du rein et des voies urinaires (GHM 11M18Z) ;
- Insuffisance rénale avec dialyse, en ambulatoire (GHM 11K02J) ;
- Insuffisance rénale, sans dialyse, très courte durée (GHM 11M06T).

En revanche, le classement par GHM des séjours d'une journée des patients pris en charge en HD était beaucoup plus varié.



### Motifs des autres hospitalisations, autre que pour le traitement de suppléance

Un classement des hospitalisations selon leur motif a été effectué de la façon suivante : infections liées ou non au traitement, cancer et pathologies cardio-vasculaires. La méthode de classification des causes d'hospitalisation est explicitée en Annexe 2, Section 1.4.

Les principaux constats de cette analyse étaient les suivants (cf. Annexe 2 et Section 2.2.3, et Tableau 24 au-dessous).

- La recherche des causes d'hospitalisation permettait d'expliquer entre 14 % et 23 % des séjours d'hospitalisation en dialyse péritonéale, entre 32 % et 40 % pour les patients en hémodialyse et 32 % pour les patients porteurs de greffon.
- Pour les patients traités en dialyse péritonéale, entre 5 % et 7 % des hospitalisations avaient pour motif un problème cardio-vasculaire. Ces hospitalisations représentaient entre 12 % et 16 % du coût des hospitalisations. Par ailleurs, les séjours pour infections liées au traitement ne représentaient qu'entre 2 % et 8 % des séjours, mais ils expliquaient entre 6 % et 14 % du coût total des hospitalisations. À noter que les hospitalisations pour infection étaient légèrement plus élevées en DP non assistée.
- Pour les patients traités en hémodialyse, entre 18 % et 20 % des hospitalisations avaient pour motif un problème cardio-vasculaire. Ces hospitalisations représentaient entre 25 % et 28 % du coût total des hospitalisations. Il n'a pas été possible de façon simple d'extraire de ce groupe les hospitalisations pour voie d'abord qui pourrait probablement expliquer cette plus grande proportion d'hospitalisations pour une pathologie cardio-vasculaire par rapport aux patients en DP.
- Pour les patients porteurs de greffon, 18 % des hospitalisations avaient pour motif un cancer, et ces séjours représentaient 14 % du coût. Les infections représentaient 6 % des séjours et 11 % des coûts.

Dans l'interprétation des motifs d'hospitalisation, il convient de tenir compte du *case-mix* des patients qui diffère d'une modalité de traitement à l'autre, et peut par exemple expliquer la part des hospitalisations pour pathologie cardio-vasculaire.

**Tableau 24. Répartition des séjours (% ligne) par causes d'hospitalisation, par modalité de traitement**

Modalité de traitement	Nombre de séjours	Infection tt	Infection autre	Cancer	Cardio	Autre
DPA assistée	721	2,36	1,53	5,41	4,85	85,85
DPA non assistée	2 652	6,94	0,94	4,03	4,94	83,14
DPCA assistée	2 304	5,43	2,26	2,39	6,25	83,68
DPCA non assistée	1 234	8,43	1,3	5,75	7,13	77,39
HD domicile	308	1,3	4,22	15,91	18,51	60,06
HD UDM	4 681	1,64	4,1	7,26	20,57	66,42
HD centre	40 798	1,57	4,41	6,4	19,19	68,42
HD autodialyse	8 636	0,72	2,99	10,5	17,99	67,8
Porteur de greffon	29 386	6,64	0	18,27	6,81	68,29

### **Encadré 11. Coût moyen mensuel d'un patient prévalent stable : principaux résultats**

Le coût moyen mensuel de prise en charge d'un patient prévalent stable variait selon la modalité de traitement et les caractéristiques des patients :

- L'hémodialyse en centre était la modalité de traitement la plus coûteuse (7 253 € en moyenne par mois), suivie par les modalités de DP assistée (5 744 € pour la DPA et 5 337 € pour la DPCA), et l'hémodialyse en UDM (5 196 €). La DPCA non assistée et la greffe étaient les modalités les moins coûteuses (respectivement 3 774 € et 1 128 €).
- Le traitement des patients diabétiques impliquait un coût moyen mensuel plus élevé notamment pour les patients jeunes, et ce quelle que soit la modalité de traitement.

L'analyse de la répartition du coût moyen mensuel par poste de coûts indiquait que la part du coût du traitement de suppléance représentait plus de 50 % du coût total mensuel, excepté pour les modalités de DP assistée du fait de l'importance du poste « soins infirmiers » (26 % pour la DPA et 37 % pour la DPCA). Le poste « transport » représentait une part importante pour les modalités d'hémodialyse (près de 20 %). Enfin, la majorité des coûts des patients porteurs de greffon concernait la pharmacie (54 %).

Une analyse non exhaustive des motifs d'hospitalisations, autres que pour le traitement de suppléance, a permis d'expliquer partiellement ces séjours. Une analyse plus poussée dans un objectif clinique devrait être réalisée.

### **4.2.3 Coût mensuel de prise en charge d'un patient transplanté sur la période de l'étude**

Les 2 265 patients transplantés au cours de la période de l'étude avaient un coût moyen mensuel de prise en charge de 6 011 € (écart-type 2 827 €, médiane 5 601 €). Le coût moyen de prise en charge le mois de la transplantation était de 25 802 € (écart-type 10 743 €, médiane 23 264 €).

#### **► Coût du mois de la transplantation et des mois suivants**

Les coûts mensuels de prise en charge des patients transplantés sur la période de l'étude étaient fluctuants selon les mois suivants la transplantation<sup>63</sup>. Le coût atteignait son maximum le mois de la transplantation et diminuait progressivement les mois suivants (cf. Tableau 25, page 107). Le coût mensuel moyen d'un patient était de 6 363 € le 1<sup>er</sup> mois suivant la transplantation et de 2 730 € le 6<sup>e</sup> mois après la transplantation (*versus* 1 128 € pour un patient prévalent stable porteur de greffon). Au-delà de 6 mois, les coûts sont décroissants et se stabilisent aux alentours de 1 500 € par mois au 11<sup>e</sup> mois.

Le coût moyen des 6 premiers mois de traitement post-transplantation a été utilisé dans le modèle évaluant l'efficacité pour calculer un coût additionnel pour chaque patient transitant vers la transplantation.

<sup>63</sup> À noter que les coûts ont été estimés sur les patients identifiés comme ayant eu un séjour pour transplantation rénale ; les nouveaux greffés avec arrêt de la fonction rénale sont donc pris en compte dans cette population.

**Tableau 25. Coût mensuel le mois de la transplantation et les mois suivants**

Mois	Effectif	Moyenne	Écart-type	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur
Mois de la greffe	2 265	25 802	10 743	23 264	19 423	28 981
Mois 1	2 130	6 363	6 495	5 054	3 206	7 677
Mois 2	1 962	5 229	4 978	3 848	2 349	6 496
Mois 3	1 770	4 458	3 946	3 428	2 095	5 371
Mois 4	1 591	3 565	4 729	2 362	1 379	3 933
Mois 5	1 400	2 974	4 042	1 884	1 165	3 359
Mois 6	1 205	2 730	2 911	1 815	1 129	3 098
Mois 7	1 032	2 368	3 119	1 458	928	2 569
Mois 8	814	2 273	091	1 348	875	2 487
Mois 9	609	2 205	3 137	1 311	820	2 289
Mois 10	398	1 786	2 488	1 127	801	1 827
Mois 11	196	1 522	1 499	1 123	836	1 644

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

Les coûts moyens mensuels le mois de la transplantation et le 6<sup>e</sup> mois après la transplantation ont été analysés selon l'âge des patients et la présence ou non de diabète (cf. Annexe 2, Section 2.3, et Tableau 25 ci-dessus) Le coût moyen mensuel de la transplantation était croissant avec l'âge et surtout avec la présence d'un diabète. En revanche, le coût du 6<sup>e</sup> mois après la transplantation était croissant avec l'âge pour les patients diabétiques, mais était relativement équivalent selon l'âge pour les patients non diabétiques.

### Par poste de coûts

Le poids des postes de dépense a été étudié le mois de la transplantation et les 6 mois suivants (cf. Annexe 2, Section 2.3, et Tableau 26 au-dessous). Le poids du traitement de suppléance était très important le mois de la transplantation (90 %) ; les mois suivants, les postes de dépenses les plus élevés concernaient la pharmacie (40 %), et, dans une moindre mesure, la biologie (8 %).

L'analyse du coût de traitement d'un patient porteur de greffon (cf. Tableau 22) montrait un impact encore plus important des coûts de pharmacie (54 %), mais en valeur absolue cela ne représentait que 610 € par mois *versus* 1 085 € pour les patients transplantés à 6 mois post-transplantation.

Le poids non négligeable des coûts de transport (9 % soit 249 € en moyenne, 91 € en médiane) dans cette population pourrait être l'objet d'une analyse complémentaire, sachant que ces coûts avaient une forte variabilité. Chez les patients prévalents stables porteur de greffon, ce coût moyen de transport s'élevait à 58 €.

#### ► Coût des transplantations préemptives

Le coût moyen mensuel pour les 241 patients transplantés sans avoir eu de traitement par dialyse auparavant était de 3 904 € (écart-type 2 359 €, médiane 3 339 €). Les coûts moyens le mois de la transplantation et les mois suivants pour ces patients étaient inférieurs à ceux des patients transplantés après une période de dialyse (cf. Tableau 26)

À noter que ces patients étaient dans 87 % des cas sans diabète (81 % chez les autres patients transplantés de l'année). L'âge moyen de ces patients était de 49 ans *versus* 50 ans pour les autres patients transplantés.

**Tableau 26. Coût mensuel le mois de la greffe et les 6 mois suivants, pour les patients avec une greffe préemptive**

Mois	Effectif	Moyenne	Écart-type	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur
Mois de la greffe	241	22 843	10 018	20 326	16 865	25 282
Mois 1	229	4 812	3 532	4 046	2 517	6 397
Mois 2	207	3 905	3 388	3 134	1 878	4 882
Mois 3	186	3 364	3 010	2 487	1 514	4 271
Mois 4	160	2 539	2 753	1 935	1 091	2 893
Mois 5	145	1 990	2 060	1 384	947	2 412
Mois 6	114	1 852	1 596	1 368	845	2 478

#### 4.2.4 Coût mensuel de prise en charge d'un patient incident sur la période de l'étude

6 606 patients avaient une prise en charge stable et étaient incidents sur la période de l'étude et 527 patients étaient incidents et décédés sur la période de l'étude.

Les patients ont été classés en 2 groupes (HD et DP) à partir des 8 modalités de traitement qui correspondaient à leur prise en charge sur plus de 75 % du temps de suivi sur la période.

##### ► Coût mensuel par mois de traitement

Pour les patients incidents, le coût moyen mensuel avait tendance à décroître dans le temps (cf. Annexe 2, Section 2.4, et Tableau 25) : le coût du 1<sup>er</sup> mois de traitement était en moyenne de 8 258 € quelle que soit la modalité de traitement et les caractéristiques des patients de ce groupe.

##### ► Coût du premier mois de traitement

Le coût du 1<sup>er</sup> mois de traitement était variable selon l'âge, la présence de diabète et la technique de traitement, dialyse péritonéale ou hémodialyse (cf.

Tableau 27). Le coût mensuel du 1<sup>er</sup> mois de traitement était plus élevé pour les patients traités en dialyse péritonéale que pour les patients traités en hémodialyse. Par ailleurs, quelle que soit la modalité de traitement, le coût du 1<sup>er</sup> mois de traitement était plus élevé pour les patients diabétiques par rapport aux patients non diabétiques.

Le modèle évaluant l'efficacité a utilisé ce coût du 1<sup>er</sup> mois de traitement par âge et présence de diabète selon la modalité de traitement HD ou DP pour calculer un coût additionnel lié au démarrage de la dialyse<sup>64</sup>.

---

<sup>64</sup> Pour calculer ce coût additionnel, les coûts mensuels des patients prévalents stables par âge et présence de diabète selon la modalité HD ou DP (cf. Annexe 2, Section 2.4, et Tableau 27) ont été retranchés aux coûts du 1<sup>er</sup> mois de traitement.

**Tableau 27. Coût du 1<sup>er</sup> mois de traitement des patients incidents selon l'âge, la présence de diabète et la technique de traitement DP et HD**

Âge et présence de diabète	Modalité	Effectif	Moyenne	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur	Écart-type
18-44 ans diabétiques	DP	10	13 345	12 114	3 635	19 487	9 978
	HD	79	9 467	8 095	4 973	11 268	6 999
18-44 ans non diabétiques	DP	72	10 882	7 346	3 547	15 026	11 691
	HD	489	7 716	5 364	2 885	8 818	13 683
45-69 ans diabétiques	DP	68	9 654	6 954	3 669	14 653	7 981
	HD	863	8 632	6 880	4 401	10 810	6 809
45-69 ans non diabétiques	DP	129	9 647	6 074	2 772	14 018	9 441
	HD	1564	7 797	5 824	3 246	9 339	10 717
70+ ans diabétiques	DP	119	11 244	8 957	4 716	15 892	8 860
	HD	1 206	8 667	7 080	4 599	10 658	7 434
70+ ans non diabétiques	DP	245	8 810	5 590	3 026	12 171	8 276
	HD	2 289	7 851	6 216	3 864	9 574	6 767

Le coût important de ce premier mois de traitement était lié aux postes de traitement de suppléance et des autres hospitalisations (cf. Annexe 2, Section 2.4, et Tableau 27).

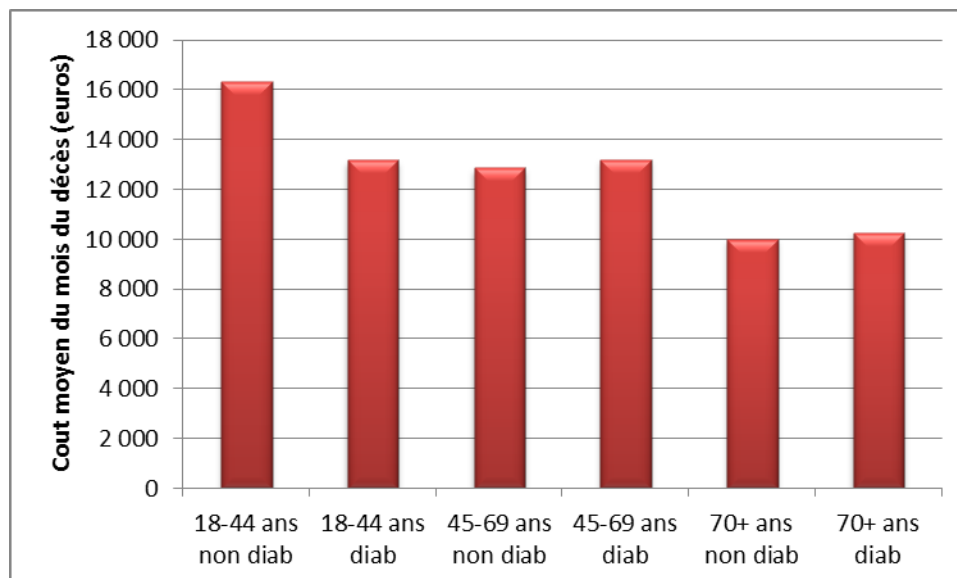
#### 4.2.5 Coût mensuel de prise en charge d'un patient décédé sur la période de l'étude

3 543 patients avaient une prise en charge stable et étaient décédés (prévalents-décédés) et 525 patients étaient incidents-décédés sur la période de l'étude (ces patients avaient des montants remboursés non nuls le mois du décès ou le mois antérieur<sup>65</sup>). Les patients décédés ont en moyenne été traités pendant 7,5 mois sur la période de l'étude.

Les coûts moyens du dernier mois de traitement étaient variables selon l'âge et le statut diabétique (cf. Figure 4).

<sup>65</sup> Au total, 3 552 patients étaient décédés sur la période de l'étude et 527 patients étaient incidents-décédés sur la période de l'étude. 9 patients décédés et 2 patients incidents-décédés ont été retirés de l'analyse du coût du dernier mois avant décès, car ils n'avaient aucun montant remboursé sur ce dernier mois.

Figure 4. Coût moyen du dernier mois de traitement selon l'âge et le statut diabétique



Le coût moyen du dernier mois de traitement a été évalué selon la modalité de traitement dans laquelle se trouvait le patient. Les coûts moyens du dernier mois de traitement étaient variables entre les modalités de traitement et pour chaque modalité, la distribution des coûts était hétérogène (cf. Tableau 28).

Le coût du dernier mois de traitement était en moyenne de 17 626 € pour les patients pris en charge en DPA non assisté et de 17 116 € pour les patients en HD domicile ; sachant que ces modalités de traitement concernaient peu de patients. Quant aux patients pris en charge en centre, modalité la plus coûteuse pour un patient prévalent stable, le coût du dernier mois de traitement était de 10 799 € *versus* 14 442 € pour les patients porteur de greffon (modalité la moins coûteuse pour un patient prévalent stable). Les patients pris en charge en DPCA assisté avaient le coût le plus faible. Ces résultats sont à prendre avec précaution étant donné la variabilité des coûts et les faibles effectifs concernés.

70 % des coûts du dernier mois de traitement correspondaient à des coûts pour d'autres hospitalisations, 14 % aux coûts du traitement de suppléance et 7 % à des coûts de transport. Pour les modalités DPA non assisté, hémodialyse à domicile, porteurs de greffon, DPA assisté et autodialyse, le poids des autres hospitalisations dans le coût du dernier mois de traitement représentait entre 80 % et 92 %. Ce poids était de 65 % pour les patients pris en charge en centre.

Le coût moyen du dernier mois de traitement par modalité a été utilisé dans le modèle évaluant l'efficacité comme un coût additionnel pour les patients transitant vers l'état décédé.

Tableau 28. Coût moyen du dernier mois de traitement selon les modalités de traitement

Modalité de traitement	Effectif	Moyenne	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur	Ecart-type
DPA non assistée	37	17 626	10 188	6 617	17 687	20 155
HD domicile	7	17 116	10 613	5 124	28 283	13 154
Porteur de greffon	239	14 442	8 758	2 908	20 253	17 546
DPA assistée	32	14 225	10 811	6 376	17 616	11 728
HD autodialyse	272	11 492	7 439	3 177	12 629	15 585
DPCA non assistée	41	11 403	7 976	4 641	12 570	12 102
HD UDM	175	11 036	7 301	3 349	14 564	11 645

Modalité de traitement	Effectif	Moyenne	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur	Ecart-type
HD centre	3076	10 799	8 206	4 694	13 489	10 075
Entraînement DP	3	10 230	7 053	5 956	17 680	6 475
Entraînement HD	13	9 187	7 526	4 894	14 671	6 071
DPCA assistée	173	7 879	6 328	3 565	10 721	5 956

#### 4.2.6 Coût mensuel d'un patient ayant une prise en charge mixte sur la période de l'étude

Les résultats concernant les patients « mixtes » ont été présentés en regroupant les modalités de traitement en HD, DP et porteur de greffon (cf. Tableau 29).

Les patients pris en charge selon plusieurs modalités de traitement d'hémodialyse ou de dialyse péritonéale sur la période de l'étude avaient des coûts moyens mensuels proches (respectivement 6 643 € et 6 732 €). Les patients classés dans plusieurs modalités de traitement de DP sur la période de l'étude avaient des coûts mensuels plus élevés que les patients stables classés dans une seule modalité de DP (probablement lié aux périodes de changement de technique). Les patients classés dans plusieurs modalités d'HD avaient des coûts mensuels plus bas que les patients stables en HD centre mais plus élevés que les patients stables dans les autres modalités d'hémodialyse.

Les patients porteurs de greffon sur une partie de la période avaient des coûts moyens mensuels moindres mais plus proches de ceux des dialysés que de ceux des porteurs de greffons stables.

**Tableau 29. Distribution des coûts mensuels selon les prises en charge mixtes**

Modalité de traitement	Effectif	Moyenne	Ecart-type	Médiane	Quartile inférieur	Quartile supérieur
Plusieurs modalités de traitement DP	299	6 732	4 169	5 508	4 243	7 448
Modalités de traitement DP et porteur de greffon	31	5 035	2 294	4 635	3 427	6 013
Plusieurs modalités de traitement HD	3494	6 643	3 010	6 165	4 965	7 660
Modalités de traitement HD et porteur de greffon	570	6 005	3 645	5 556	4 092	7 262
Modalités de traitement HD et DP	350	7 523	3 504	6 875	5 385	8 618
Modalités de traitement HD, DP et porteur de greffon	7	5 201	1 323	5 501	4 084	6 142



### 4.3 Conclusion : discussion des résultats et des limites de la méthodologie de l'étude

Cette étude mise en œuvre à partir des données du SNIIRAM-DCIR chaînées au PMSI de mars 2009 à février 2010 a permis d'estimer, du point de vue de l'Assurance maladie, le coût de prise en charge d'un patient en IRCT, selon les différentes modalités de traitement et en tenant compte d'un nombre important de facteurs de variations de différentes natures.

Le coût de prise en charge d'un patient en IRCT dépendait de sa modalité de traitement (9 modalités de traitement), de ses caractéristiques (âge, présence ou non de diabète) et de sa trajectoire sur la période de l'étude (démarrage du traitement de suppléance, changement de traitement, décès).

Le coût moyen mensuel de traitement d'un **patient prévalent avec une prise en charge stable** sur la période de l'étude était variable selon la **modalité de traitement**. Le classement des modalités de traitement, de la plus coûteuse à la moins coûteuse était le suivant : hémodialyse en centre, DPA assistée, DPCA assistée, hémodialyse en UDM, DPA non assistée, autodialyse, hémodialyse à domicile, DPCA non assistée et les patients porteurs de greffon (cf.

Tableau 20, et figure 1). Les variations mises en évidence dans les coûts moyens mensuels ont montré l'importance d'analyser le coût de traitement en fonction de la technique (hémodialyse, dialyse péritonéale et greffe) mais aussi de l'organisation liée à la modalité de prise en charge (en particulier, lieu de traitement et assistance ou non d'une infirmière).

**L'âge des patients et leur état clinique** avaient un impact sur le coût du traitement de suppléance. Des variations dans les coûts moyens mensuels ont été constatées selon l'âge et la présence ou non de diabète, ce qui a justifié la mise en œuvre d'analyses en sous-populations dans le modèle permettant d'évaluer l'efficacité des stratégies de prise en charge (cf. chapitre 5).

Chez les patients prévalents stables, la prise en charge des patients diabétiques impliquait un coût moyen mensuel plus élevé, quelle que soit la modalité de traitement, et en particulier, pour les patients jeunes. Chez les patients non diabétiques, les coûts moyens étaient moins fluctuants en fonction de l'âge.

**Le statut du patient sur la période de l'étude** était également un facteur de variation du coût de traitement. En effet, le coût moyen mensuel était différent selon que le patient était prévalent, incident, décédé ou transplanté sur la période de l'étude. Des coûts additionnels ont été constatés le mois de démarrage du traitement de suppléance en hémodialyse et en dialyse péritonéale, le mois de la transplantation et le mois du décès par rapport au coût moyen mensuel d'un patient prévalent avec une prise en charge stable.

Pour les patients ayant une **prise en charge mixte** – avec plusieurs modalités de traitement sur la période de l'étude – les coûts moyens mensuels étaient plus élevés que chez les patients stables et la dispersion des coûts était également plus importante. Les données disponibles ne permettaient cependant pas d'approfondir ces constats ou de reconstituer le coût exact des trajectoires de soins des patients mixtes.

Cette étude a été réalisée d'une part, afin d'évaluer le coût de prise en charge d'un patient en IRCT en fonction des différentes modalités de traitement et étudier les principaux facteurs de variation du coût de prise en charge, et, d'autre part, afin d'alimenter le modèle permettant d'évaluer l'efficacité des stratégies de prise en charge (cf. chapitre 5, section 5.1.3). Elle comportait un certain nombre de limites principalement liées à la méthode d'analyse et aux caractéristiques des données.

#### ► Limites concernant la sélection de la population d'analyse

Les critères de sélection de la population d'analyse (excluant les enfants, les autres régimes et les personnes n'ayant pu être classés en raison de données manquantes ou incohérentes) n'avaient

pas pour objet de permettre une sélection exhaustive de la population traitée pour IRCT en France sur la période de l'étude. L'identification de la population d'analyse a été réalisée de façon à ce que l'information disponible permette d'étudier, de la façon la plus précise possible, les différentes modalités de traitement et les coûts associés ; elle n'avait pas pour objectif d'évaluer le coût global de la prise en charge de l'IRCT pour l'Assurance maladie. Le groupe de travail s'est accordé sur le choix de la définition de la population dont la répartition entre les différentes modalités de traitement correspondait en proportion aux données observées dans le registre REIN.

L'utilisation de données portant sur les patients d'une année donnée n'a pas permis de prendre en compte l'ancienneté des patients dans la maladie et dans leurs modalités de traitement. Les patients ont donc été classés à partir des seules informations disponibles cette année-là. Afin de tenir compte des variations de coûts importantes liées à certains événements dans la trajectoire des patients, ceux-ci ont été séparés selon qu'il s'agissait de patients incidents, de patients décédés ou de patients greffés durant la période de l'étude. Les autres patients ont été classés comme « prévalents ». Cela revient à faire l'hypothèse qu'en dehors de ces événements, les coûts sont stables dans le temps, ce qui nécessiterait d'être vérifié sur des données longitudinales portant sur plusieurs années. Ainsi, certains événements comme le retour en dialyse après échec de greffe n'ont pas pu être estimés.

La reconstitution des trajectoires des patients dans les modalités de traitement à partir des dates entrées-sorties des séjours hospitaliers (PMSI) et des consommations de soins (mois de soins, DCIR), n'a pu être effectuée : les dates de traitement dans le PMSI et le SNIIRAM-DCIR n'étaient pas concordantes (date ou mois de soins) et non suffisamment fiables pour décomposer les trajectoires de chaque patient (les dates dépendent des règles de facturation de chaque établissement).

Les biais et les limites des données de facturation ont justifié la nécessité d'établir des règles de classement à partir du calcul du temps passé dans chaque modalité et de la part de chaque modalité de traitement dans la durée totale.

Pour les patients ayant passé au moins 75 % de leur temps sur la période de l'étude dans une seule modalité de traitement, le choix a été fait de les classer dans cette modalité principale et de les considérer comme des « patients stables ». Tous les coûts de la période de l'étude ont été imputés à cette modalité principale, alors que certains patients ont pu bénéficier durant cette même période d'autres traitements de suppléance. Selon le groupe de travail ce choix est cohérent dans la mesure où les changements de traitement sur une courte période (moins de 25 % de leur temps de traitement) peuvent être assimilés à des phases d'adaptation de traitement, des « erreurs » de parcours ou des replis. Compte tenu des données disponibles, ces choix méthodologiques permettaient de prendre en compte au mieux le temps passé dans une modalité à partir des données médico-administratives disponibles. Ce critère de décision à 75 % implique que l'estimation du coût des patients d'une modalité de traitement soit « pollué » à la marge par des coûts liés à une autre modalité de traitement si le différentiel entre les 2 modalités est important. Par exemple, un patient porteur d'un greffon fonctionnel qui serait transféré vers l'HD centre sur les 2 derniers mois de la période entraînerait une surestimation du coût d'un porteur de greffon puisque le coût annuel est rapporté à cette modalité. A l'inverse, un patient ayant passé 9 mois en HD centre après 3 mois de DPCA non assistée entraînerait une sous-estimation du coût de l'HD centre puisque le coût annuel est rapporté à cette modalité.

Les patients porteurs de greffons et non hospitalisés sur la période de l'étude ont été repérés à partir de leur consommation d'au moins 3 immunosuppresseurs. L'utilisation de ces médicaments traçeurs a pu conduire à une légère surestimation du nombre de ces patients (traitement par immunosuppresseur pour autre motif que la greffe rénale, greffe d'un autre organe ou maladie auto-immune). A l'inverse, des patients porteurs d'un greffon et n'ayant que 2 immunosuppresseurs et non hospitalisés sur la période ont été exclus. Cette légère incertitude sur le volume des patients porteurs de greffons devrait cependant ne pas avoir de conséquence sur l'estimation du coût moyen.

### ► Limites concernant l'estimation des coûts

La perspective adoptée pour l'estimation des coûts est celle de l'Assurance maladie. Elle ne prend en compte l'ensemble des ressources consommées dans la production des interventions étudiées quel qu'en soit le financeur (les patients, les fournisseurs de soins<sup>66</sup>, les assurances complémentaires, l'Etat, etc.). Ce choix a été justifié par l'impossibilité d'estimer l'ensemble des coûts compte tenu des données disponibles.

Le périmètre des coûts pris en compte a permis d'estimer le coût global moyen d'un patient stable en traitement de suppléance pour IRCT à partir de l'intégralité des montants financés par l'Assurance maladie sur la période qu'ils soient relatifs aux coûts du traitement en lui-même (en particulier, séances de dialyse et forfaits) ou au traitement des complications et des comorbidités associées (liées ou non à l'IRCT). La classification des consommations de soins en relation ou non avec le traitement de l'IRCT étant trop complexe, il n'a pas été possible d'estimer uniquement le coût du traitement de suppléance. Les variations du coût de prise en charge ont été estimées en fonction de l'âge et de la présence de diabète. La stratification de la population concernant d'autres comorbidités (par exemple, la présence d'une comorbidité cardio-vasculaire) aurait conduit à des effectifs trop faibles dans certaines sous-catégories de populations. Les hospitalisations, étant considérées comme un poste de dépense important (en dehors des forfaits de dialyse), ont fait l'objet d'une analyse mettant en évidence le coût des hospitalisations liées au traitement de suppléance et le coût lié aux autres causes d'hospitalisation. En revanche, pour les consommations de soins de ville, il n'était pas possible de procéder à la même analyse.

Le SNIIRAM-DCIR et le PMSI sont des bases de données mises en œuvre dans le cadre d'un système de tarification. Si elles permettent de quantifier les ressources entrant dans la production des interventions évaluées, les modes de tarification variables selon le statut des établissements limitent la comparaison des coûts et également l'analyse par postes de dépenses (différence de tarification des séances de dialyse entre les établissements publics, et les établissements privés).

L'étude a été conduite à partir de données datant de 2009-2010. Il est fort probable que certains coûts aient évolué, soit à la hausse (comme la révision de certains forfaits de dialyse péritonéale ou l'utilisation de nouveaux traitements immunosuppresseurs) ou à la baisse (comme dans le cas de la révision forfaits d'hémodialyse en centre en 2013).

Les règles de classement à partir du calcul du temps passé dans chaque modalité de traitement ne permettent pas de rendre compte de l'évolution des coûts selon l'ensemble des événements de la trajectoire ; si les coûts ont été étudiés pour les patients démarrant un traitement de suppléance, les patients décédés, les patients transplantés, d'autres coûts de transition n'ont pas été envisagés ; par exemple, le coût d'un retour en dialyse après un échec de greffe ou celui lié à la transplantation d'un second greffon, le coût d'un repli de la DP en HD, etc. Du fait que l'étude soit fondée sur les remboursements pour un patient sur une période donnée, certains coûts ont été attribués à la modalité de traitement en cours pour le patient alors qu'elles concerneraient plutôt la modalité de traitement à venir. Ainsi, dans cette étude le bilan avant inscription sur liste d'attente est affecté à la dialyse et non à la greffe (à l'exception du typage HLA qui a été pris en compte dans le coût d'un greffon). A l'inverse, l'hospitalisation pour la création d'une fistule artérioveineuse a pu être imputée à la greffe rénale ou à la dialyse péritonéale pour un patient dont le transfert en hémodialyse est programmé.

---

<sup>66</sup> Du point de vue des fournisseurs de soins, cette étude n'avait pas pour objectif de remettre en cause la couverture des coûts réels par les tarifs. Une étude de l'ATIH est actuellement en cours : lancement d'un appel d'offre aux établissements pilotes en avril 2014.

## ► Conclusion

Au total, si cette analyse de coût présente certaines limites, elle a toutefois permis d'apporter des connaissances par rapport aux données françaises disponibles.

Elle a mis en évidence l'importance d'analyser les coûts en fonction de la technique et de l'organisation de la prise en charge (lieu de traitement, assistance ou non), des caractéristiques cliniques des patients, de leur trajectoire au cours de la maladie (démarrage, changement de traitement, décès).

Les coûts moyens mensuels par modalité de traitement pour un patient prévalent stable en fonction de l'âge et du statut diabétique et les coûts de transition liés au démarrage de la dialyse, à la transplantation et au décès ont permis d'alimenter le modèle sur lequel se fonde l'évaluation de l'efficacité des différentes stratégies de prise en charge des patients traités pour IRCT.

A l'issue de ce travail, en collaboration avec l'ABM sur les données du SNIIRAM, un groupe de travail a été mis en place afin d'aider la CNAMTS à identifier la cohorte des patients traités pour IRCT, à partir des algorithmes utilisés dans la présente étude.

En outre, les indicateurs développés, seront regroupés par l'Agence de la Biomédecine dans un entrepôt de données ou « Datamart » régulièrement alimenté par le SNIIRAM et mis à disposition des partenaires du registre REIN.

### **Encadré 12. Avis du groupe de travail**

Le groupe de travail souligne l'importance de cette étude qui analyse le coût de prise en charge des patients en IRCT, dans le contexte organisationnel français, selon 9 modalités de traitement et non uniquement selon la technique. Il souligne également que les résultats confirment la nécessité d'étudier les facteurs de variation du coût de traitement : caractéristiques cliniques des patients (âge et comorbidités), leur statut (incident, prévalent) ou leur état (transplanté, décédé) sur la période de l'étude.

Cette étude, fondée sur les données exhaustives du SNIIRAM-DCIR chaînées aux données du PMSI pour l'année 2009 a permis de mettre en évidence la richesse des informations mais aussi, leur complexité et les limites d'utilisation de ces données de facturation dans le cadre d'une évaluation médico-économique.

Le groupe de travail attire particulièrement l'attention sur les différences de financement des soins entre les établissements publics et privés qui sont à prendre en considération dans l'interprétation de la répartition des coûts par postes, sachant que dans le public (ex-dotation globale), le GHS prend en compte à la fois la séance de dialyse, les honoraires du médecin qui surveille la dialyse, la pharmacie, la biologie alors que dans le privé, la tarification de la séance de dialyse est faite par la facturation d'un forfait payé à l'établissement et la facturation d'un acte pour le médecin qui surveille la séance de dialyse et de toutes les autres consommations de soins.

L'étude a été conduite du point de vue de l'Assurance maladie ; le groupe relève cependant l'absence de prise en compte des arrêts de travail (considérés comme ne correspondant pas aux ressources nécessaires à la production des interventions étudiées dans l'analyse de référence de la HAS). Il reconnaît toutefois que leur impact en termes de coûts peut être jugé faible compte tenu de l'âge moyen de patients en traitement de suppléance.

D'un point de vue méthodologique, cette étude met en évidence l'importance de prendre en compte le temps passé dans les modalités de traitement sur la période de l'étude et de distinguer les coûts de prise en charge, des coûts additionnels liés aux changements dans la

trajectoire de soins des patients (démarrage du traitement par dialyse, transplantation, décès).

En particulier, les résultats de l'étude montrent la nécessité d'évaluer le coût de la dialyse péritonéale en fonction de la technique (DPA et DPCA) mais aussi de l'organisation de la prise en charge (assistance ou non d'une infirmière) comme cela est habituellement fait pour les traitements en hémodialyse. Ce constat permet de souligner à nouveau la difficulté de transposer les résultats des études de coûts étrangères dans le contexte français.

Pour la transplantation rénale, il regrette que les caractéristiques des données n'aient pas permis de distinguer le coût d'une greffe à partir d'un donneur décédé et à partir d'un donneur vivant.

Concernant les résultats de l'étude et le classement des modalités de traitement, certains experts remettent en cause la couverture des coûts réels par les tarifs de dialyse péritonéale qu'ils estiment trop faibles ce qui entraîne artificiellement un coût moindre pour les patients traités par cette technique.

Il est également souligné que cette étude de coûts, fondée sur la prise en charge globale d'un patient ne distinguant pas ce qui revient directement au traitement de l'IRCT, de ce qui revient aux comorbidités associées ou aux événements intercurrents, n'a pas pu rendre compte de la prise en charge pluridisciplinaire, par exemple chez certains patients âgés en traitement de suppléance.

Le groupe de travail a discuté des évolutions potentielles ayant pu intervenir depuis 2009 concernant les coûts et les caractéristiques des patients qui pourraient affecter la transposabilité dans le temps de l'estimation du coût de prise en charge par modalité de traitement :

- variation des coûts : par exemples, l'évolution des forfaits et le coût des nouveaux traitements immunosuppresseurs ;
- évolution de l'âge moyen des patients et de leurs comorbidités qui pourraient avoir un impact à la hausse sur les coûts de prise en charge.

Dans cette optique, le groupe de travail a souligné l'importance de la mise en place d'un entrepôt de données regroupant des données médico-économiques relatives à la prise en charge de l'IRCT qui pourront être actualisées chaque année.

## 5. Evaluation médico-économique des stratégies de prises en charge de l'IRCT en France

### Encadré 13. Evaluation médico-économique

#### Objectif

Le modèle sur lequel se fonde cette évaluation médico-économique a pour principal intérêt de disposer d'une représentation simplifiée de la réalité afin d'évaluer, selon un critère d'efficacité, différentes stratégies de prise en charge des patients traités pour IRCT en France, en tenant compte des possibilités d'évolution par rapport à la situation actuelle.

#### Méthode

Les stratégies de prise en charge évaluées ont été définies de manière à simuler des changements dans les trajectoires d'un certain volume de patients au cours du temps, dans dix modalités de traitements<sup>67</sup>.

Quatre axes majeurs d'évolution de la prise en charge ont été déterminés à partir des principales conclusions des études et des recommandations, des orientations fléchées par les autorités de tutelle, de l'avis des experts du groupe de travail et des préférences exprimées par les patients :

1. Le développement de la transplantation rénale.
2. Le développement des modalités de prise en charge en hémodialyse hors centre et la simulation de changements dans l'organisation de la prise en charge.
3. Le développement de la dialyse péritonéale, en privilégiant dans la mesure du possible l'autonomie (DPA et DPCA non assistées).
4. Une prise en compte intégrée de la trajectoire avec anticipation des changements permettant de préparer un transfert dans une autre modalité à niveau d'autonomie proche ou en anticipant une aggravation de l'état clinique ou une perte d'autonomie avec le temps.

L'évaluation a été mise en œuvre à partir d'un **modèle à compartiments déterministe en temps continu** permettant de modéliser les trajectoires des patients, en prenant en considération les possibilités de modifications dans le temps de la répartition des volumes de patients pris en charge dans les dix modalités de traitement. En l'absence de données d'utilité pour l'ensemble des modalités, une analyse coût-efficacité a été conduite.

Deux sources de données ont été utilisées : les données du registre REIN, pour retracer les trajectoires et les données du SNIIRAM-PMSI pour renseigner les paramètres de coûts (cf. chapitre 4).

Afin de tenir compte de l'hétérogénéité de la population d'analyse en termes de faisabilité de l'évolution des prises en charge simulées, six sous-populations ont été définies par tranche d'âge et statut diabétique.

Pour chaque sous-population, l'évaluation de l'efficacité des stratégies de prise en charge a été réalisée à partir de simulations sur le devenir d'une cohorte de 1 000 patients incidents sur 180 mois. La stratégie de base correspondait aux simulations du modèle fondées sur les données observées entre 2002 et 2009 (données REIN) ; elle a été comparée à différentes stratégies alternatives construites en modifiant la distribution initiale des patients dans les

<sup>67</sup> Hémodialyse en centre, en UDM, en unité d'autodialyse ou à domicile – dialyse péritonéale, DPA et DPCA assistée ou non – transplantation rénale à partir de donneurs décédés ou vivants.

différentes modalités de traitement et/ou les taux de transition entre les modalités de traitement. L'hypothèse sous-jacente étant que les caractéristiques d'une partie des patients traités en hémodialyse en centre étaient compatibles avec un autre mode de prise en charge, sans perte de chance.

L'ampleur des changements simulés a tenu compte de la faisabilité organisationnelle et des caractéristiques cliniques des patients.

## 5.1 Objectif et méthode

### 5.1.1 Objectif

La revue de la littérature a montré la place particulière qu'occupe la transplantation rénale parmi les différents modes de traitement, car elle est à la fois la plus efficace en termes de durée de vie et de qualité de vie, et la moins coûteuse, donc la plus efficiente. Le premier volet de ce rapport publié en 2012 avait ainsi pour objectif spécifique d'analyser les possibilités de développement de la transplantation rénale en France au regard d'aspects organisationnels, économiques et éthiques (3).

Concernant les autres traitements de suppléance, en dehors de quelques rares contre-indications absolues ou relatives, à ce jour, il n'existe pas de consensus médical sur les indications d'une modalité de dialyse par rapport à une autre (56). Il n'existe pas non plus de typologie permettant de définir des critères d'orientation des patients en fonction de leurs caractéristiques vers une technique de traitement (hémodialyse, dialyse péritonéale, transplantation) ou un mode d'organisation de la prise en charge défini en fonction du lieu de traitement (centre, unité de dialyse médicalisée, unité d'autodialyse, domicile) et du degré d'autonomie (assistance ou non par une infirmière). Le libre choix des patients de leur modalité de traitement est en outre spécifié dans le cadre réglementaire relatif à l'organisation de l'offre de soins<sup>68</sup>.

Les résultats de l'étude de coût rapportés précédemment ont par ailleurs montré que les modalités de traitement n'étaient pas équivalentes en termes de coût mensuel de prise en charge (cf. chapitre 4).

Les modes de suppléance de l'IRCT sont des traitements chroniques, qui pour un patient donné, évoluent dans le temps. L'évolution clinique d'un patient en IRCT est décomposée en une suite d'états de santé mutuellement exclusifs qui correspondent aux différents traitements de suppléance. Comparer les modalités de traitement deux à deux ne permet pas d'éclairer la décision selon un critère d'efficacité concernant la prise en charge pour un patient donné, sur sa vie en IRCT ou sur un horizon temporel défini.

Une approche en termes de **trajectoires des patients prenant en compte le temps passé dans les différentes modalités de traitement** semble par conséquent adaptée pour décrire les stratégies de prise en charge envisageables.

La revue de la littérature française et internationale n'a pas permis d'identifier d'évaluation médico-économique fondée sur une approche par trajectoire des patients traités pour IRCT. La mise en œuvre de cette évaluation qui se fonde sur un outil de modélisation peut être considérée comme une recherche exploratoire.

---

<sup>68</sup> Le guide du parcours de soins « Maladie rénale chronique de l'adulte » publié par la HAS en 2012, préconise, lorsqu'un traitement de suppléance est envisagé, de commencer la préparation dès le stade 4, essentiellement pour permettre au patient de faire le meilleur choix et de mettre en place le traitement de suppléance dans les meilleures conditions (160).

L'objectif principal de cette évaluation médico-économique était donc de déterminer l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge des patients en IRCT en tenant compte des possibilités d'évolution par rapport à la situation actuelle, dans une perspective d'aide à la décision publique. Dans ce cadre spécifique, l'évaluation médico-économique permet de comparer des changements dans les trajectoires d'un certain volume de patients sur la base de leurs résultats et de leurs coûts respectifs.

Pour répondre à cet objectif, plusieurs scénarios ont été définis en prenant en considération les possibilités de modification de la répartition du nombre de patients pris en charge dans les dix modalités de traitement existantes<sup>69</sup> : hémodialyse en centre, en UDM, en unité d'autodialyse ou à domicile – dialyse péritonéale, DPA et DPCA assistée ou non – transplantation rénale à partir de donneurs décédés ou vivants.

Le modèle développé sur lequel se fonde cette évaluation vise à clarifier les conséquences de processus décisionnels **au niveau macroéconomique et non individuel** – modification de la part d'utilisation des différentes modalités de traitement – et à simuler l'effet de politiques alternatives : développement de la transplantation rénale, choix des patients d'accéder à des traitements favorisant leur autonomie<sup>70</sup>, modification des pratiques professionnelles à l'initiation du traitement de suppléance, changements dans l'organisation de la prise en charge.

L'objectif de cette évaluation économique n'était pas :

- d'évaluer si le patient était pris en charge dans la « bonne » modalité de traitement ou d'aboutir à une typologie permettant d'orienter de façon « automatique » un patient vers une modalité de traitement ou une trajectoire prédéfinie ;
- de développer un outil de planification afin d'anticiper les évolutions de l'offre de soins ;
- de tirer de conclusions sur l'évolution des forfaits et tarifs à préconiser.

### 5.1.2 Choix méthodologiques pour l'évaluation médico-économique

Le guide méthodologique publié en 2011 présente les principes et les méthodes adoptés par la Haute Autorité de Santé pour la réalisation d'évaluations permettant de déterminer l'efficacité d'une intervention de santé (4).

La justification des choix structurants cette évaluation économique repose sur les recommandations méthodologiques définies dans ce guide afin de répondre aux exigences scientifiques auxquelles s'astreint la HAS tout en maintenant une capacité d'adaptation face aux spécificités des interventions étudiées.

Par ailleurs, les conséquences de ces choix méthodologiques ont été discutées dans la section 5.3 relative à l'analyse de l'incertitude associée aux résultats.

#### ► Méthode d'évaluation médico-économique et choix du critère de résultat

L'IRCT est une pathologie chronique sévère qui a des conséquences importantes en termes de survie et de qualité de vie, qui peuvent être différentes en fonction du traitement mis en œuvre, de la technique mais aussi de la modalité de prise en charge (38, 154).

<sup>69</sup> L'étude de coût prenait en compte 9 modalités de traitement ; dans le modèle, la transplantation rénale à partir de donneurs vivants et donneurs décédés a été distinguée.

<sup>70</sup> L'autonomie est définie au sens de la capacité du patient à assurer ou participer au déroulement de sa séance d'hémodialyse ou aux échanges en dialyse péritonéale et à la surveillance de son traitement.



La conduite d'une évaluation économique de type coût-utilité se justifiait pleinement pour prendre en compte l'impact et les différentiels de qualité de vie des patients liés aux différentes stratégies de prise en charge évaluées. Cependant, cette méthode d'évaluation n'a pu être mise en œuvre en raison de l'absence dans la littérature de données d'utilité, nécessaires au calcul des QALYs<sup>71</sup>, pour l'ensemble des dix modalités de traitement. Les données étrangères existantes n'étaient pas transposables au contexte français en raison de différences importantes en termes d'organisation des soins et de pratiques : l'offre de soins se différencie en termes de degré de médicalisation, d'organisation des soins et de localisation. En outre, des pratiques variables selon les pays peuvent être observées selon l'âge des patients et leur état clinique, par exemple dans le cas du recours à la DPA et DPCA, (assistée ou non), mais aussi de la transplantation (donneurs vivants et décédés) (14, 38, 57).

Par conséquent, la méthode retenue pour l'évaluation de l'efficacité est une analyse coût-efficacité dont le critère de résultat est la durée de vie.

### ► Perspective

La perspective adoptée pour l'évaluation des coûts était celle de l'Assurance maladie. Elle est plus restrictive que la perspective collective, recommandée dans le guide méthodologique de la HAS, qui prend en compte l'ensemble des financeurs (en particulier les fournisseurs de soins, les patients et les aidants) et des personnes concernées par les résultats de l'intervention de santé.

Dans le cadre de cette étude, compte tenu du critère de résultat, le choix d'une perspective restreinte impacte notamment la mesure des coûts. Or, ce choix se justifiait par l'impossibilité d'estimer l'ensemble des coûts<sup>72</sup>. L'impact de ce choix a été discuté dans la section 5.3.

### ► Population d'analyse

La population d'analyse correspondait à l'ensemble des patients âgés de plus de 18 ans, en traitement de suppléance pour insuffisance rénale chronique terminale. Le choix de ne pas prendre en compte les patients de moins de 18 ans se justifiait par le fait que la transplantation rénale était dans la majorité des cas la stratégie de traitement privilégiée pour ces patients et que le nombre de patients concernés était très faible (1 % des nouveaux cas arrivant au stade de suppléance (153)).

L'étude du coût de la prise en charge des patients en IRCT a montré que les caractéristiques des patients avaient un impact sur le coût de traitement. Des variations dans les coûts moyens mensuels des différentes modalités de traitement ont ainsi été constatées, selon l'âge et la présence de diabète. En outre, même s'il existe peu de contre-indications formelles à l'utilisation d'une modalité de traitement plutôt qu'une autre en fonction des caractéristiques des patients, l'efficacité attendue du traitement est estimée différente selon l'âge du patient<sup>73</sup> ; de même, la présence d'un diabète ou d'une ou plusieurs comorbidités cardio-vasculaires détériore également significativement la survie des patients (153).

Afin de tenir compte de l'hétérogénéité de la population d'analyse en termes de résultats de santé et de coûts, elle a été subdivisée en six sous-populations, définies en croisant la tranche d'âge à l'initiation du traitement de suppléance et la présence ou non de diabète<sup>74</sup> :

---

<sup>71</sup> Si l'analyse de référence est de type coût-utilité, le critère de résultat à privilégier est le QALY qui mesure la durée de vie ajustée sur la qualité de vie associée à la santé.

<sup>72</sup> Absence d'étude de coût concernant l'impact du traitement de suppléance sur les patients et les aidants pour toutes les modalités de prise en charge, données indisponibles sur les complémentaires santé, information sur les dépassements d'honoraires issues de sources déclaratives et incomplètes, estimation des coûts de production pour l'ensemble des fournisseurs de soins selon le statut de l'établissement de santé indisponible.

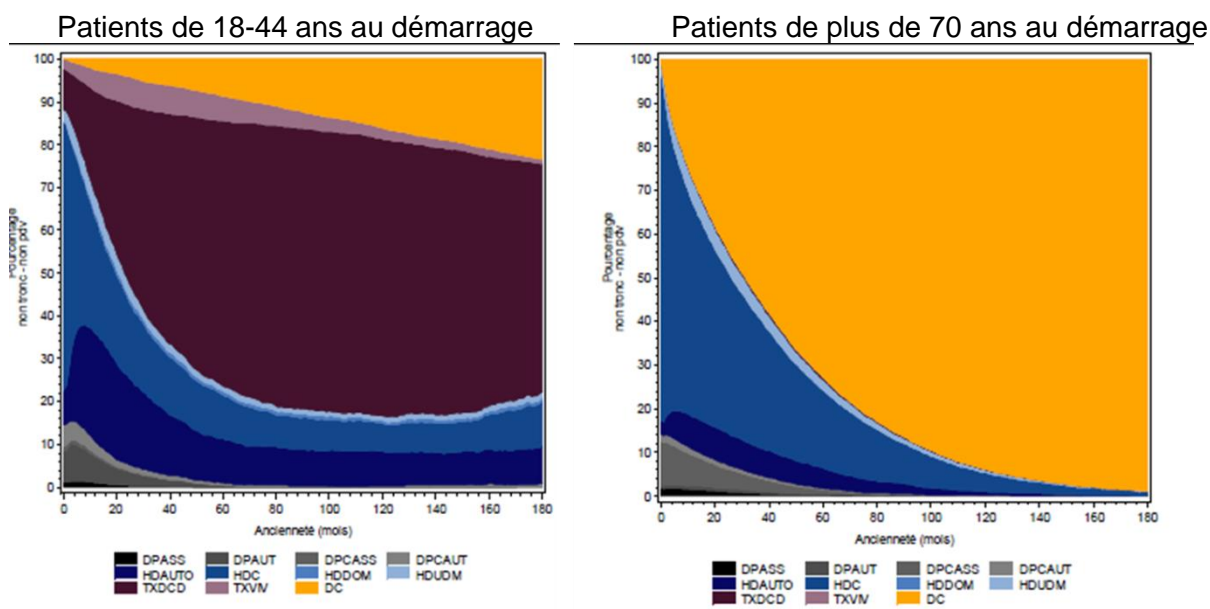
<sup>73</sup> Selon les données du registre REIN pour l'année 2011, la survie des patients de moins de 65 ans est de plus de 70 % à 5 ans ; chez les plus de 85 ans, elle n'est plus que de 15 % à 5 ans

<sup>74</sup> Une stratification sur l'âge, le diabète et l'existence d'une pathologie cardio-vasculaire aurait générer des effectifs trop faibles par strates.

- patients ayant entre 18-44 ans, non diabétiques ;
- patients ayant entre 18 et 44 ans, diabétiques ;
- patients ayant entre 45 et 69 ans, non diabétiques ;
- patients ayant entre 45 et 69 ans, diabétiques ;
- patients ayant 70 ans ou plus, non diabétiques ;
- patients ayant 70 ans ou plus, diabétiques.

Pour illustrer l'impact de l'âge sur le devenir d'une cohorte de patients incidents traités pour IRCT, la figure ci-dessous représente au cours du temps, depuis le démarrage d'un traitement de suppléance, la répartition des patients dans les dix modalités de traitement et le décès (données observées dans le registre REIN (7)).

**Figure 5. Répartition au cours du temps d'une cohorte de patients incidents à partir de la date du premier traitement de suppléance**



Dans ces graphiques l'abscisse représente le délai en mois depuis le démarrage du premier traitement de suppléance, l'ordonnée la répartition en pourcentage des patients dans les différentes modalités.

Les surfaces en bleus représentent les modalités d'hémodialyse (HDAUTO : HD autodialyse, HDC : HD centre, HDUDM : HD UDM), les surfaces en gris les modalités de dialyse péritonéale (DPASS et DPCASS : DPA et DPCA assistée, DPAUT et DPCAUT : DPA et DPCA non assistée), les surfaces en violet la transplantation rénale (TXDCD : transplantation à partir de donneurs décédés, TXVM : transplantation à partir de donneurs vivants) et la surface orange le décès (DC ; décès).

Dans la figure de gauche, chez les jeunes, la surface violette qui représente la modalité « greffe à partir de donneurs décédés » occupe la majeure partie du graphique. Dans ce groupe, à 24 mois, 36 % des patients étaient porteurs d'un greffon fonctionnel, à 144 mois, ils étaient 62 %.

Dans la figure de droite, chez les personnes-âgées, la surface orange qui représente le décès occupe la majeure partie du graphique. Dans ce groupe, à 24 mois, 63 % des patients étaient décédés ; à 144 mois, 96 % des patients étaient décédés.

### ► Données mobilisées dans l'évaluation économique

Une 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.

Deux sources de données ont été utilisées pour documenter ces trajectoires ainsi que les coûts et les résultats de santé qui y sont associées.

Les données du SNIIRAM exhaustif chaînées aux données du PMSI ont été utilisées pour renseigner les paramètres de coûts de l'évaluation économique. La méthodologie d'extraction et d'analyse de ces données a été présentée dans le chapitre 4 (étude du coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement).

Les données du registre REIN ont été utilisées pour retracer les trajectoires de 37 142 patients incidents et 30 141 patients prévalents, afin d'estimer les taux de transition utilisés dans le modèle entre les modalités de traitement et vers le décès (161). Le registre REIN a pour objectif de décrire l'incidence et la prévalence des traitements de suppléance de l'insuffisance rénale chronique terminale, 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. Le recueil de ces informations se fait dans les unités de prise en charge des patients, à partir du dossier médical.

### ► Horizon temporel

Les interventions de santé comparées ayant un impact sur toute la durée de vie, l'analyse de référence recommande d'adopter un horizon « vie entière ».

Le registre REIN s'est développé progressivement depuis 2002 sur l'ensemble du territoire français. En 2011, les 26 régions françaises avaient intégré le Réseau. L'étalement dans le temps des différentes dates d'entrée des régions dans le registre amène à ne pas avoir toute l'information nécessaire pour suivre les trajectoires des patients dans leur ensemble. En effet, les données des patients déjà en traitement de suppléance au moment du démarrage de la région dans le registre sont tronquées à gauche et, par ailleurs, les données des patients avec des trajectoires longues ou dans des régions rentrés tardivement dans le registre sont tronquées à droite. Au 31/12/2010, le délai médian observé, sur l'ensemble de la cohorte de nouveaux patients dans REIN, entre le premier évènement (démarrage du traitement de suppléance) et le dernier évènement était de 15,2 mois.

La présente évaluation a par conséquent été réalisée sur un horizon temporel de 180 mois (15 ans) après le démarrage d'un traitement de suppléance. Au-delà de ce délai, l'information disponible fournie par le registre REIN était insuffisante pour calculer les trajectoires de patients sur leur vie entière avec une précision suffisante. L'extrapolation des données sur la vie entière aurait généré davantage d'incertitude en imposant de poser des hypothèses sur l'évolution relatives de l'état de santé des patients et des techniques de traitements.

Un horizon temporel de 180 mois semble par ailleurs suffisamment long pour rendre compte des différentiels de résultat et de coût attendus entre les stratégies. Sachant que l'espérance de vie médiane est de 60 mois, 70 % des patients de l'étude sont décédés à 15 ans ; a priori, tous les changements attendus ont été pris en compte durant cet horizon temporel sauf pour les patients jeunes pour lesquels les données sont potentiellement tronquées, notamment les transplantés pour lesquels les retours en dialyse n'ont pas été pris en compte.

### ► Actualisation des coûts et des résultats

L'actualisation permet de comparer des interventions à différents moments du temps, en ramenant leurs coûts et résultats futurs à leur valeur présente. Le taux d'actualisation traduit ainsi la « valeur du temps » pour la collectivité.

Dans l'évaluation économique en santé, la nécessité d'actualiser les coûts et les résultats attendus intervient dès que l'horizon temporel est supérieur à 12 mois. Conformément aux recommandations de la HAS en vigueur au moment de la réalisation de cette évaluation, les coûts et les résultats ont été actualisés à un taux de 4 %.

### 5.1.3 Type de modèle et structure

L'enjeu était de développer un **outil permettant de modéliser les trajectoires des patients** au cours du temps et ainsi d'évaluer selon un critère d'efficacité différentes stratégies de prise en charge à partir de l'évolution dans le temps des volumes de patients dans les dix modalités de traitement de l'IRCT et vers le décès.

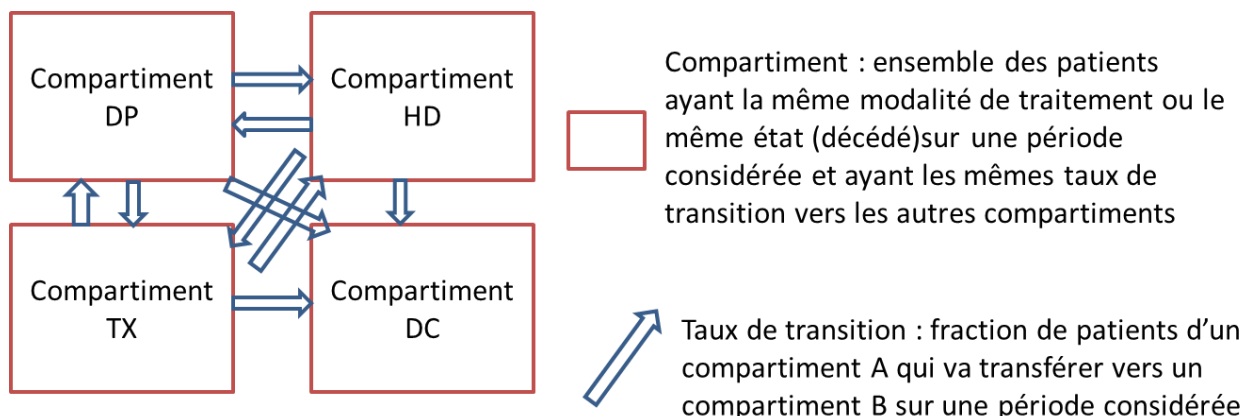
L'épidémiologie mathématique a pris son essor dans le domaine infectieux avec le développement de multiples extensions du modèle à compartiments. Au cours des deux dernières décennies, l'utilisation de ce type de modèle s'est étendue au-delà des maladies infectieuses. Le passage des patients d'un état de santé à un autre est maintenant décrit par des modèles dits "de changement d'état" ou "modèles de Markov", avec de multiples extensions, telles que les modèles de Markov cachés. Ainsi, traditionnellement, les modèles utilisés pour les pathologies infectieuses ont principalement **décrit les volumes** des compartiments et les modèles de pathologie non infectieuse ont plutôt décrit les **changements d'états**. Toutefois, il s'agit d'un seul et même « modèle », dont on décrit soit les volumes des compartiments soit les flux entre compartiments. Ce qui les différencie est essentiellement **les méthodes d'estimation**. Dans les **modèles à compartiments, les taux de transition sont représentés par des équations différentielles** ; les modèles de Markov sont basés sur des **matrices de probabilités**.

Par ailleurs, le modèle développé devait pouvoir répondre à l'ensemble des contraintes suivantes :

- Le nombre de compartiments à modéliser était connu et fini : 11 compartiments correspondants aux 10 modalités de traitement plus le décès.
- Le nombre de transitions à estimer était important : 100 transitions différentes (flux entre 11 compartiments) pour chaque pas de temps, soient 700 transitions au total pour chaque sous-population de patients.
- Les données du registre REIN ne permettaient pas de décrire l'ensemble des trajectoires complètes : c'est le cas des trajectoires longues « tronquées à droite » et des trajectoires sur les patients prévalents « tronquées à gauche ». Le modèle statistique mis en œuvre a permis de tenir compte des données incomplètes, en prenant en compte l'information disponible sur les patients incidents et prévalents pour estimer les taux de transition entre compartiments.
- Les données du registre REIN permettaient de dater les changements de modalités de traitement et donc d'envisager un modèle à temps continu, décrivant les volumes de patients observés dans chaque compartiment au début de chaque mois.
- L'outil devait servir à la fois à évaluer l'efficacité des stratégies de prise en charge actuelles, mais aussi l'impact de changements de stratégies, non pas à l'échelon individuel, mais sur une sous-population de patients.

Ainsi, pour répondre à l'objectif de l'évaluation, **un modèle à compartiments déterministe** a été mis en œuvre (161) (figure 4).

Figure 6. Illustration de la structure d'un modèle à 4 compartiments



Le choix de ce type de modèle a été fondé sur la considération selon laquelle, le nombre de personnes traitées un mois donné est une évolution par rapport au nombre de personnes traitées effectivement le mois précédent, et non pas selon ce qui serait prévu par le modèle le mois précédent (ce que feraient les modèles de Markov cachés). Il s'agit d'un **modèle déterministe** dans la mesure où ce sont les conditions initiales qui déterminent l'évolution du système. Les flux entre compartiments ne dépendent que des effectifs des compartiments et des taux de transition. Les mêmes conditions initiales produiront toujours la même évolution ; ces modèles ne sont pas probabilistes. Le modèle décrit le nombre de cas ayant changé d'états par intervalle de temps. Les effectifs réels des compartiments au temps  $t$  sont utilisés pour estimer les effectifs au temps  $t+1$ .

Avec dix modalités de traitement, il n'était pas possible d'estimer, en un même temps, l'ensemble des taux de transitions entre les différents compartiments. Les paramètres ont été estimés par des **modèles mono-compartimentaux indépendants les uns des autres** (sans modélisation des interactions entre les individus) prenant en compte, pour chaque transition, les risques concurrents de transiter vers un autre compartiment.

Ce modèle à compartiments permet de simuler des changements dans les trajectoires des patients et d'estimer leurs impacts en termes d'espérance de vie et de coûts. Les résultats reviennent à comparer les pratiques existantes à ce qui se passerait, toutes choses égales par ailleurs, si l'on modifiait l'orientation des patients dans le temps dans les différentes modalités (impact en termes de répartition des volumes de patients pris en charge dans les dix modalités de traitement existantes).

Au final, l'évaluation repose sur un modèle qui simule le devenir d'une **cohorte de patients incidents** dont l'horizon temporel a été fixé à 15 ans de façon à prendre en compte les différentiels de résultats et de coûts attendus des stratégies évaluées depuis le démarrage du traitement de suppléance (cf. construction modèle 5.1.5).

Il ne s'agit pas d'une analyse prospective comme support de la planification de l'offre qui aurait nécessité de générer une population de prévalents pour simuler leur devenir sur 5 ans (horizon temporel des SROS) et d'inclure l'entrée de patients incidents.

## 5.1.4 Stratégies évaluées

### ► Définition des stratégies

Pour chacune des 6 sous populations, la **stratégie de base** correspondait aux simulations du modèle fondées sur les données observées entre 2002 et 2009 : reconstitution, à partir des données du registre REIN, des trajectoires et estimation des taux de transition entre les modalités de traitement et vers le décès. Elle a été comparée à différentes stratégies alternatives qui ont été construites par la modification des paramètres suivants (modification d'un paramètre ou de deux paramètres simultanément) :

- Modification de la **distribution initiale** observée des patients dans les différentes modalités de traitement.
- Modification des **taux de transition** entre les différentes modalités de traitement, sur des intervalles de temps donnés.

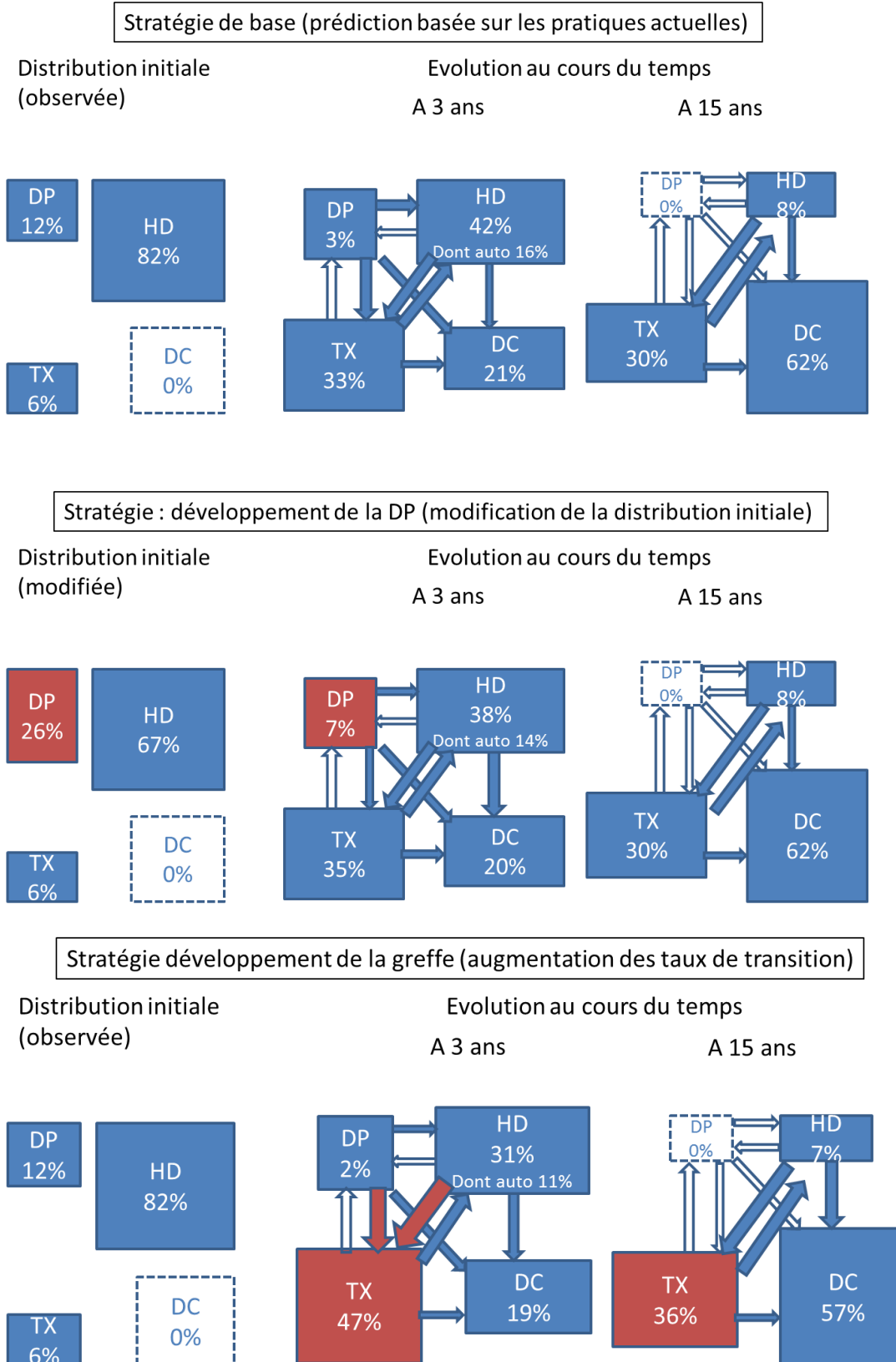
Dans le cas d'une modification de la distribution initiale des patients, l'hypothèse a été posée qu'il existait un « réservoir » de patients pris en charge initialement en hémodialyse en centre, qui pourraient démarrer leur traitement de suppléance dans d'autres modalités de prise en charge. Cette hypothèse revient à considérer que les caractéristiques d'une partie de ces patients traités en centre de dialyse étaient compatibles avec un autre mode de prise en charge, sans perte de chance pour les patients (i.e. les stratégies ont été simulées de façon à ce que l'espérance de vie des patients soit au moins équivalente à celle du mode de prise en charge de départ).

Les stratégies se fondaient sur une seconde hypothèse de potentielle « transposabilité » entre certaines modalités de traitement au sein d'un même groupe de patients (défini par une tranche d'âge et la présence ou non de diabète). Cette hypothèse se justifiait au regard de l'hétérogénéité des pratiques observée en France et dans d'autres pays en faveur d'une « marge de manœuvre » (cf. contexte). Selon cette hypothèse, une modification des taux de transition au cours du temps peut être envisagée. Dans ce cas, un pool de patients va être réorienté vers une autre modalité de traitement et prendre les caractéristiques du compartiment d'arrivée, sans perte de chance pour les patients.

Ces hypothèses reposaient en outre sur l'absence de consensus sur les caractéristiques de patients à prendre en compte dans le choix d'une modalité de traitement par rapport à une autre (en dehors de quelques contre-indications médicales absolues ou relatives) et donc de recommandations permettant de définir des critères d'orientation des patients. Les recommandations insistent d'ailleurs le plus souvent sur la nécessité de laisser aux patients la possibilité de choisir leur mode de traitement. Ces éléments renforcent la validité de l'hypothèse d'une substituabilité, au moins partielle, des différents modes de traitement.

Le modèle a ainsi simulé différents flux de patients entre les compartiments ; ces flux ont été modifiés par les stratégies évaluées et par la mécanique même de ce modèle : lorsque les effectifs d'un compartiment étaient modifiés (à la hausse ou à la baisse), au pas de temps suivant, le nombre de patients sortant de ce compartiment était modifié de façon mécanique (même sans modification du taux de transition de sortie).

**Figure 7. Exemple illustrant un changement de distribution initiale et une modification des taux de transition chez les patients de 45-69 ans, non diabétiques**



Les **rectangles bleus** correspondent aux différents compartiments du modèle. Les **rectangles blancs** correspondent aux compartiments « vides » à la période considérée ; les **rectangles rouges** correspondent aux compartiments dont le volume a été modifié pour simuler une nouvelle stratégie de prise en charge.

Les **flèches bleues** correspondent aux différents taux de transitions entre les compartiments. Les **flèches blanches** correspondent aux taux de transitions « nuls » ; les **flèches rouges** correspondent aux taux de transitions dont la valeur a été modifiée pour simuler une nouvelle stratégie de prise en charge.

## ► Choix des stratégies évaluées

### Choix des axes d'évolution de la prise en charge actuelle des patients traités pour IRCT

A partir de la stratégie fondée sur les données observées (stratégie de base) différentes stratégies alternatives ont été définies en fonction de quatre axes majeurs d'évolution de la prise en charge actuelle :

1. Le développement de la transplantation rénale.
2. Le développement des modalités de prise en charge en hémodialyse hors centre (UDM, unité d'autodialyse et domicile) et la simulation de changements dans l'organisation de la prise en charge (UDM de proximité<sup>75</sup>, hémodialyse quotidienne à domicile).
3. Le développement de la dialyse péritonéale, en privilégiant dans la mesure du possible l'autonomie (DPA et DPCA non assistées).
4. Une prise en compte intégrée de la trajectoire avec anticipation des changements permettant de préparer un transfert dans une autre modalité à niveau d'autonomie proche (en particulier, transfert préparé des patients en DP vers l'HD) ou en anticipant une aggravation de l'état clinique ou une perte d'autonomie avec le temps (en particulier, transfert préparé des patients traités en HD hors centre).

#### Encadré 14. Choix des stratégies évaluées

Les axes d'évolution de la prise en charge actuelle ont été déterminés à partir :

- des principales **conclusions des études et des recommandations identifiées dans la littérature** et de leur adaptation au contexte français ;
- des **orientations fléchées par les autorités de tutelle** : SROS-PRS, plan greffe, programme de gestion du risque sur l'IRCT (GDR-IRCT) (22) ;
- de **l'avis des experts du groupe de travail**, en particulier, concernant les possibilités d'évolution de la prise en charge au regard des caractéristiques des groupes de patients et des pratiques observées ;
- des **préférences exprimées par les patients** (littérature, Etats généraux du rein, avis des représentants des associations des patients et usagers).

<sup>75</sup> L'état des lieux du développement de la télémédecine dans la prise en charge des patients traités pour IRCT réalisé dans le cadre de cette étude a mis en évidence que la plupart des projets identifiés concernait le développement d'UDM fonctionnant par télémédecine ; l'objectif étant de développer une offre de soins de proximité en assurant la télésurveillance des séances et la réalisation de téléconsultations. Dans les stratégies simulées, l'UDM de proximité est caractérisé par un coût de transport identique à celui observé pour l'autodialyse.



Les stratégies liées au développement de la transplantation rénale ont été définies dans la lignée des objectifs fléchés au sein du plan greffe. Elles ont été spécifiées en fonction des profils de patients (âge et présence ou non de diabète) et du statut du donneur (décédé ou vivant), sur le fondement des données disponibles dans la littérature et sur l'avis des experts du groupe de travail (se référer aux références déclinées dans la partie contexte sur l'état des lieux des pratiques chapitre 2, section 2.2).

Les données de la littérature étrangère et les disparités observées dans les pratiques en France, entre les techniques d'hémodialyse et de dialyse péritonéale, et aussi, selon les modes de prise en charge en hémodialyse, ont permis d'envisager différents scénarios en fonction des groupes de patients. A noter qu'en dialyse, les instructions ARS du programme de gestion du risque sur l'IRCT ne définissent pas de chiffres ciblés par modalités de traitement et en fonction des caractéristiques des patients. Elles précisent seulement le développement de la dialyse hors centre à 45 % à 3 mois après le démarrage.

Chez l'ensemble des 18-44 ans et chez les 45-69 ans non diabétiques, le développement des prises en charge autonomes en dialyse ont été privilégiées (dialyse péritonéale non assistée, hémodialyse à domicile, hémodialyse en unité d'autodialyse). Chez les 45-69 diabétiques, des stratégies conjointes ont été favorisées avec le développement de la dialyse péritonéale non assistée, de l'HD autodialyse et de l'UDM. Chez les personnes-âgées, les scénarios prenaient en compte le maintien à domicile grâce à la dialyse péritonéale assistée par une infirmière et le déploiement d'unités de dialyse médicalisées.

Dans le cas de la dialyse péritonéale, afin de maintenir l'objectif d'autonomie pour les jeunes et les patients à espérance de vie élevée et le maintien à domicile pour les personnes-âgées, des scénarios de retours programmés en dehors des centre d'hémodialyse (le repli en centre étant actuellement la trajectoire la plus fréquemment observée dans les pratiques actuelles) au bout d'un certain nombre d'années de dialyse péritonéale ont été simulés. De même, dans le cas de l'hémodialyse en unité d'autodialyse, le retour programmé des patients en UDM a été simulé. La construction de ces trajectoires était fondée sur la nécessité de programmer le retour des patients vers l'hémodialyse et la possibilité de privilégier les modes de traitement hors centre plutôt qu'un retour non programmé en hémodialyse en centre.

Certaines stratégies « innovantes » au regard de l'évolution de l'offre de soins ont également été examinées (avis d'experts). Elles concernaient des évolutions liées à des changements dans l'organisation de la prise en charge, notamment pour le développement d'UDM de proximité (fonctionnant par télémedecine ou pas) fléchées dans les SROS-PRS et les programmes régionaux de télémedecine ainsi que le développement de la dialyse quotidienne à domicile.

D'autres stratégies « alternatives » faiblement utilisées telle que l'HD longue nocturne, l'HD quotidienne à domicile avec les nouveaux générateurs avec bas débit de dialysat n'ont pas été envisagées en l'absence de données disponibles.

La différenciation HD en autodialyse assistée ou non n'a pas été considérée du fait de la très faible proportion de patients non assistés et de l'impact également très limité sur les coûts.

Par ailleurs, la stratégie qui consistait à traiter les patients par un traitement conservateur et ne pas démarrer un traitement de suppléance n'a pas été envisagée, du fait du manque de données disponibles en France. D'un point de vue général, l'impact du traitement de suppléance sur la qualité de vie des patients ayant une espérance de vie relativement courte doit être discuté en amont idéalement, dans le cadre d'une concertation pluridisciplinaire impliquant le médecin traitant et intégrant les souhaits du patient (de sa famille ou de son entourage) (160). En effet, en raison d'une espérance de vie attendue en dialyse faible, un certain nombre de ces patients préfèrent ne pas démarrer un traitement par dialyse très contraignant et bénéficier d'un traitement conservateur (9-11). Ces patients ne sont pas enregistrés dans le registre REIN et à ce jour, aucune information n'est disponible sur la fréquence des ces traitements conservateurs. A noter une étude prospective en cours sur une cohorte française de 500 patients âgés de plus de 75 ans et inclus avec un DFG

à 20 ml/min.1.73m<sup>2</sup> (162). Par conséquent, dans la présente évaluation médico-économique, en l'absence de données disponibles, il n'a pas été possible de simuler pour certains patients qui le souhaiteraient, après une information éclairée et dans le cadre d'un processus de décision partagée, le choix de ne pas dialyser.

Au total, à partir des quatre axes majeurs d'évolution de la prise en charge actuelle, pour chaque groupe de patients, différentes stratégies ont été envisagées et discutées lors de plusieurs réunions du groupe de travail afin d'être validées par les experts.

### Choix des niveaux de modification des paramètres

Les niveaux de modifications testés ont été définis au regard de la **littérature**, sur avis d'experts et au regard des marges de manœuvre identifiées résultant de la **variabilité des pratiques** selon les régions en France.

Une centaine de simulations ont été testées et examinées afin de fixer les paramètres du modèle en fonction d'une cible à atteindre, soit en termes de 'part de marché' d'une modalité de traitement, soit en termes de volumes de patients concernés. Par exemple, il a été considéré que la part de la dialyse péritonéale au démarrage des traitements de suppléance pouvait être augmentée jusqu'à des valeurs de 25-30 %, versus 10 % dans la pratique observée entre 2002 et 2009.

En outre, dans certaines stratégies, un changement de modalité de traitement a été anticipé dans le temps, dans un objectif d'amélioration de la prise en charge (programmation des retours des patients vers une modalité d'hémodialyse hors centre en évitant le retour en HD centre de façon quasi systématique). Dans le cas de ces stratégies « innovantes », et donc peu observées dans le registre REIN (taux de transition proches de zéro), les paramètres ont dû être forcés, avec des facteurs multiplicatifs très élevés, pour qu'un effet de la nouvelle stratégie puisse être observé.

Pour la transplantation, le choix des cibles théoriques en fonction du statut du donneur (décédé, vivant) a tenu compte des données observées et des possibilités de développement a priori réalisables selon les objectifs fixés par le plan greffe. Dans le cas du développement de la transplantation rénale à partir d'un type de donneur, afin de pouvoir comparer les stratégies simulées à la stratégie de base, certains taux de transition ont été augmentés dans l'objectif de maintenir un volume équivalent de greffe à partir de l'autre type de donneur. En effet, comme indiqué précédemment, si les compartiments de dialyse autonome sont « vidés » par un type de greffe, de façon mécanique le nombre de patients transitant vers l'autre compartiment va baisser (à taux de transition constant). Inversement, en cas d'augmentation importante du nombre de patients dans les compartiments de dialyse autonome, il a parfois été nécessaire de diminuer le taux de transition vers la greffe pour maintenir un nombre de greffe raisonnable et permettre l'évaluation de la seule stratégie envisagée (par exemple chez les 45-69 non diabétiques).

Pour les stratégies évaluées concernant les patients jeunes (18-44 ans, diabétiques et non diabétiques), des scénarios alternatifs à la transplantation rénale ont été simulés sur un horizon temporel limité à 3 ans afin de « masquer » l'effet sur les résultats liés à la transplantation sur le long terme.

Dans chaque groupe d'âge, les stratégies alternatives ont été élaborées afin de ne pas entraîner de perte de chance pour les patients. Ainsi, le développement des modalités autonomes n'ont pas été envisagées chez les personnes âgées de 70 ans et plus.

Enfin, les niveaux de modification n'ont pas été définis a priori en tenant compte de l'offre de soins aujourd'hui disponible (par exemple, l'existence d'UDM de proximité ou encore la disponibilité d'infirmières nécessaires au développement de prises en charge assistées). En outre, ces niveaux, envisagés indépendamment pour chaque groupe, ne tiennent pas compte de la « concurrence » éventuelles entre les groupes de patients dans l'accès à certaines modalités. Ces limites ont été discutées en termes de **faisabilité** pour chaque stratégie évaluée dans le chapitre 6.

### ► **Analyse de sensibilité sur les stratégies et les paramètres**

Les analyses de sensibilité sont les principales méthodes mobilisées pour caractériser l'incertitude sur les résultats du modèle. Des analyses de sensibilité en scénario et des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité sont proposées afin de tester la robustesse des conclusions en termes d'efficacité lorsque l'on modifie un ou plusieurs paramètres du modèle.

#### **Analyses de sensibilité en scénarios**

Les stratégies évaluées étaient souvent complexes avec un impact, dans le temps, sur plusieurs modalités de traitement. Des analyses de sensibilité en scénario ont été mises en œuvre dans l'objectif de simuler des trajectoires « simplifiées » qui portaient sur la modification d'une seule modalité de traitement (sans retours programmés).

#### **Analyses de sensibilité sur la mortalité**

Des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité ont été conduites afin de prendre en considération le fait que les caractéristiques des patients transférés pouvaient être différentes de celles des patients du compartiment d'arrivée (en particulier, dans le cas d'un transfert de l'HD centre vers d'autres modalités). Les taux de transition de ces compartiments d'arrivée, dont le volume a été modifié, vers le compartiment « décès » ont alors été fixés au taux de mortalité le plus élevé observé dans le groupe de patients considéré, pour toutes les stratégies. Généralement, le taux de mortalité le plus élevé était observé parmi les patients pris en charge en hémodialyse en centre sauf pour les patients de 70 ans et plus où le taux de mortalité le plus élevé concernait les patients traités en DPCA assistée.

Dans les stratégies évaluées, les taux de transition vers le décès du compartiment d'origine (qui a fait l'objet d'une diminution de volume) du pool de patients transférés n'ont pas été modifiés, considérant le faible volume de patients concernés par les transferts.

Les analyses de sensibilité sur les paramètres n'ont pas porté sur une évolution des coûts. L'étude du coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement a montré que le coût du traitement de suppléance (séances de dialyse et hospitalisations pour suivi de greffe ou rejet) représentait une part importante du coût global moyen mensuel du traitement (jusqu'à 55 % selon les modalités). Une analyse de sensibilité sur l'évolution du coût du traitement de suppléance aurait donc simulé une variation des forfaits. Or, la modification des forfaits relève d'une approche tarifaire et l'objectif de cette évaluation était d'évaluer l'efficacité liée à une évolution des stratégies de prise en charge des patients en IRCT et non une adaptation de la tarification.

### **5.1.5 Modélisation des trajectoires : construction du modèle à compartiments**

#### ► **Étapes de construction du modèle**

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 qui a pu être observé dans la pratique. Ces étapes sont détaillées dans le document annexe (annexe 3).

Dans un premier temps, une étude de faisabilité a été réalisée en prenant en compte uniquement trois techniques de traitement (hémodialyse, dialyse péritonéale et transplantation), sans distinguer l'ensemble des modalités de prise en charge possibles. Elle a permis de tester la méthode et de mettre en évidence les difficultés liées à l'intégration de l'ensemble des modalités.

Dans un second temps, un modèle complet a été réalisé en prenant en compte les 10 modalités de traitement :

- HD centre ;
- HD UDM ;
- HD autodialyse
- HD domicile ;
- DPA assistée ;
- DPCA assistée ;
- DPA non assistée ;
- DPCA non assistée ;
- porteur de greffon rénal à partir d'un donneur décédé ;
- porteur de greffon rénal à partir d'un donneur vivant.

Le modèle complet a été mis en œuvre indépendamment pour les six groupes de patients en raison des différences de trajectoires selon l'âge des patients et la présence ou non de diabète. Sa construction a nécessité les étapes suivantes.

### **Estimation des paramètres**

L'estimation des paramètres du modèle, c'est-à-dire la répartition initiale des patients et les taux de transition entre les compartiments, a été réalisée sur les 180 premiers mois de suivi. Les données sources permettant d'estimer ces paramètres provenaient de données observationnelles issues du registre REIN des traitements de suppléance de l'IRCT en France entre 2002 et 2009.

Les taux de transition ont été estimés par des modèles mono-compartimentaux indépendants les uns des autres (sans modélisation des interactions entre les individus) prenant en compte, pour chaque transition, les risques concurrents de transiter vers un autre compartiment.

La distribution initiale était celle observée dans REIN.

### **Prédiction du modèle**

Les paramètres estimés dans la précédente étape ont été utilisés dans un modèle à compartiments déterministe qui a permis de simuler le devenir d'une cohorte de patients incidents, en prenant en compte 10 modalités de traitement, pour les 6 sous-populations de patients, définies par la tranche d'âge et la présence ou non de diabète. Les flux entre compartiments ne dépendent que des effectifs des compartiments et des taux de transition. Ainsi, le modèle prédit le nombre moyen de personnes dans chacun des compartiments, par pas de temps de 1 mois, en fonction des volumes le mois précédent.

### **Simulation de stratégies de prise en charge pour une cohorte de patients incidents**

Pour chaque sous-population de patients, le modèle a simulé le devenir d'une cohorte de 1 000 patients incidents démarrant un traitement de suppléance et a permis de simuler des scénarios de changements dans les stratégies de prise en charge de ces patients (modification des paramètres du modèle).

A partir de la stratégie de référence (basée sur des prédictions à partir des données observées dans le registre REIN), les scénarios de changement simulés portaient sur la modification de la répartition initiale des patients dans les différents compartiments au temps 0 et/ou sur la modification d'un ou plusieurs taux de transition entre les compartiments.

#### **► Paramètres intégrés dans le modèle**

### **Répartition initiale des patients dans les différentes modalités de traitement**

La répartition de la cohorte de 1 000 patients dans les différentes modalités de traitement à l'initiation du traitement de suppléance utilisée dans le modèle correspondait à la distribution

observée pour les 37 142 patients incidents entre 2002 et 2009 dans les données du registre REIN. Cette répartition était une distribution « moyenne » pour chaque tranche d'âge et en fonction de la présence ou non de diabète à partir des données de régions incluses dans le registre et utilisant l'application DIADEM (cf. annexe 3, sections 2 et 3).

### **Taux de transition entre les compartiments**

L'estimation des paramètres du modèle, c'est-à-dire les taux de transition entre les compartiments, a été réalisée sur les 180 premiers mois de suivi.

Les trajectoires de 37 142 patients incidents et 30 141 patients prévalents ont été utilisées. Elles ont permis d'estimer les paramètres selon les groupes de patients définis par classe d'âge et la présence ou non de diabète, à l'aide de modèles mono-compartiments.

Les données du registre REIN permettaient de dater les changements de modalités de traitement. Ainsi, il était possible d'envisager un modèle à temps continu, pour décrire les volumes de patients observés dans chaque compartiment au début de chaque mois. Cependant, étant donné l'évolution des taux de transition au cours du temps, les taux de transitions entre compartiments ont été calculés 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], en privilégiant la période initiale, où sont observés les changements les plus fréquents.

Le nombre de transitions à estimer dans le modèle était de 100 transitions différentes ( $10 * 10$ ) pour chaque pas de temps, soient 700 transitions au total pour les sous-populations de patients.

### **Mesure des résultats de santé**

Le critère de résultat était l'espérance de vie restreinte à 180 mois calculée sur la mortalité toutes causes. L'espérance de vie restreinte a été estimée à partir du modèle déterministe qui prédit le devenir d'une cohorte de 1 000 patients incidents ; aucun intervalle de confiance n'a donc été estimé.

Les paramètres du modèle (taux de transition) ayant été estimés à partir de données issues d'un registre national, il s'agissait de données observées fondées sur les pratiques actuelles. Il existait des biais d'indication qui pouvaient potentiellement expliquer des différences d'espérance de vie selon les modalités de traitement ; les jeunes en « bonne santé » étant orientés préférentiellement vers la transplantation rénale ou la dialyse autonome. Cette source d'incertitude a été prise en compte dans la discussion des résultats.

### **Mesure des coûts associés aux différents compartiments**

Le coût des stratégies de prise en charge, en fonction des modalités de traitement, a été estimé à partir de l'analyse des données du SNIIRAM-PMSI. Les choix méthodologiques pour l'évaluation des coûts ont été décrits dans le chapitre relatif à l'étude du coût de la prise en charge d'un patient en IRCT selon la modalité de traitement.

Les données du SNIIRAM-PMSI n'ont pas permis d'étudier de façon précise des trajectoires et les différents coûts associés au changement de modalité de traitement (problèmes d'effectifs, d'identification des différents mouvements, de cohérence de date entre les différentes sources liés aux changements de traitements, etc.).

Dans le modèle, le coût de chaque trajectoire a été reconstitué à partir :

- du coût mensuel pour un patient prévalent « stable », estimé pour chaque modalité de traitement et par tranches d'âge et présence ou non de diabète (cf. méthode présentée dans l'étude de coût) ;
- de l'introduction de coûts de transition qui correspondaient au coût de changement de modalité de traitement ou d'état du patient sur la période de l'étude.

Des coûts de transition<sup>76</sup> ont ainsi été estimés pour les évènements suivants :

- démarrage d'un traitement par dialyse ;
- transition vers le décès ;
- transition vers la transplantation rénale à partir d'un donneur vivant ou décédé ;
- transition vers la dialyse autonome (entraînement à l'hémodialyse à domicile ou en unité d'autodialyse et à la dialyse péritonéale non assistée).

Par ailleurs, le coût lié à la prise en compte de modifications dans certaines modalités de prise en charge pour lesquelles les données étaient inexistantes a été estimé :

- dans le cas de l'hémodialyse quotidienne : estimation du coût du traitement de suppléance compte tenu de l'absence de tarif ;
- dans le cas de l'UDM de proximité : estimation de l'impact sur les coûts de transport à la baisse par rapport à une UDM sans télémédecine.

### ► Focus sur les coûts intégrés dans le modèle

#### Coût mensuel par patient et par modalité de traitement

L'étude de coût a présenté la méthode à partir de laquelle a été estimé le coût moyen mensuel par modalité de traitement en tenant compte de l'âge et de la présence ou non de diabète (cf. Chapitre 4, page 85). Pour chaque patient, les dépenses remboursées par l'Assurance maladie ont été divisées par le temps passé en traitement de suppléance. En raison d'effectifs faibles, pour certains groupes de patients (inférieur à 10), un réajustement a été nécessaire. Le coût de la prise en charge sur la période a été estimé dans le modèle en multipliant ces différents coûts mensuels par le temps moyen passé dans chaque compartiment sur la période simulée.

**Tableau 30. Coût moyen mensuel en euros par modalité de traitement selon l'âge et la présence de diabète, pour les patients prévalents stables**

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
HD centre	8 298	6 915	7 992	6 964	7 736	6 916
DPA assistée	6 717	5 550	6 543	6 274	5 796	5 265
DPCA assistée	6 018	4 850	6 497	4 899	5 923	4 932
HD UDM	5 886	4 739	5 810	5 136	5 425	5 003
DPA non assistée	5 376	4 208	4 984	4 324	5 118	4 085
HD autodialyse	5 360	4 083	4 940	4 304	4 696	4 340
HD domicile	5 038	4 159	5 439	4 118	4 374	3 484
DPCA non assistée	4 382	3 214	4 093	3 856	4 295	3 462
Porteur de greffon	2 091	1 043	1 640	1 075	1 475	1 038

<sup>76</sup> Les coûts de transition sont approximés par l'estimation des ressources temporairement nécessaires au passage de certains compartiments vers d'autres compartiments.

## Coût de transition lié au démarrage de la dialyse

Pour chaque patient démarrant un traitement par dialyse, un coût additionnel a été estimé.

A partir des sous-groupes des patients « incidents » et « incidents décédés » identifiés dans l'analyse des données du SNIIRAM-PMSI, le coût du 1er mois de traitement a été estimé auquel a été retranché le coût d'un mois de traitement d'un patient « prévalent stable ». Il n'a pas été fait de différences selon le lieu de traitement et seules les 2 techniques, hémodialyse et dialyse péritonéale ont été considérées. Ce choix se justifie par le fait qu'il s'agissait d'un traitement initial, période à laquelle la modalité de traitement n'est pas encore stabilisée et correspond fréquemment à de l'HD en centre ou une période d'entraînement avant départ vers le hors centre.

*Par exemple, pour la DP, le coût du 1<sup>o</sup> mois était de 9 820 € auquel a été retranché 4 758 € lié au coût de prise en charge mensuel d'un patient « prévalent stable », soit un coût additionnel au démarrage de 5 062 €. Pour l'HD, les coûts étaient respectivement 8 103 €, 6 302, donc un coût additionnel de 1 801 €.*

Ce 'surcoût' a été appliqué pour chaque patient incident démarrant un traitement par dialyse.

Dans le cas des patients démarrant par une greffe préemptive, le coût de démarrage a été pris en compte dans le coût de transition vers la transplantation.

Dans la pratique, le coût de transition lié au démarrage du traitement en dialyse correspond en général<sup>77</sup> à une période d'hospitalisation avec préparation de la voie d'abord et bilan complet de l'état du patient. Au-delà de ce premier mois, le patient rentre dans une phase de traitement chronique.

**Tableau 31. Coût additionnel moyen au démarrage en dialyse, par technique de traitement selon 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
HD	2 192	2 502	1 523	2 077	1 397	1 560
DP	7 681	6 831	4 402	5 253	5 685	4 248

## Coût de transition vers le décès

Pour chaque transition vers le décès à partir des différentes modalités de traitement, un coût additionnel a été estimé. En raison des petits effectifs, cette estimation a été faite pour l'ensemble des patients (tout âge et présence ou non de diabète confondus) mais par modalité en raison de la part importante du poste de dépenses « traitement IRCT » sur les coûts mensuels.

A partir du sous-groupe des patients « prévalent - décédé » identifié dans l'analyse des données du SNIIRAM-PMSI, le coût moyen du dernier mois de traitement pour chaque modalité a été estimé. Dans le modèle, ce « surcoût » a été appliqué à chaque patient décédant au cours de la période.

**Tableau 32. Coûts moyens d'une transition vers le décès, selon la modalité de traitement**

Modalités de traitement	Tout groupe de patients
DPA assistée	14 827

<sup>77</sup> Si la pose du cathéter de dialyse péritonéale se fait le plus souvent dans le mois du démarrage du traitement, la création de l'abord vasculaire pour le traitement en hémodialyse doit être idéalement effectuée plusieurs semaines avant le démarrage.

Modalités de traitement	Tout groupe de patients
DPA non assistée	18 030
DPCA assistée	7 820
DPCA non assistée	11 403
HD autodialyse	11 506
HD domicile	10 748
HD UDM	17 116
HD Centre	11 222
Greffé donneurs décédés	14 442
Greffé donneurs vivants	14 442

### Coût de transition vers la transplantation

Pour chaque transition vers la transplantation un coût additionnel a été estimé à partir des différentes modalités de traitement.

A partir du sous-groupe des patients « transplantés de l'année » identifié dans l'analyse des données du SNIIRAM-PMSI, le coût des 6 premiers mois post-transplantation a été estimé. Le choix de prendre une période de 6 mois se justifie par l'importance des coûts initiaux post-greffe, liés à l'hospitalisation, aux consultations et aux bilans rapprochés mais aussi aux traitements d'éventuels rejets précoces. Au-delà de 6 mois, les coûts sont décroissants pour se stabiliser aux alentours de 1 500 € par mois (cf. tableau 25).

Le coût d'un greffon (recensement, réanimation, prélèvement, suivi du donneurs vivants, etc.) a été estimé à 19 618 € pour les donneurs décédés et 12 241 € pour les donneurs vivants (163).

Le coût additionnel a été calculé de la façon suivante : coût d'un greffon + coût des 6 premiers mois post-transplantation – coût de 6 mois de traitement d'un patient porteur d'un greffon fonctionnel (sous-groupe de patients « prévalents stables »).

Ce coût a été appliqué à chaque patient recevant une greffe rénale, que ce soit en préemptif ou au cours de la période.

Par ailleurs, un surcoût lié à l'utilisation des machines à perfusion a été inclus à la hauteur de 1 700 € par transplantation dans les stratégies de développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés « old for old » chez les personnes de 70 ans et plus. Ce surcoût correspondait aux modalités de financement<sup>78</sup> mises en place depuis 2012.

**Tableau 33. Coûts moyens d'une transition vers la greffe rénale, selon le type de donneur et de patients**

Type de donneur	18-44 ans non diabétique	18-44ans diabétique	45-69 ans non diabétique	45-69 ans diabétique	70+ ans non diabétique	70+ ans diabétique
Greffe donneurs décédés	61 242	58 904	56 981	60 532	65 724	61 953
Greffe donneurs	53 865	51 527	49 604	53 155	58 347	54 576

<sup>78</sup> Forfait POA et nouvelle composante du FAG (cf. plaquette publiée par l'Agence de la Biomédecine concernant les modalités de financement 2013).



Type de donneur	18-44 ans non diabétique	18-44ans diabétique	45-69 ans non diabétique	45-69 ans diabétique	70+ ans non diabétique	70+ ans diabétique
vivants						

### Coût de transition vers la dialyse autonome

Pour chaque transition vers la dialyse autonome à partir des différentes modalités de traitement, un coût additionnel a été estimé à partir du tarif des forfaits d'entraînements en 2009. La durée des périodes d'entraînement a été estimée sur avis des experts du groupe de travail.

Elle a été définie à 15 jours pour la DP, 2 mois pour l'autodialyse et 4 mois pour l'HD à domicile. Ces durées correspondent à des périodes de formation des patients qui vont ensuite être transférés vers des modalités de traitement nécessitant un certain degré d'autonomie. Pendant les séances d'entraînement, une infirmière est présente en permanence ce qui justifie un montant plus élevé des forfaits de dialyse et donc du poste de dépenses « traitement IRCT ». En revanche, les autres postes de dépenses sont inchangés.

Ces coûts d'entraînement ont été calculés de la façon suivante :

- HD autodialyse, 2 mois d'entraînement : (Forfait D17 : entraînement à l'HD - forfait D09 : HD en centre) \* 26j = 1 597 €
- HD domicile, 4 mois d'entraînement : (Forfait D17 : entraînement à l'HD - forfait D09 : HD en centre) \* 52j = 3 193 €
- DPA autonome, 15 jours d'entraînement : (Forfait D20 : entraînement à la DPA \* 6 – forfait D15 (hebdomadaire) : traitement par DPA) \* 2 = 856 €
- DPCA autonome, 15 jours d'entraînement : (Forfait D21 : entraînement à la DPCA \* 6 – forfait D16 (hebdomadaire)) : traitement par DCPA \* 2 = 1 002

### Estimation des coûts de l'hémodialyse quotidienne et de l'UDM de proximité

Le coût du traitement de suppléance en hémodialyse quotidienne, pour laquelle il n'existait pas de forfait, a été approximé à partir du coût mensuel du traitement en hémodialyse à domicile multiplié par 1,8 (ce qui correspond à un doublement du poste de dépense « traitement IRCT » + doublement du poste de dépense « autonomie » dans le coût mensuel en hémodialyse à domicile).

Pour l'UDM de proximité, une baisse des coûts de transport a été simulée par la substitution des coûts moyens de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse, soit un coût mensuel multiplié par 0,9.

L'hypothèse sous-jacente est que l'UDM de proximité correspond soit à une UDM traditionnelle non adossée à un centre de dialyse, soit à une UDM fonctionnant par télé-médecine qui est une nouvelle forme d'organisation des soins actuellement en cours de déploiement (20, 164) (cf. chapitre 6, perspective sur le développement de la télé-médecine ; état des lieux des projets de télé-médecine dans la prise en charge des patients en IRCT). Dans les deux cas de figure, seul l'impact sur les coûts de transport à la baisse dans le cas d'une UDM de proximité a été pris en compte dans le modèle.

#### ► Validité du modèle

La validation interne explore la cohérence intrinsèque du modèle et la validation externe vérifie que la structure du modèle, les hypothèses et les paramètres produisent des résultats raisonnables et compatibles avec ce qui est connu sur la maladie et les effets des interventions évaluées.

La cohérence des ordres de grandeur des paramètres du modèle (taux de transition entre compartiments) a été analysée au regard de ce qui est connu sur la maladie et les modalités de prise en charge. Par exemple, les taux de transitions vers le compartiment décès étaient plus

élevés pour les compartiments DPA assistée, HD centre et UDM. A l'inverse, les taux de transitions vers la transplantation étaient plus élevés pour les compartiments DP autonome et HD en autodialyse. Certains paramètres nuls correspondaient à des pratiques actuellement non observées. Par ailleurs, les effets mécaniques du modèle suite à une modification du volume d'un compartiment ont été considérés. En effet, étant donné que le modèle repose sur des taux de transitions (exprimés en 1 000 personnes-mois), un volume plus important de patients dans un compartiment donné entraîne un volume plus important de patients sortant du compartiment, à taux égal. Il a été vérifié que ces modifications mécaniques restaient cohérentes et compatibles avec les effets des interventions évaluées ; dans le cas contraire les flux ont été contraints.

Ce type modèle permet de réaliser une représentation graphique de l'évolution dans le temps de la distribution d'une cohorte de patients incidents dans les différentes modalités de traitement. Le contrôle de l'adéquation du modèle à compartiments a été vérifié par la représentation graphique de la répartition observée et la répartition prédite par le modèle des patients dans les différents compartiments (cf. annexe 3, section 5 : résultats et contrôle de l'adéquation du modèle avec l'ensemble des modalités de traitement). La comparaison des effectifs obtenus par le modèle de prédiction aux effectifs observés a permis de vérifier l'adéquation du modèle. Cette analyse a montré la très bonne qualité du modèle. L'incertitude stochastique liée au modèle peut donc être considérée comme négligeable par rapport à l'hétérogénéité des pratiques. Ainsi, il n'a pas été estimé d'intervalle d'incertitude sur les taux de transitions.

Le modèle, tel qu'il a été mis en œuvre, prend en compte le vieillissement des patients sur 15 ans tout en restant dans leur sous-groupe (i.e. pas de changement de sous-groupes pour les patients proches des bornes d'âge). Le seul axe de temps pris en compte est le délai depuis le démarrage d'un traitement de suppléance sur 180 mois. En revanche, dans l'estimation des paramètres par groupe d'âge, les patients étaient classés selon l'âge à l'entrée dans l'étude et donc leur vieillissement se reflète dans les taux estimés au cours du temps. Ainsi, les taux de transition vers le décès ont été calculés pour chaque intervalle de temps, ce qui permet de tenir compte du risque accru de décès avec le temps.

Ce modèle a été développé dans le cadre d'une évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge et non comme outil d'aide à la planification. A des fins de planification, le modèle devrait inclure une cohorte ouverte de patients prévalents à laquelle s'ajouteraient au cours du temps des patients incidents. Ce dernier modèle permettrait ainsi d'estimer les besoins en termes d'offre de soins. Cela nécessiterait d'introduire dans le modèle un deuxième axe de temps que serait l'année calendaire.

### **5.1.6 Présentation et interprétation des résultats de l'évaluation économique**

Le modèle sur lequel se fonde cette évaluation économique a pour principal intérêt de disposer d'une représentation simplifiée de la réalité afin d'évaluer, selon un critère d'efficacité, des pistes d'évolution dans la prise en charge des patients atteints d'IRCT en France, de discuter de leur faisabilité ainsi que des implications de leur mise en œuvre. Les stratégies évaluées ont été définies de manière à simuler des changements dans les trajectoires des patients entre 10 modalités de traitements et d'évaluer leur impact en termes de coûts et d'efficacité (espérance de vie) pour les 6 sous-populations définies en fonction de l'âge et du statut diabétique (18-44 ans non diabétiques et diabétiques, 45-69 ans non diabétiques et diabétiques, 70 ans et plus non diabétiques et diabétiques).

Les résultats de l'évaluation économique sont présentés dans la section 5.2 pour chaque sous-population étudiée. Afin de faciliter la lecture et l'appropriation des résultats, le même plan de présentation a été adopté pour les 6 sous-populations.

- 1) **Encadré** : messages clés relatifs aux résultats de l'évaluation économique pour la sous-population considérée.
- 2) **Définition des stratégies** : tableau récapitulatif de l'ensemble des stratégies évaluées (ou analyse de référence) et des analyses de sensibilité (analyses de sensibilité en scénario ou sur la mortalité).
- 3) **Résultats des stratégies évaluées**
  - évolution de la répartition des patients par modalités de traitement : impact sur la distribution initiale des patients parmi les 10 modalités de traitement, sur le nombre de transitions et sur la répartition moyenne du temps passé dans les modalités de traitement sur la période (tableau) ;
  - impact sur l'espérance de vie et sur le coût de prise en charge de chaque stratégie évaluée sur la période de l'étude (présentation des données brutes et actualisées).
- 4) **Résultats de l'analyse de l'efficience**
  - pour l'analyse de référence qui correspond à l'ensemble des stratégies évaluées : calcul des ratios différentiels coût résultat (RDCR) et représentation graphique de la frontière d'efficience ;
  - pour les analyses de sensibilité (en scénario et sur la mortalité).
- 5) **Interprétation des résultats de l'évaluation**
  - discussion des stratégies efficaces (analyse de référence et analyses de sensibilité)
  - discussion des résultats des autres stratégies évaluées en termes d'impacts de coûts et d'efficacité par rapport aux stratégies efficaces et par rapport à la stratégie de base fondée sur des simulations à partir de données observées.

Dans la **section 5.3**, l'interprétation des résultats fait l'objet d'une discussion afin d'apprécier la part d'incertitude dans les conclusions de l'évaluation qui repose sur l'analyse critique des méthodes, des hypothèses et des données mobilisées, ainsi que sur les résultats des analyses de sensibilité.

La **section 5.4** présente une synthèse graphique des résultats de l'évaluation économique par sous-population.

Enfin, dans le **chapitre 6** l'ensemble des résultats de l'évaluation économique sont discutés au regard de l'identification d'axes d'évolution de la prise en charge actuelle des patients en IRCT, de l'impact des stratégies simulées et de leur faisabilité.

### Encadré 15. Concepts clés pour la lecture et la compréhension des résultats de cette évaluation économique

**Modèle** : outil permettant de simuler des changements dans les trajectoires des patients entre les 10 modalités de traitement et vers le décès et d'évaluer l'impact en termes d'espérance de vie et de coûts de différentes stratégies de prise en charge (définies à partir de l'évolution dans le temps des volumes de patients dans les 10 modalités de traitement). Le modèle est fondé sur la simulation d'une cohorte de patients incidents.

**Compartiment** : ensemble des patients ayant la même modalité de traitement ou le même état (par exemple décédé) sur une période de temps considérée et ayant les mêmes taux de transition vers les autres compartiments.

**Taux de transition** : fraction de patients d'un compartiment A qui va transférer vers un compartiment B sur une période considérée.

**Stratégie de base** : simulations du modèle fondées sur les données observées entre 2002 et 2009 (reconstitution des trajectoires et estimation des taux de transition entre les modalités de traitement et vers le décès à partir des données du registre REIN ; estimation des coûts des trajectoires à partir des données du SNIIRAM chaînées au PMSI).

**Stratégies évaluées** : construction des stratégies à partir de la modification de la stratégie de base (modification de la distribution initiale observée des patients dans les différentes modalités de traitement et/ou de la modification des taux de transition entre les différentes modalités de traitement, sur des intervalles de temps donnés).

**Analyse de l'efficacité** : l'évaluation économique permet de comparer les stratégies de prise en charge de façon simultanée sur la base de leurs résultats et de leurs coûts respectifs par le calcul d'un **RDCR**<sup>79</sup> (ratio différentiel coût-résultat). Les RDCR indiquent le coût d'une unité de résultat supplémentaire entre deux stratégies efficaces (dont l'une est plus coûteuse et plus efficace que l'autre).

Les résultats des différentes stratégies évaluées sont positionnés dans un repère coût-résultat permettant de représenter sous forme graphique les conclusions de l'évaluation médico-économique.

La frontière d'efficacité permet de définir visuellement les stratégies efficaces et d'exclure les stratégies plus chères et moins efficaces ou avec une efficacité équivalente. Par ailleurs, dans son cadre de référence, la HAS souligne qu'en absence d'un seuil d'acceptabilité de coût par unité de résultat, l'utilisation de la frontière d'efficacité relève de la décision publique. À l'issue de l'évaluation, les interventions sont donc qualifiées d'efficaces sans préjuger de leur acceptabilité au regard de la disposition à payer du décideur public.

**Actualisation des coûts et des résultats** : l'actualisation permet de comparer les stratégies évaluées à différents moments du temps, en ramenant leurs coûts et résultats futurs à leur valeur présente (l'analyse de référence mobilise le taux d'actualisation public fixé à 4 % depuis 2005 pour des horizons temporels inférieurs à 30 ans). L'analyse de l'efficacité est réalisée sur les données de coûts et de résultats actualisés

<sup>79</sup> Les ratios différentiels coût-résultat (RDCR, ICER en anglais) sont calculés à partir des données d'efficacité et de coût actualisés de toutes les stratégies en suivant la procédure définie dans le guide méthodologique de la HAS (4).

**Analyses de sensibilité** : méthodes mobilisées pour caractériser l'incertitude sur les résultats du modèle, i.e. tester la robustesse des conclusions en termes d'efficacité lorsque l'on modifie un ou plusieurs paramètres ou hypothèses du modèle.

Les analyses de sensibilité en scénario simulent des trajectoires « simplifiées » : modification d'une seule modalité de traitement (sans retour programmé dans une autre modalité).

## 5.2 Résultats de l'évaluation économique

### 5.2.1 Patients de 18-44 ans, non diabétiques

#### Encadré 16. Evaluation médico-économique des stratégies de prise en charge pour les patients de 18-44 ans, non diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait seulement 824 patients parmi les 9 609 patients incidents (8,6 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 35,4 ans.

Dans la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées, sur 15 ans, les patients passaient en moyenne 70 % de leur temps avec un greffon fonctionnel et 13 % en HD en autodialyse. La part de l'HD Centre ne représentait que 11 % du temps passé sur la période.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 161,9 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées.

Le coût global moyen de prise en charge par patient sur cette même période était de 434 493 euros.

Neuf stratégies d'évolution de la prise en charge ont été évaluées. Elles étaient fondées sur la modification des trajectoires de patients entre les modalités de traitement selon 3 axes :

- augmentation de la DP à domicile autonome (DPA et DPCA non assistées) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance ;
- développement de l'HD à domicile et de l'HD quotidienne ;
- développement de la greffe à partir de donneurs vivants et/ou décédés.

L'analyse de l'efficacité a mis en évidence **une stratégie efficiente** par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées : la stratégie conjointe de développement de la transplantation à partir de donneurs décédés et vivants (stratégie 10), qui correspondait à 1 023 patients transplantés à partir d'un donneur décédé et 107 à partir d'un donneur vivant (versus 874 et 99 respectivement dans les pratiques observées).

Bien que non efficaces par rapport à la greffe, les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celle relative au développement de l'HD quotidienne. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -48 689 € à +4 810 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

► **Stratégies évaluées**

**Tableau 34. Stratégies évaluées pour les patients de 18-44 ans, non diabétiques**

Population : 18-44 non diabétiques		
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario	Analyses de sensibilité sur la mortalité
<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée + privilégier un transfert vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 7,7 % (observé) à 23 %, aux dépens de l'HD Centre</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPA non assistée et l'HD autodialyse par 200 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 1-2</b> : développement de la DPA non assistée seule, sans transfert en HD autodialyse ou domicile</p>	<p><b>Stratégie 1 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPA non assistée vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPA non assistée + privilégier un transfert vers l'HD domicile après 2 ans de DPA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 7,7 % (observé) à 23 %, aux dépens de l'HD Centre</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPA non assistée et l'HD domicile par 10 000 entre 24 et 60 mois.</p>		<p><b>Stratégie 2 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPA non assistée vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 3</b> : développement de la DPCA non assistée + privilégier un transfert vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPCA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 5,2 % (observé) à 21 %, aux dépens de l'HD.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPCA non assistée et l'HD autodialyse par 200 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 3-4</b> : développement de la DPCA non assistée sans transfert en HD autodialyse ou domicile</p>	<p><b>Stratégie 3 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPCA non assistée vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 4</b> : développement de la DPCA non assistée + privilégier un transfert vers l'HD domicile après 2 ans de DPCA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 5,2 % (observé) à 21 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPCA non assistée et l'HD domicile par 10 000 entre 24 et 60 mois.</p>		<p><b>Stratégie 4 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPCA non assistée vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 5</b> : développement de l'HD à domicile</p> <p>Multiplication des taux de transition des compartiments HD centre, UDM, HD autodialyse vers le compartiment HD domicile par 5, sur les 24 premiers mois.</p>		<p><b>Stratégie 5 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD domicile vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 6</b> : développement de HD quotidienne à</p>		<p><b>Stratégie 6 + substituer</b> les</p>

Population : 18-44 non diabétiques		
<p>domicile</p> <p>Multiplication des taux de transition des compartiments HD centre, UDM, HD autodialyse vers le compartiment HD domicile par 5, sur les 24 premiers mois.</p> <p>Pour approximer un coût de l'HD quotidienne, multiplication du coût mensuel en HD domicile par 1,8 (ce qui correspond à un doublement du poste de dépense « dialyse + doublement du poste de dépense « autonomie » dans le coût mensuel en HD domicile).</p>		<p>taux de transition actuels du compartiment HD domicile vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 7</b> : stratégie conjointe – développement de la DP non assistée et de l'HD à domicile</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 7,7 % (observé) à 19,2 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 5,2 % (observé) à 13,1 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition des compartiments HD centre, UDM, HD autodialyse vers le compartiment HD domicile par 5, dans les 24 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPA non assistée et l'HD autodialyse par 200 entre 24 et 60 mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPCA non assistée et l'HD autodialyse par 200 entre 24 et 60 mois.</p>		<p><b>Stratégie 7 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments DPA et DPCA non assistée et HD domicile vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 8</b> : développement de la greffe, donneurs vivants</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs vivants par 2,5, sur toute la période, en maintenant le nombre de greffe donneurs décédés stable (c'est-à-dire multiplier le taux de transition vers la greffe donneurs décédés par 1,25).</p>		<p><b>Stratégie 8 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment transplantation donneurs vivants vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 9</b> : développement de la greffe, donneurs décédés</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs décédés par 2, sur toute la période, en maintenant le nombre de greffe donneurs vivants stable (c'est-à-dire multiplier le taux de transition vers la greffe donneurs vivants par 1,5).</p>		<p><b>Stratégie 9 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment transplantation donneurs décédés vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 10</b> : stratégie conjointe - développement de la greffe, donneurs vivants et donneurs décédés</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers les compartiments transplantation par 2, sur toute la période.</p>		<p><b>Stratégie 10 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments transplantation donneurs décédés et vivant vers décès par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>



Les stratégies relatives à l'augmentation « poussée » de l'autodialyse à partir de l'HD centre ou de l'UDM (qui représentent à eux deux 14 % du temps passé sur la période) n'ont pas été envisagées car les patients de ce groupe passaient déjà 13 % de leur temps en autodialyse. La marge de manœuvre était par conséquent faible.

### ► Résultats des stratégies évaluées pour les 18-44 ans non diabétiques

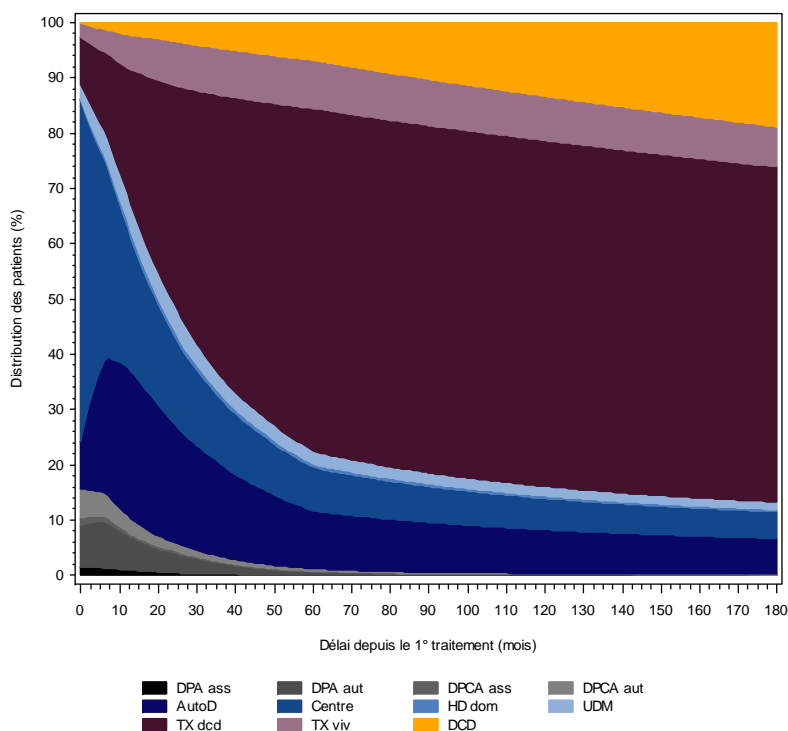
Les stratégies évaluées dans le modèle correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 18 à 44 ans non diabétiques, sur un horizon temporel de 15 ans (180 mois).

Dans la stratégie de base fondée sur des simulations à partir de données observées, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de ces patients était en moyenne de 161,9 mois.

La Figure 8 décrit l'évolution dans le temps de la répartition de cette cohorte de patients sur 180 mois en fonction des 10 modalités de traitement et vers le décès. Chaque surface colorée représente le temps passé total dans chacune des différentes modalités. La surface totale des aires en gris (DP), bleu (HD), violet (TX) représente l'espérance de vie restreinte sur 180 mois. Elle illustre l'impact de la greffe à partir de donneurs vivants qui intervient essentiellement dans les 2 premières années, alors que « l'accumulation » de la greffe à partir de donneurs décédés se poursuit jusqu'à 5 ans.

Dans ce groupe d'âge, la transplantation rénale apparaissait comme la modalité de traitement la plus utilisée. Les stratégies de prise en charge évaluées sur 15 ans étaient tronquées à droite et ne permettaient pas de simuler des stratégies de retour en dialyse après échecs de greffes. A 180 mois, 18,8 % des patients jeunes non diabétiques étaient décédés.

**Figure 8. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 18-44 ans non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.**



Les stratégies évaluées dans ce modèle à compartiments avaient un impact sur la distribution initiale des patients parmi les 10 modalités de traitement, sur le nombre de transitions et sur la

répartition moyenne du temps passé dans les modalités de traitement sur la période (cases grisées du Tableau 35).

Pour ce groupe de patients jeunes et non diabétiques, la transplantation rénale était la stratégie privilégiée. Dans les prédictions sur les données observées (stratégie de base S0), ces patients, ont passé 70 % du temps avec un greffon fonctionnel sur la période de l'étude et 11 % du temps en HD en centre. Ce constat limitait les possibilités de stratégies alternatives à l'HD en centre et le développement de prises en charge innovantes, qui peuvent toutefois être envisagées pour un certain nombre de patients en attente de greffe ou pas (contre-indication ou refus).

Dans les simulations fondées sur les données observées (distribution initiale), l'HD en centre comme modalité de démarrage concernait 61,7 % des patients.

**Les stratégies 1, 2, 3 et 4** portaient sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important de la cohorte en DP autonome (DPA et DPCA non assistée) et un transfert préparé vers l'HD en autodialyse (S1 et S3) ou en HD à domicile après 2 ans (S2 et S4). Dans les données observées au démarrage du traitement, la DPA concernait 7,7 % des patients et la DPCA 5,2 % des patients ; dans ces stratégies simulées, la DPA a été augmentée jusqu'à hauteur de 23 % (S1 et S3) et la DPCA à 20,9 % (S2 et S4). Le transfert préparé des patients vers une modalité d'HD a été simulé vers l'autodialyse ou vers le domicile afin de maintenir les patients qui n'auraient pas été transplantés dans un mode de prise en charge autonome.

Dans ces stratégies, la part de l'HD en centre au démarrage diminuait ainsi jusqu'à 46 %. Dans les stratégies 1 et 3, le temps moyen passé sur la période en autodialyse était proche de celui de la stratégie de base.

**Les stratégies 5 et 6** concernaient une modification des taux de transition au profit du développement de l'HD à domicile et de l'HD quotidienne à domicile. Cette modalité, faiblement développée dans les données observées, a été favorisée dans un objectif de déploiement de modes de prises en charge autonomes à domicile. La part de l'HD à domicile dans la répartition moyenne du temps passé a été ainsi augmentée à 1,7 % versus 0,7 % dans la stratégie de base et correspondait à une multiplication par 3 du nombre de patients concernés. Les volumes restaient cependant très modestes (96 patients sur 1 000).

Ces deux stratégies pourraient concerner les patients avec attente longue (hyperimmunisés) ou avec une contre-indication temporaire à la transplantation ; par conséquent, aucun transfert préparé vers une autre modalité de dialyse n'a été simulé. Elles étaient fondées sur les mêmes volumes et les mêmes taux de transitions ; elles ne se différençaient que par les coûts qui ont été simulés à la hausse dans le scénario relatif au développement de l'HD quotidienne à domicile<sup>80</sup>.

**La stratégie 7** était une stratégie conjointe associant le développement de la DP autonome (DPA et DPCA non assistée) et l'HD à domicile dans les trajectoires des patients (modification de la distribution initiale et des taux de transition des modalités de traitement). Elle se fondait sur une proportion importante de démarrage du traitement de suppléance en DP (40 % des patients) ; l'impact sur le temps moyen passé sur la période en HD à domicile était cependant faible (1,4 % versus 0,7 % dans la stratégie de base).

En termes de temps passé dans les différentes modalités de traitement sur la période de l'étude l'impact de cette stratégie conjointe était le suivant : 3,5 % pour la DP non assistée, 1,4 % pour l'HD à domicile, 9 % pour l'HD en centre, 2 % pour l'HD en UDM et 70 % pour la transplantation qui reste la modalité prépondérante.

**Les stratégies 8 et 9** concernaient une modification des taux de transition en faveur du développement de la transplantation rénale, respectivement à partir de donneurs vivants et

---

<sup>80</sup> Pour approximer un coût de l'HD quotidienne, le coût mensuel en HD domicile a été multiplié par 1,8 : ce qui correspond à un doublement du poste de dépense « dialyse » + doublement du poste de dépense « autonomie » dans le coût mensuel en HD domicile.

donneurs décédés<sup>81</sup>. **La stratégie 10** était une stratégie conjointe avec les deux types de donneurs. Dans les simulations basées sur les données observées (S0), la part de la transplantation était de 99 greffes à partir de donneurs vivants et de 874 greffes à partir de donneurs décédés, pour 1 000 patients âgés de 18 à 44 ans non diabétiques. Dans les stratégies simulées, la transplantation a été « poussée » jusqu'à 182 greffes à partir de donneurs vivants et 1 023 greffes à partir de donneurs décédés<sup>82</sup>. Dans ces stratégies de développement de la greffe, la part de l'HD en autodialyse diminuait, ce qui témoignait d'une certaine forme de « concurrence »

		S0	S 1	S 2	S 3	S 4	S 5 - S 6	S 7	S 8	S 9	S 10
Distribution initiale (%)	DPA non assistée	7,7	23,0	23,0	7,7	7,7	7,7	19,2	7,7	7,7	7,7
	DPCA non assistée	5,2	5,2	5,2	20,9	20,9	5,2	20,9	5,2	5,2	5,2
	<b>HD en Centre</b>	<b>61,7</b>	<b>46,4</b>	<b>46,4</b>	<b>46,1</b>	<b>46,1</b>	<b>61,7</b>	<b>42,4</b>	<b>61,7</b>	<b>61,7</b>	<b>61,7</b>
Répartition moyenne du temps passé sur la période (%)	DPA assistée	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,1
	DPA non assistée	1,5	2,5	2,7	1,9	1,9	1,5	2,3	1,2	0,9	0,9
	DPCA assistée	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,1	0,1
	DPCA non assistée	0,8	0,8	0,8	1,8	1,9	0,8	1,2	0,7	0,6	0,5
	HD en autodialyse	12,8	12,7	11,3	12,2	11,4	12,2	12,4	9,4	6,4	6,2
	<b>HD centre</b>	<b>11,3</b>	<b>9,9</b>	<b>9,9</b>	<b>10,0</b>	<b>9,9</b>	<b>10,6</b>	<b>9,0</b>	<b>9,5</b>	<b>7,7</b>	<b>7,6</b>
	HD domicile	0,7	0,6	1,7	0,6	1,4	1,7	1,4	0,5	0,3	0,3
	HD UDM	2,7	2,4	2,4	2,5	2,5	2,6	2,3	2,1	1,4	1,4
	Greffe donneurs décédés	61,3	61,8	61,9	61,8	61,8	61,6	62,1	60,9	73,2	71,5
	Greffe donneurs vivants	8,6	8,9	8,9	9,0	8,9	8,7	9,0	15,6	9,3	11,4
Nombre de transitions	DPA non assistée	134	284	284	174	175	133	265	130	127	126
	DPCA non assistée	77	77	77	233	233	76	154	75	74	74
	HD domicile	36	32	80	32	66	96	77	31	27	27
	HD en autodialyse	624	622	559	596	558	610	616	575	533	528
	Nbre de patients transplantés – donneurs DCD	874	883	885	881	882	880	889	867	1023	1001
	Nbre de patients transplantés - donneurs vivants	99	103	102	103	102	186	104	182	107	132
	<b>HD en Centre</b>	<b>958</b>	<b>821</b>	<b>819</b>	<b>822</b>	<b>820</b>	<b>956</b>	<b>782</b>	<b>928</b>	<b>903</b>	<b>901</b>
Décès	189	181	180	183	183	186	177	163	149	146	

entre les modalités de traitement.

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD en centre dans la répartition moyenne du temps passé était de 11,3 % dans les simulations basées sur les pratiques observées (stratégie de base S0). Dans toutes les stratégies proposées, cette part diminuait, jusqu'à 7,7 % dans la stratégie 9. Ceci illustre le résultat des simulations fondées sur l'hypothèse d'un réservoir de patients dialysés en centre transférables vers la greffe ou une autre modalité de traitement autonome.

<sup>81</sup> Ces stratégies ont été simulées en maintenant le nombre de greffes issues de donneurs décédés stable dans le cas du développement de la greffe issue de donneurs vivants et inversement, afin de bloquer l'effet mécanique du modèle sur les volumes.

<sup>82</sup> Les simulations ont été réalisées sur une cohorte de 1 000 patients incidents, certains pouvant être transplantés plusieurs fois.

Malgré une baisse du temps passé en HD en centre, dans les stratégies relatives au développement de l'HD à domicile (S5 et S6), le nombre de passages (ou « d'entrées ») dans le compartiment d'HD en centre restait très élevé du fait des allers-retours des patients dans les trajectoires simulées (entraînements à la dialyse autonome, replets non programmés).

**Tableau 35. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 18-44 ans non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.**

*Lecture : les cases grisées correspondent aux paramètres modifiés (distribution initiale et/ou taux de transition) pour la mise en œuvre des stratégies simulées.*

Les 3 axes privilégiés dans la définition des stratégies de prise en charge simulées dans ce groupe d'âge étaient les suivants :

- l'augmentation de la DP à domicile autonome (DPA et DPCA non assistée) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance ;
- le développement de l'HD à domicile et de l'HD quotidienne ;
- le développement de la greffe à partir de donneurs vivants et/ou décédés.

Le Tableau 36 présente les résultats des stratégies évaluées dans le modèle en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) ainsi que les résultats actualisés (taux d'actualisation de 4 % par an).

**Tableau 36. Impact des stratégies évaluées pour les 18-44 ans non diabétiques en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros)**

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût par mois (euros)	Coût par mois actualisé (euros)
Stratégie 0 : sans changement	161,9	126,1	434 493	345 104	2 684	2 736
Stratégie 1 : DPA non assistée + transfert HD autodialyse	163,0	126,9	427 783	339 096	2 624	2 671
Stratégie 2 : DPA non assistée + transfert HD domicile	163,1	127,0	427 789	339 126	2 623	2 670
Stratégie 3 : DPCA non assistée + transfert HD autodialyse	162,7	126,7	425 855	337 427	2 617	2 664
Stratégie 4 : DPCA non assistée + transfert HD domicile	162,7	126,7	425 972	337 507	2 618	2 664
Stratégie 5 : HD domicile	162,3	126,4	431 094	342 171	2 656	2 706
Stratégie 6 : HD quotidienne à domicile	162,3	126,4	440 477	349 914	2 714	2 768
Stratégie 7 : stratégie conjointe : développement de la DP non assistée et de l'HD domicile	163,6	127,3	422 701	334 634	2 584	2 629

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût par mois (euros)	Coût par mois actualisé (euros)
Stratégie 8 : greffe, donneurs vivants	164,3	127,8	401 490	319 814	2 444	2 503
Stratégie 9 : greffe, donneurs décédés	165,9	128,9	370 352	296 416	2 232	2 300
Stratégie 10 : stratégie conjointe : greffe, donneurs vivants et donneurs décédés	166,2	129,1	368 200	294 597	2 215	2 283

L'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1 000 patients était de 161,9 mois pour la stratégie de base (S0) qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées. Elle variait de 162,3 à 166,2 mois pour les stratégies évaluées dans ce groupe d'âge (Tableau 36).

Les coûts moyens de prise en charge sur 180 mois variaient de 368 200 € à 440 477 € par patient versus 434 493 € par patient pour la stratégie de base. Le coût de prise en charge par mois par patient variait de 2 215 € à 2 714 € *versus* 2 684 € pour la stratégie de base (Tableau 36).

Après prise en compte d'une actualisation de 4 % par an, l'espérance de vie variait de 126,4 à 129,1 mois et les coûts de 294 597 € à 349 914 € selon les stratégies considérées (Tableau 36).

Afin d'évaluer l'impact des stratégies initiales sur le court terme, des simulations ont été envisagées sur une période de temps limitée à 3 ans. Le choix de ce seuil de 3 ans s'expliquait par le constat selon lequel, à cette date, 50 % des patients de ce groupe étaient déjà porteurs d'un greffon fonctionnel.

Le Tableau 37 présente les résultats des stratégies relatives à la dialyse évaluées dans le modèle en termes d'espérance de vie sur 36 mois et de coût de prise en charge (euros) ainsi que les résultats actualisés<sup>83</sup> (taux d'actualisation de 4 % par an).

**Tableau 37. Impact des stratégies évaluées pour les 18-44 ans non diabétiques en termes d'espérance de vie et de coût de prise en charge (euros) sur 36 mois**

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 36 mois	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût par mois	Coût par mois actualisé
Stratégie 0 : sans changement	35,1	34,6	172 452	159 566	4 920	4 612

<sup>83</sup> L'actualisation permet de comparer des interventions à différents moments du temps, en ramenant leurs coûts et résultats futurs à leur valeur présente. Dans l'évaluation économique en santé, la nécessité d'actualiser les coûts et les résultats attendus intervient dès que l'horizon temporel est supérieur à 12 mois. L'analyse de référence mobilise le taux d'actualisation public fixé à 4 % depuis 2005 pour des horizons temporels inférieurs à 30 ans avec une décroissance jusqu'à 2 % au-delà. L'analyse de l'efficacité est réalisée sur les données de coûts et de résultats actualisés.

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 36 mois	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût par mois	Coût par mois actualisé
Stratégie 1 : DPA non assistée + transfert HD autodialyse	35,2	34,7	168 180	155 579	4 782	4 481
Stratégie 2 : DPA non assistée + transfert HD domicile	35,2	34,7	168 389	155 758	4 788	4 486
Stratégie 3 : DPCA non assistée + transfert HD autodialyse	35,1	34,7	166 557	154 010	4 743	4 443
Stratégie 4 : DPCA non assistée + transfert HD domicile	35,1	34,7	166 473	153 935	4 740	4 441
Stratégie 5 : HD domicile	35,1	34,6	170 674	157 928	4 867	4 562
Stratégie 6 : HD quotidienne à domicile	35,1	34,6	174 920	161 832	4 988	4 675
Stratégie 7 : stratégie conjointe : développement de la DP non assistée et de l'HD domicile	35,2	34,7	165 075	152 665	4 691	4 395

Dans ces simulations fondées sur les 3 premières années, l'espérance de vie moyenne restreinte était de 35 mois dans toutes les stratégies.

Les coûts de prise en charge sur 3 ans étaient également relativement proches : ils variaient de 166 473 € par patient pour les stratégies de développement de la DPCA non assistée au démarrage à 174 920 € par patient pour celle relative au développement de l'HD quotidienne à domicile versus 172 452 € dans la stratégie de base.

En termes de coûts moyens par mois, les stratégies de développement de la DPCA non assistée au démarrage (S3 et S4) montraient un gain de 169 à 171 € par mois par patient, de 126 à 131 € par mois par patient pour la DPA non assistée (S1 et S2) et 50 € par mois par patient pour l'HD domicile (S5) par rapport à la stratégie de base (S0). A l'inverse, pour l'HD quotidienne le coût moyen par mois augmentait de 63 € par mois par patient. A noter que les coûts de démarrage et d'entraînement vers une dialyse autonome vont avoir un retentissement plus important sur le coût moyen dans une simulation à 3 ans que dans le cas d'une simulation sur 15 ans. La stratégie conjointe de développement conjoint de la DP non assistée et de l'HD à domicile montrait un gain de 217 € par mois par patient.

### ► Résultats de l'analyse de l'efficience

#### Analyse des ratios différentiels coût-résultat sur l'ensemble des stratégies évaluées

Les ratios différentiels coût-résultat (RDCR) ont été calculés à partir des résultats du modèle (données d'efficacité et de coût actualisés) sur une période de 180 mois (15 ans) en suivant la procédure décrite dans le guide méthodologique de la HAS. Les RDCR permettent d'estimer le coût d'une unité de résultat supplémentaire entre une stratégie moins coûteuse et celle juste au-

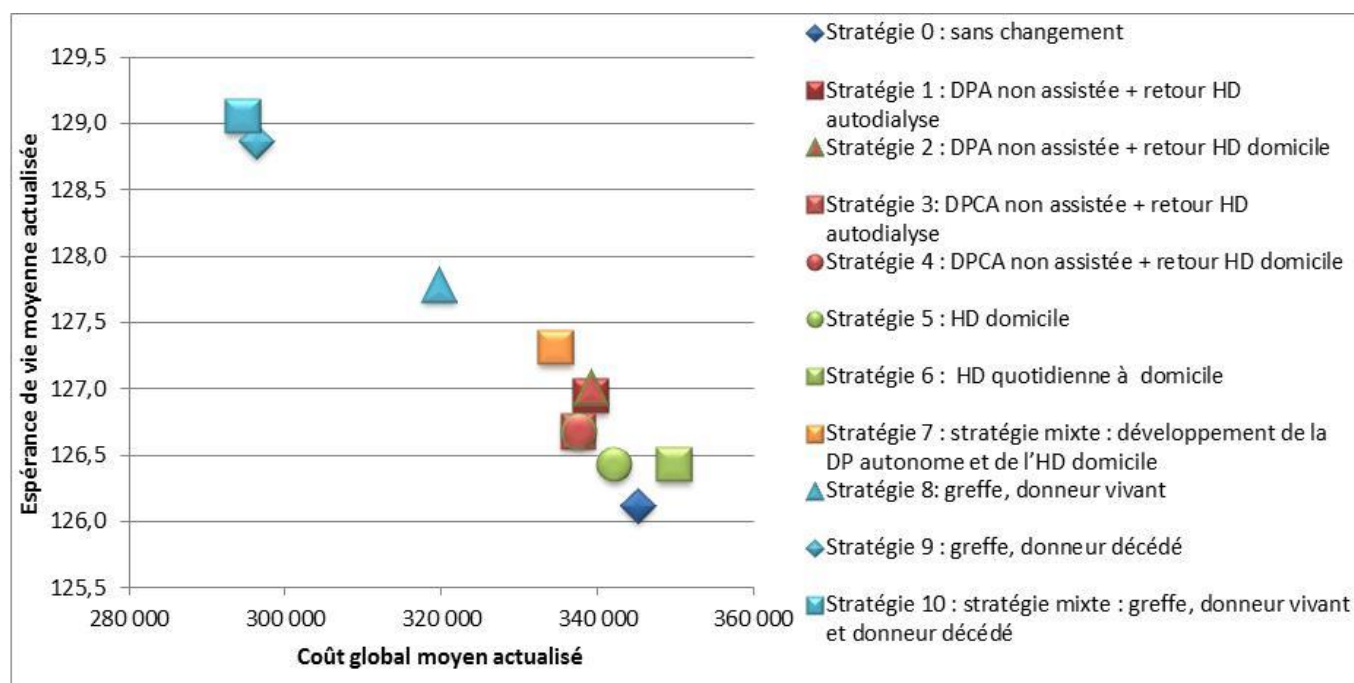
dessus en termes de coût, mais plus efficace. Ils sont calculés pour chaque stratégie dès lors qu'il y a une stratégie moins coûteuse (cf. encadré 15).

L'analyse de ces ratios a mis en évidence une stratégie efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées qui correspond à la stratégie conjointe de transplantation à partir de donneurs décédés et vivants (S10).

Dans cette stratégie, l'espérance de vie moyenne actualisée sur 180 mois était de 129,1 mois et le coût moyen global actualisé de prise en charge sur la période était de 294 597 €.

Seule la stratégie conjointe de transplantation à partir de donneurs décédés et vivants (S10) se trouvait par conséquent sur la frontière d'efficacité. Les autres stratégies évaluées et la stratégie de base amenaient une espérance de vie plus courte pour un coût plus élevé ; elles étaient donc dominées (Figure 9). Par exemple, la stratégie 8 positionnée au milieu du graphique apparaît comme moins efficace et plus coûteuse que les stratégies 10 et 9 situés en haut et à gauche.

**Figure 9. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficacité des stratégies évaluées chez les 18-44 ans, non diabétiques**



### Analyses de sensibilité

Les analyses de sensibilité en scénario ont été conduites sur les stratégies relatives au développement de la dialyse péritonéale (DPA et DPCA non assistée) au démarrage du traitement de suppléance, sans simuler de transfert préparé des patients vers l'HD à domicile ou l'autodialyse (S1', S2', S3' et S4'). Ces analyses de sensibilité en scénario ne modifiaient pas les conclusions de l'analyse de référence ; le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés et vivant (S10) restait la stratégie la plus efficace et la moins coûteuse, par rapport aux autres stratégies évaluées.

Des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité ont été conduites pour toutes les stratégies évaluées. L'hypothèse haute où les taux de transitions vers le décès du (ou des) compartiment(s) ciblé(s) des stratégies simulées seraient équivalents au taux de transition de l'HD en centre vers le décès a été testée en analyse de sensibilité. Cette analyse de sensibilité ne changeait pas l'ordre des conclusions de l'analyse de référence.

### ► **Interprétation des résultats de l'évaluation**

Les stratégies évaluées correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 18 à 44 ans non diabétiques, sur un horizon temporel restreint de 180 mois. A 180 mois, 18,8 % de ces patients étaient décédés. Les autres patients continuaient leur trajectoire qui n'a pu être modélisée dans cette étude du fait de l'absence de données disponibles sur une période supérieure à 15 ans.

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait seulement 824 patients parmi les 9 609 patients incidents ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 35,4 ans.

#### **Les stratégies efficaces**

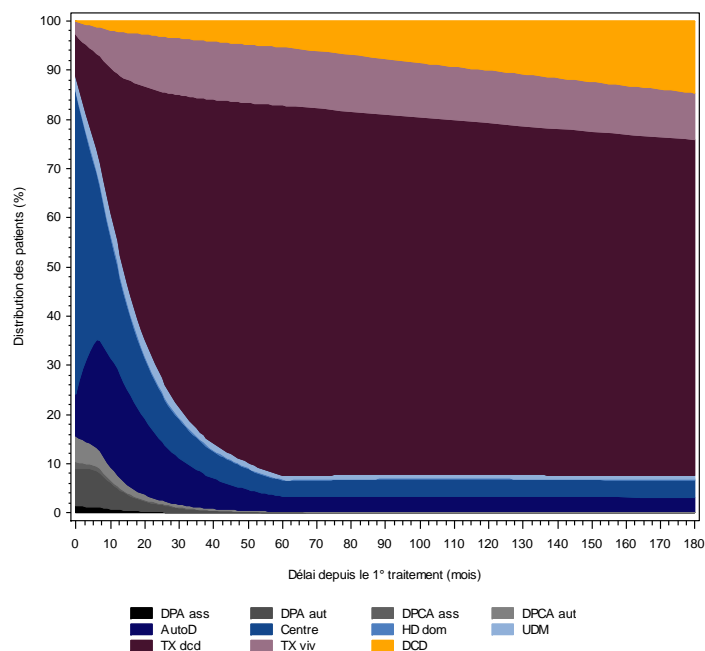
Le développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés et vivant était la seule stratégie de prise en charge efficace dans l'analyse de référence par rapport aux autres stratégies évaluées (espérance de vie la plus longue pour un coût moindre par rapport à toutes les autres stratégies simulées et la stratégie de base).

L'impact sur l'espérance de vie actualisée de cette stratégie était de 129,1 mois versus 126,1 mois dans les simulations fondées sur données observées (données actualisées). Concernant cette différence de 3 mois entre les 2 stratégies, le modèle ne peut différencier ce qui relève de l'effet de la stratégie de prise en charge sur l'espérance de vie du biais de sélection des patients âgés de 18 à 44 ans non diabétiques les moins à risque en faveur de la greffe. Les analyses de sensibilité en mortalité, faisant l'hypothèse très « pessimiste » d'une mortalité identique en transplantation et en HD centre, ne modifiaient cependant pas les conclusions. Avec cette hypothèse, l'espérance de vie simulée serait de 128,3 mois et toujours supérieure à l'espérance de vie simulée à partir des données observées. La différence en termes de coût moyen global était de 50 507 € ; rapporté par mois, cette stratégie correspondait à un gain de 453 € par patient par rapport à la stratégie de base (données actualisées).

Cette stratégie était fondée sur un développement simultané de la transplantation à partir de donneurs vivants et à partir de donneurs décédés. Le nombre de transplantations simulées à partir de donneurs vivants était de 132 et de 1 001 à partir de donneurs décédés (certains patients pouvant être greffés à plusieurs reprises), versus 99 et 874 dans la stratégie de base. Dans cette stratégie conjointe de développement de la transplantation rénale, la cible en termes de temps passé des patients de 18 à 44 ans non diabétiques avec un greffon fonctionnel était de 83 % (versus 70 % dans la stratégie de base, cf. Figure 10). Les stratégies évaluées étaient tronquées à droite et ne permettaient pas de simuler des stratégies de transfert en dialyse après échecs de greffes ou des variations de décès post-greffe intervenant après le transfert en dialyse.



**Figure 10. Stratégie 10 - transplantation à partir de donneurs décédés et vivant : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 18-44 ans non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.**



### Les autres stratégies

En dehors du développement de la transplantation rénale, 2 autres axes ont été privilégiés dans les modifications des trajectoires de patients entre les modalités de traitement simulées pour ce groupe d'âge : l'augmentation de la DP autonome à domicile (DPA et DPCA non assistée) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance avec un transfert simulé dans une modalité d'HD autonome et le développement de l'HD à domicile ainsi que de l'HD quotidienne, en pont vers la greffe.

Bien que non efficaces par rapport à la greffe (seule stratégie efficace), les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celle relative au développement de l'HD quotidienne. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -48 689 € à +4 810 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Les résultats du modèle à 180 mois montraient que pour toutes stratégies simulées, les espérances de vie moyennes étaient très proches des simulations fondées sur les pratiques observées, y compris pour la transplantation rénale (écart de 3 mois). Le même constat pouvait être formulé sur une période d'étude restreinte à 3 ans ce qui laisse penser que les caractéristiques cliniques de ces patients étaient relativement homogènes dans ces différentes modalités.

Dans les stratégies qui portaient sur un démarrage plus important de la cohorte en DP non assistée, le transfert des patients vers une modalité d'hémodialyse était programmé au-delà de 2 ans soit vers l'autodialyse (S1 et S3) soit vers le domicile (S2 et S4) afin de maintenir les patients qui n'auraient pas été transplantés dans un mode de prise en charge autonome. Pour ces 4 stratégies, les coûts globaux moyens sur 180 mois étaient inférieurs à ceux obtenus avec la stratégie de base. Les coûts par mois actualisés de ces stratégies étaient légèrement inférieurs (2 664€ par patient pour S3 versus 2 736 € par patient pour S0). Les analyses de sensibilité en scénario sans transfert simulé ne modifiaient cependant pas les conclusions de l'analyse de référence ; le développement de la transplantation restait la stratégie efficace.

Dans les stratégies fondées sur le développement de l'HD domicile, les espérances de vie étaient également très proches mais le coût de traitement était plus élevé concernant l'HD quotidienne par rapport à la stratégie de base. Cet écart peut être expliqué par le coût de traitement de l'HD quotidienne à domicile. En l'absence de forfait spécifique et de données françaises, le coût a été estimé à partir de celui du coût mensuel relatif à l'HD à domicile multiplié par 1,8 (ce qui correspond à un doublement du poste de dépense « dialyse » + doublement du poste de dépense « autonomie » dans le coût mensuel en HD domicile). Par ailleurs, l'impact de ces stratégies sur le temps moyen passé sur la période en HD à domicile était faible (1,7 % versus 0,7 % dans la stratégie de base) car fondé sur des pratiques très peu observées et une volonté de rester dans des proportions simulées « réalisables ».

Dans la stratégie conjointe de développement de la DP autonome et de l'HD domicile simultanément, le démarrage plus important de la cohorte en DP autonome a été « poussé » jusqu'à 40 %. Si l'impact de cette stratégie sur l'espérance de vie était très proche de celui des autres stratégies (+1,2 mois), les coûts diminuaient de plus de 10 000 € sur 180 mois par rapport à la stratégie de base.

Au total, dans ce groupe de patients, bien que les stratégies fondées sur une augmentation de la DP autonome au démarrage et/ou une augmentation de l'HD autonome dans les trajectoires des patients ne soient pas efficaces par rapport à la stratégie relative au développement de la transplantation, elles permettaient de maintenir équivalentes les espérances de vie avec un impact à la baisse sur les coûts par rapport aux pratiques observées dans la stratégie de base ; faisait cependant exception, la stratégie relative au développement de l'hémodialyse quotidienne à domicile. Les résultats du modèle à 3 ans corroboraient ces conclusions : les espérances de vie étaient équivalentes pour toutes les stratégies et les coûts mensuels par patient variaient de la même façon que dans les résultats du modèle à 180 mois.

## 5.2.2 Patients de 18-44 ans, diabétiques

### **Encadré 17. Evaluation médico-économique des stratégies de prise en charge pour les patients de 18-44 ans, diabétiques**

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait seulement 123 patients parmi les 9 609 patients incidents (1,3 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 38,9 ans.

Dans la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées, sur 15 ans, les patients passaient en moyenne 60 % de leur temps avec un greffon fonctionnel. La part de l'hémodialyse en centre représentait 23 % du temps passé sur la période.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 130,8 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées.

Le coût global moyen de prise en charge sur cette même période était de 586 632 euros.

Sept stratégies d'évolution de la prise en charge ont été évaluées. Elles étaient fondées sur la modification des trajectoires de patients entre les modalités de traitement selon 3 axes :

- l'augmentation de la DP à domicile autonome (DPA et DPCA non assistées) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance, en pont vers la greffe ;
- le développement de l'HD en unité d'autodialyse dans les trajectoires des patients en pont vers la greffe ou à plus long terme pour les patients ayant une contre-indication à la transplantation rénale ;
- le développement de la greffe à partir de donneurs vivants et/ou décédés.

L'analyse de l'efficience a mis en évidence une stratégie efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées : la stratégie conjointe de développement de la transplantation à partir de donneurs décédés et vivants (stratégie 7), qui correspondait à 829 patients transplantés à partir d'un donneur décédé et 40 à partir d'un donneur vivant (versus 730 et 13 respectivement dans les pratiques observées).

Bien que non efficientes par rapport à la greffe, les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -4 096 € à -21 776 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

► **Stratégies évaluées**

**Tableau 38. Stratégies évaluées pour les patients de 18-44 ans, diabétiques**

Population : 18-44 diabétiques		
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario	Analyses de sensibilité sur la mortalité
<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée + privilégier un transfert vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 3,5 % (observé) jusqu'à 13,8 %, aux dépens de l'HD Centre soit un total de 19 % de DP au démarrage.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPA non assistée et l'HD autodialyse par 10 000 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée sans transfert vers HD autodialyse</p>	<p><b>Stratégie 1 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPA non assistée vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA non assistée + privilégier un transfert vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPCA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 3,6 % (observé) jusqu'à 14,6 %, aux dépens de l'HD Centre soit un total de 19,5 % de DP au démarrage.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPCA non assistée et l'HD autodialyse par 10 000 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA non assistée sans transfert vers HD autodialyse</p>	<p><b>Stratégie 2 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPCA non assistée vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en autodialyse</p> <p>Multiplication des taux de transition des compartiments HD centre et UDM vers le compartiment HD autodialyse par 3, sur les 60 premiers mois.</p>		<p><b>Stratégie 3 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD autodialyse vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 4</b> : stratégie conjointe : développement de la DP non assistée et de l'HD en autodialyse</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 3,6 % (observé) jusqu'à 13,8 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 3,5 % (observé) jusqu'à 14,6 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition des compartiments HD centre et UDM vers le compartiment HD autodialyse par 3, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre les compartiments DPA et DPCA non assistée et l'HD autodialyse par 10 000 entre 24 et 60 mois.</p>		<p><b>Stratégie 4 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments DPA et DPCA autonome et HD autodialyse vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps</p>
<p><b>Stratégie 5</b> : développement de la transplantation, donneurs décédés</p>		<p><b>Stratégie 5 + substituer</b> les taux de transition actuels du</p>

<b>Population : 18-44 diabétiques</b>		
Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs décédés par 2, sur les 24 premiers mois, en maintenant le nombre de greffe donneurs vivants stable (c'est-à-dire multiplier le taux de transition vers la greffe donneurs vivants par 1,5).		compartiment transplantation donneurs décédés vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.
<b>Stratégie 6</b> : développement de la transplantation, donneurs vivants Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs vivants par 20, sur les 24 premiers mois, en maintenant le nombre de greffe donneurs décédés stable (c'est-à-dire multiplier le taux de transition vers la greffe donneurs décédés par 1,1).		<b>Stratégie 6 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment transplantation donneurs vivants vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.
<b>Stratégie 7</b> : stratégie conjointe : développement de la greffe, donneurs vivants et donneurs décédés Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers les compartiments transplantation donneurs décédés par 2 et donneurs vivants par 20, sur les 24 premiers mois.		<b>Stratégie 7 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments transplantation donneurs décédés et vivant vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.

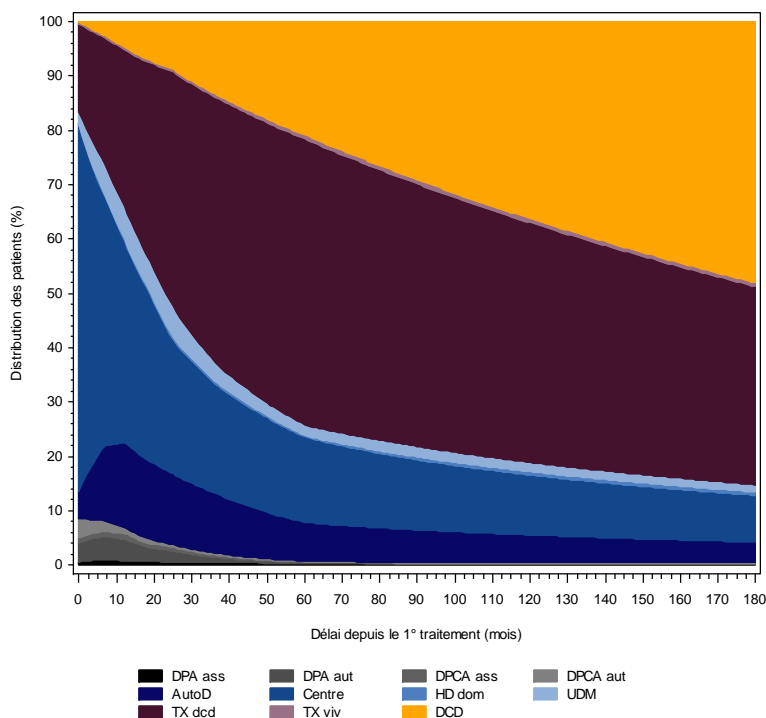
### ► Résultats des stratégies évaluées pour les 18-44 diabétiques

Les stratégies évaluées dans le modèle correspondent à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 18 à 44 ans diabétiques sur un horizon temporel de 180 mois.

Dans la stratégie de base fondée sur des simulations à partir des données observées, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de ces patients était en moyenne de 130,8 mois. Dans ce groupe, 48 % des patients étaient décédés à 180 mois. Pour les autres, les stratégies évaluées sont tronquées à droite et ne permettent d'évaluer des stratégies de transfert en dialyse après échecs de greffe.

La Figure 11 décrit l'évolution dans le temps de la répartition de cette cohorte de patients sur 180 mois en fonction des 10 modalités de traitement et vers le décès. Chaque surface colorée représente le temps passé total dans chacune des différentes modalités. La surface totale des aires en gris (DP), bleu (HD), violet (TX) représente l'espérance de vie restreinte sur 180 mois.

**Figure 11. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 18-44 ans diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.**



Les stratégies évaluées dans ce modèle à compartiments avaient un impact sur la distribution initiale des patients parmi les 10 modalités de traitement, sur le nombre de transitions et sur la répartition moyenne du temps passé dans les modalités de traitement sur la période (cases grisées du tableau 39).

Dans les simulations fondées sur les données observées (stratégie de base S0), ces patients jeunes et diabétiques, ont passé environ 60 % du temps avec un greffon fonctionnel sur la période de l'étude et 23 % en HD en centre. Des stratégies alternatives à l'HD en centre peuvent être envisagées pour un certain nombre de patients, par exemple, pour ceux en attente de greffe ou pour ceux ayant une contre-indication à la greffe (ou refus).

Dans les données observées, l'HD en centre comme modalité de démarrage concernait 67,4 % des patients.

Les **stratégies 1 et 2** portaient sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important de la cohorte en DP autonome (DPA et DPCA non assistée) et un transfert préparé vers l'HD en unité d'autodialyse après 2 ans, afin de maintenir les patients qui n'ont pas été transplantés dans une modalité de traitement autonome. La DP non assistée au démarrage du traitement de suppléance, très peu développée dans les simulations fondées sur les données observées (3,5 % pour la DPA et 3,6 % pour la DPCA) a été augmentée jusqu'à 13,8 % pour la DPA et 14,6 % pour la DPCA. Dans ces stratégies, la part de l'HD en centre au démarrage diminuait jusqu'à 56,5 %.

La **stratégie 3** concernait une modification des taux de transition de l'HD centre et l'HD UDM au profit du développement de l'HD en unité d'autodialyse. La part de l'HD en unité d'autodialyse dans la répartition moyenne du temps passé a été augmentée à 16,2 % ; elle était de 9,9 % dans les simulations fondées sur les pratiques observées (stratégie de base). L'autodialyse a été envisagée dans le cadre d'une stratégie de prise en charge en pont vers la transplantation ou pour les patients ayant une contre-indication (temporaire ou à plus long terme) à la transplantation. Chez ces patients jeunes, aucun transfert vers une autre modalité de dialyse n'a été simulé sur les 15 premières années après le démarrage.

La **stratégie 4** était une stratégie conjointe de développement de la DP non assistée et de l'HD en unité d'autodialyse dans les trajectoires des patients (modification de la distribution initiale et des taux de transition des modalités de traitement). En termes de temps passé dans les différentes modalités de traitement sur la période de l'étude, l'impact de cette stratégie conjointe était le suivant : 3,5 % pour la DP non assistée, 15 % pour l'autodialyse, 16 % pour l'HD centre, 2 % pour l'UDM et 62 % pour la transplantation qui reste la modalité prépondérante.

Les **stratégies 5 et 6** concernaient une modification des taux de transition en faveur du développement de la transplantation rénale, respectivement à partir de donneurs vivants et donneurs décédés. La **stratégie 7** était une stratégie conjointe de développement de la transplantation avec les 2 types de donneurs. Dans les prédictions à partir des données observées, on comptait 13 greffes à partir de donneurs vivants et 730 greffes à partir de donneurs décédés, pour 1 000 patients âgés de 18 à 44 ans diabétiques. Dans les stratégies simulées, la transplantation a été poussée à un maximum de 46 greffes à partir de donneurs vivants et 844 greffes à partir de donneurs décédés.

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD en centre dans la répartition moyenne du temps passé était de 23,4 % et de 60,3 % avec un greffon fonctionnel, dans les simulations à partir des pratiques observées (stratégie de base). Dans toutes les stratégies simulées, la part du temps passé en centre diminuait, jusqu'à 15,7 % dans la stratégie 4 (hypothèse de l'existence d'un « réservoir » de patients dialysés en centre transférables vers une autre modalité moins médicalisée).

Malgré une baisse du temps passé en HD en centre, le nombre « d'entrées » dans le compartiment HD centre reste très élevé du fait des allers retours des patients dans les trajectoires simulées entre ce compartiment et les autres modalités de traitement.

**Tableau 39. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 18-44 ans diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.**

		S0	S 1	S 2	S 3	S 4	S 5	S 6	S 7
Distribution initiale (%)	DPA non assistée	3,5	13,8	3,5	3,5	13,8	3,5	3,5	3,5
	DPCA non assistée	3,6	3,6	14,6	3,6	14,6	3,6	3,6	3,6
	<b>HD en Centre</b>	<b>67,4</b>	<b>57,1</b>	<b>56,5</b>	<b>67,4</b>	<b>46,2</b>	<b>67,4</b>	<b>67,4</b>	<b>67,4</b>
Répartition moyenne du temps passé sur la période (%)	DPA assistée	0,6	0,7	0,7	0,5	0,8	0,5	0,6	0,5
	DPA non assistée	0,9	2,2	1,3	0,9	2,4	0,7	0,9	0,7
	DPCA assistée	0,3	0,3	0,3	0,3	0,2	0,2	0,3	0,2
	DPCA non assistée	0,5	0,6	1,2	0,5	1,2	0,4	0,5	0,4
	HD en autodialyse	9,9	10,0	9,5	16,2	14,7	7,2	9,3	7,1
	<b>HD centre</b>	<b>23,4</b>	<b>21,9</b>	<b>21,5</b>	<b>17,5</b>	<b>15,7</b>	<b>18,9</b>	<b>21,8</b>	<b>18,3</b>
	HD domicile	0,7	0,7	0,7	0,7	0,6	0,5	0,7	0,5
	HD UDM	3,4	3,3	3,2	2,6	2,4	2,6	3,2	2,5
	Greffe donneurs décédés	59,4	59,5	60,7	59,9	61,0	68,1	58,8	66,4
	Greffe donneurs vivants	0,9	0,9	0,9	1,1	1,0	0,8	3,9	3,3
Nombre de transitions	DPA non assistée	66	169	96	65	198	64	69	67
	DPCA non assistée	57	59	166	57	169	57	57	57
	HD en autodialyse	382	387	368	645	585	345	374	343
	Nbre de patients transplantés - donneur DCD	730	733	746	765	775	844	730	829

		S0	S 1	S 2	S 3	S 4	S 5	S 6	S 7
	Nbre de patients transplantés - donneurs vivants	13	13	13	16	16	12	46	40
	<b>HD en Centre</b>	<b>1096</b>	<b>1021</b>	<b>1008</b>	<b>1146</b>	<b>971</b>	<b>1093</b>	<b>1096</b>	<b>1093</b>
Décès		481	479	474	452	449	435	467	429

*Lecture : les cases grisées correspondent aux paramètres modifiés (distribution initiale et/ou taux de transition) pour la mise en œuvre des stratégies simulées.*

Les 3 axes privilégiés dans la définition des stratégies de prise en charge simulées dans ce groupe d'âge étaient les suivants :

- l'augmentation de la DP à domicile autonome (DPA et DPCA non assistée) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance, en pont vers la greffe ;
- le développement de l'HD en unité d'autodialyse dans les trajectoires des patients en pont vers la greffe ou à plus long terme pour les patients ayant une contre-indication à la transplantation rénale ;
- le développement de la transplantation à partir de donneurs vivants et/ou décédés.

Le Tableau 40 présente les résultats des stratégies évaluées pour les 18-44 diabétiques dans le modèle en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) ainsi que les résultats actualisés (taux d'actualisation de 4 % par an).

**Tableau 40. Impact des stratégies évaluées pour les 18-44 diabétiques en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros)**

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût par mois	Coût par mois actualisé
Stratégie 0 : sans changement	130,8	104,2	586 632	463 893	4 485	4 453
Stratégie 1 : DPA non assistée + transfert HD autodialyse	130,9	104,3	582 209	459 797	4 448	4 410
Stratégie 2 : DPCA non assistée + transfert HD autodialyse	131,6	104,8	578 448	456 399	4 396	4 355
Stratégie 3 : HD autodialyse	135,4	107,6	581 300	456 910	4 293	4 248
Stratégie 4 : stratégie conjointe : DP non assistée + HD autodialyse	135,4	107,5	570 096	447 076	4 210	4 159
Stratégie 5 : développement de la greffe, donneurs décédés	137,3	108,9	562 192	442 117	4 095	4 059
Stratégie 6 : développement de la	132,8	105,7	580 056	457 910	4 368	4 332



Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût par mois	Coût par mois actualisé
greffe, donneurs vivants						
Stratégie 7 : développement greffe, vivant et décédé	138,3	109,6	559 641	439 714	4 047	4 012

L'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1 000 patients était de 130,8 mois pour la stratégie de base fondée sur des simulations à partir des pratiques observées (S0). Elle variait de 130,9 à 138,3 pour les stratégies évaluées dans ce groupe d'âge.

Les coûts de prise en charge sur 180 mois variaient de 559 641 € à 582 209 € par patient versus 586 632 € par patient dans les pratiques observées (S0). Le coût de prise en charge par mois variait de 4 047 à 4 448 € par patient versus 4 485 € par patient dans les pratiques observées (S0).

Après prise en compte d'une actualisation de 4 % par an<sup>84</sup>, l'espérance de vie variait de 104,2 à 109,6 mois et les coûts de 439 147 € à 459 797 € selon les stratégies considérées.

Afin d'estimer l'impact des stratégies initiales sur le court terme, des simulations ont été envisagées sur une période de temps limitée à 3 ans. Le choix de ce seuil de 3 ans s'expliquait par le fait qu'à cette date, 49 % de ce groupe de patients étaient déjà porteurs d'un greffon fonctionnel.

Le Tableau 41 présente les résultats des stratégies relatives à la dialyse évaluées dans le modèle en termes d'espérance de vie sur 36 mois et de coût de prise en charge (euros), ainsi que les résultats actualisés (taux d'actualisation de 4 % par an).

**Tableau 41. Impact des stratégies évaluées pour les 18-44 diabétiques en termes d'espérance de vie et de coût de prise en charge (euros) sur 36 mois**

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 36 mois	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût par mois	Coût par mois actualisé
Stratégie 0 : sans changement	33,6	33,2	215 650	199 887	6 418	6 021
Stratégie 1 : DPA non assistée + transfert HD autodialyse	33,6	33,2	212 457	196 875	6 331	5 937
Stratégie 2 : DPCA non assistée + transfert HD autodialyse	33,6	33,2	209 764	194 404	6 239	5 852
Stratégie 3 : HD	34,0	33,6	206 632	191 487	6	5 705

<sup>84</sup> Les coûts et les résultats futurs ont été actualisés afin de les ramener à leur valeur présente par un taux d'actualisation de 4 %.

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 36 mois	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût par mois	Coût par mois actualisé
autodialyse					081	
Stratégie 4 : stratégie conjointe de développement de la DP non assistée et de l'HD autodialyse	33,9	33,5	199 817	185 112	5 900	5 533

Dans ces simulations fondées sur les 3 premières années, l'espérance de vie moyenne restreinte était proche pour toutes les stratégies : elle était de 33,6 mois pour la stratégie de base et les stratégies 1 et 2, de 33,9 mois pour la stratégie 4 et de 34 mois pour la stratégie 3.

Les coûts de prise en charge sur 3 ans se différençaient également peu : ils variaient de 199 817 € par patient pour la stratégie conjointe de développement de la DP et de l'autodialyse (S4) à 212 457 € par patient pour celle relative au développement de la DPA au démarrage du traitement (S1), *versus* 215 650 € dans la stratégie de base.

En termes de coûts moyens par mois actualisés, les stratégies permettaient un gain de 84 à 169 € par mois par patient pour la DP (S1 et S2), de 316 € par mois par patient pour l'autodialyse (S3) et 488 € pour la stratégie conjointe de développement de la DP et de l'HD autodialyse (S4) par rapport à la stratégie de base.

### ► Résultats de l'analyse de l'efficacité

#### Analyse des ratios différentiels coût-résultat sur l'ensemble des stratégies évaluées

Les RDCR (ratios différentiels coût-résultat) ont été calculés pour chacune des stratégies évaluées à partir des résultats du modèle sur une période de 180 mois (données de résultat et de coût actualisés).

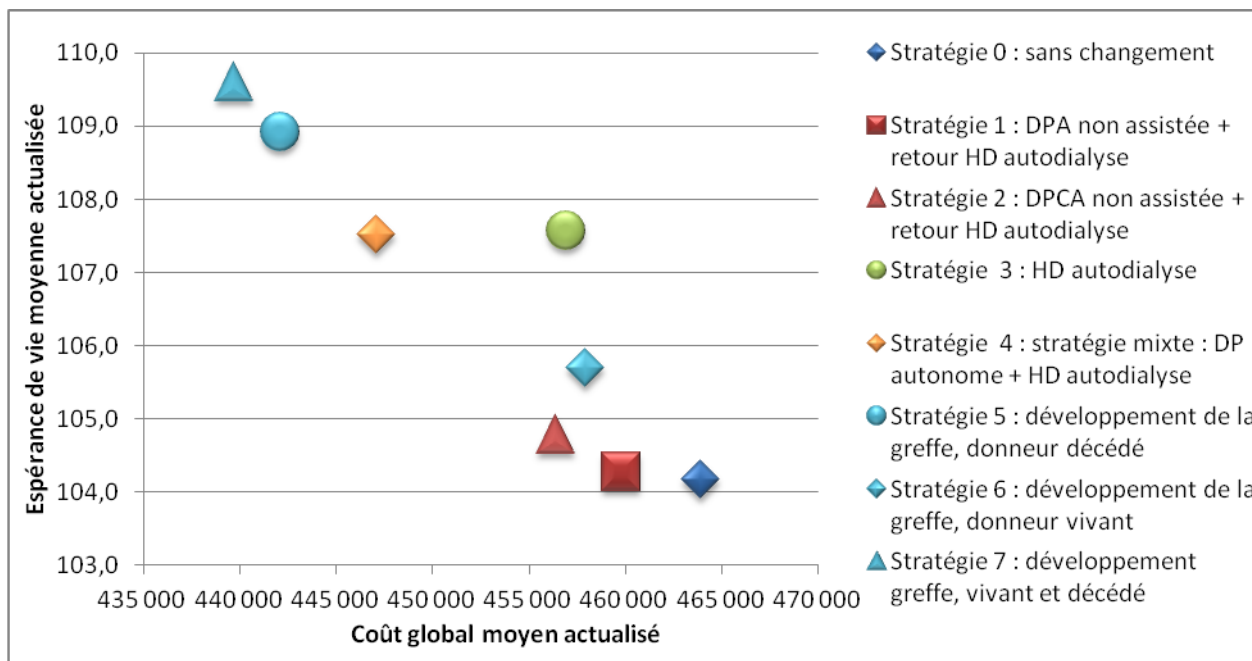
L'analyse de ces ratios a mis en évidence une stratégie efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées qui correspond à la stratégie conjointe de transplantation à partir de donneurs décédés et vivants (S7)<sup>85</sup>.

Dans cette stratégie, l'espérance de vie moyenne actualisée sur 180 mois était de 109,6 mois et le coût moyen global actualisé de prise en charge sur la période était de 439 714 € par patient.

Une seule stratégie se trouvait par conséquent sur la frontière d'efficacité. Les autres stratégies évaluées et la stratégie de base amenaient une espérance de vie plus courte pour un coût plus élevé; elles étaient donc dominées (cf. Figure 12).

85 Il n'y a pas de RDCR dans la mesure où une seule stratégie est efficiente.

**Figure 12. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficacité des stratégies évaluées chez les 18-44 ans, diabétiques**



### Analyses de sensibilité

Les analyses de sensibilité en scénario ont été conduites sur les stratégies relatives au développement de la dialyse péritonéale autonome (DPA et DPCA non assistée) au démarrage du traitement de suppléance, sans simuler le transfert des patients vers l'HD en autodialyse (S1'et S2'). Ces analyses de sensibilité en scénario ne modifiaient pas les conclusions de l'analyse de référence ; par rapport aux autres stratégies, le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés et vivant (S7) restait la stratégie efficiente sur 180 mois.

Des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité ont été conduites pour toutes les stratégies évaluées. L'hypothèse haute où les taux de transitions vers le décès du (ou des) compartiment(s) ciblé(s) des stratégies simulées seraient équivalents au taux de transition de l'HD centre vers le décès a été testée en analyse de sensibilité. Cette analyse de sensibilité ne changeait pas l'ordre des conclusions de l'analyse de référence.

#### ► Discussion des stratégies évaluées pour les 18-44 diabétiques

Les stratégies évaluées correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 18 à 44 ans diabétiques, sur un horizon temporel restreint de 180 mois. A 180 mois, 48 % de ces patients étaient décédés. Les autres patients continuaient leur trajectoire qui n'a pu être modélisée dans cette étude du fait de l'absence de données disponibles sur une période supérieure à 15 ans.

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait seulement 123 patients parmi les 9 609 patients incidents (1,3 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 38,9 ans.

### Les stratégies efficaces

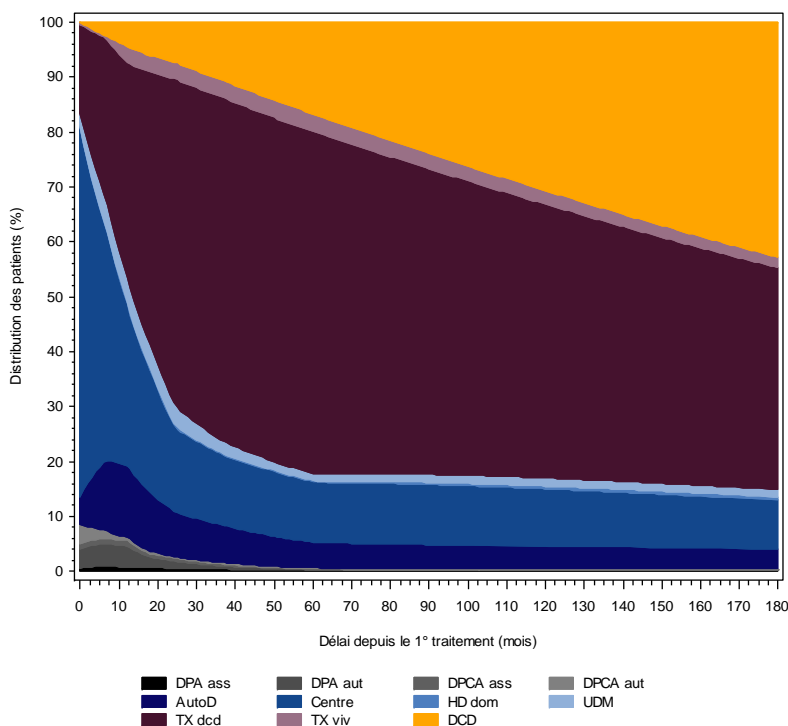
Le développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés et vivants était la seule stratégie de prise en charge efficiente par rapport aux autres stratégies évaluées dans l'analyse de référence.

L'impact sur l'espérance de vie actualisée de cette stratégie était de 109,6 mois versus 104,2 mois dans les simulations fondées sur données observées. Concernant cette différence de 5 mois entre les 2 stratégies, le modèle ne peut différencier ce qui relève de l'effet du traitement sur l'espérance de vie du biais de sélection des patients âgés de 18 à 44 ans diabétiques les moins à risque en faveur de la greffe. Les analyses de sensibilité en mortalité, faisant l'hypothèse très « pessimiste » d'une mortalité identique en transplantation et en HD centre, ne modifiaient cependant pas les conclusions. Avec cette hypothèse, l'espérance de vie simulée serait inférieure de 1,4 mois (108,2 mois actualisée) et toujours supérieure à l'espérance de vie simulée à partir des données observées.

En termes de coût global moyen, la différence entre cette stratégie de développement conjoint de la transplantation rénale avec la stratégie de base était de 24 179 € par patient sur 180 mois. Rapportée par mois, cette stratégie correspondait à un gain par mois de 441€ par patient par rapport à la stratégie de base (données actualisées).

Cette stratégie était fondée sur un développement simultané de la transplantation à partir de donneurs vivants et à partir de donneurs décédés. Le nombre de transplantations simulées à partir de donneurs vivants était de 40 et de 829 à partir de donneurs décédés (*versus* 13 et 730 dans la stratégie de base). Dans cette stratégie conjointe de développement de la transplantation rénale, la cible en termes de temps passé des patients de 18 à 44 ans diabétiques avec un greffon fonctionnel était de 69,7 % (vs 60 % dans la stratégie de base, cf. Figure 13). Les stratégies évaluées étaient tronquées à droite, et ne permettaient pas de simuler des stratégies de transfert en dialyse après échecs de greffes, ni de simuler des variations de décès post-greffe intervenant après le transfert en dialyse.

**Figure 13. Stratégie 7 – transplantation : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 18-44 ans diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance**



## Les autres stratégies

En dehors du développement de la transplantation rénale, 2 autres axes ont été privilégiés dans les modifications des trajectoires de patients simulées pour ce groupe d'âge : l'augmentation de la DP autonome à domicile (DPA et DPCA non assistée) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance avec un transfert préparé à 2 ans en HD autodialyse et le développement de l'HD en unité d'autodialyse.

Bien que non efficaces par rapport à la greffe (seule stratégie efficace), les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -4 096 € à -21 776 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Les résultats du modèle à 180 mois montraient que l'espérance de vie actualisée associée aux stratégies relatives au développement de l'HD en autodialyse (S3 et S4) était de 108 mois *versus* 104 mois (différence de 4 mois) ; le coût global moyen par mois inférieur (de 6 982 € à 16 817 €) par rapport à la stratégie de base, notamment pour la stratégie conjointe qui combinait développement de l'autodialyse et de la DP non assistée (S4). Le modèle ne permettait pas de différencier ce qui relevait de l'effet de la stratégie de prise en charge sur l'espérance de vie, du biais de sélection très probable des patients les moins sévères orientés en autodialyse. Cependant, dans les analyses de sensibilité en mortalité, faisant l'hypothèse très « pessimiste » d'une mortalité identique en autodialyse et en HD centre, l'espérance de vie simulée serait inférieure de 0,6 mois (107 mois, valeur actualisée) pour la stratégie 3.

Dans les stratégies fondées sur un démarrage plus important de la cohorte de patients en DP non assistée (S1 et S2), les espérances de vie moyennes étaient très proches de celle observée dans les pratiques (104 mois en moyenne, données actualisées). Les coûts globaux moyens actualisés sur 180 mois de ces stratégies étaient par ailleurs légèrement inférieurs à ceux obtenus avec la stratégie de base (de 4 096 à 7 493 € par patient). Les coûts par mois actualisés de ces stratégies variaient de 4 410 € par mois pour la stratégie fondée sur le démarrage en DPA (S1) à 4 159 € par mois par patient pour la stratégie conjointe de développement de la DP non assistée au démarrage et de l'autodialyse dans les trajectoires des patients (S3) et étaient inférieurs à ceux de la stratégie de base (4 453 € par patient). A noter que pour la DP à domicile et l'HD autodialyse, des coûts de transition correspondant à la période d'entraînement ont été pris en compte (15 jours pour la DP non assistée et 2 mois pour l'autodialyse).

Bien que les stratégies fondées sur une augmentation de la DP non assistée au démarrage et/ou une augmentation de l'autodialyse dans les trajectoires des patients, soient non efficaces par rapport à la stratégie relative au développement de la transplantation, elles permettaient de maintenir équivalentes les espérances de vie avec un impact à la baisse sur les coûts par rapport à la stratégie de base. Les résultats du modèle à 3 ans corroboraient ces conclusions : les espérances de vie étaient équivalentes pour toutes les stratégies et les coûts mensuels variaient de la même façon que dans les résultats du modèle à 180 mois.

### 5.2.3 Patients de 45-69 ans, non diabétiques

#### **Encadré 18. Evaluation médico-économique des stratégies de prise en charge pour les patients de 45-69 ans, non diabétiques**

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 193 patients parmi les 9 609 patients incidents (22,8 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ce groupe d'âge était de 59,2 ans.

Dans la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées, sur 15 ans, les patients passaient en moyenne 52 % de leur temps avec un greffon fonctionnel. La part de l'HD Centre représentait 24 % du temps passé sur la période.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 110,4 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées.

Le coût global moyen de prise en charge sur cette même période était de 406 854 euros.

Huit stratégies d'évolution de la prise en charge ont été évaluées. Elles étaient fondées sur la modification des trajectoires de patients entre les modalités de traitement selon 4 axes :

- l'augmentation de la DP à domicile autonome (DPA et DPCA non assistées) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance ;
- l'augmentation de l'UDM comme modalité de démarrage ;
- le développement de l'HD en unité d'autodialyse dans les trajectoires des patients ;
- le développement de la greffe à partir de donneurs vivants et/ou décédés

L'analyse de l'efficacité a mis en évidence deux stratégies situées sur la frontière d'efficacité par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées :

- la stratégie conjointe de développement de la transplantation à partir de donneurs décédés et vivants (stratégie 7), qui correspondait à 558 patients transplantés à partir d'un donneur décédé et 55 à partir d'un donneur vivant (*versus* 475 et 20 respectivement dans les pratiques observées) ;
- la stratégie conjointe de développement de la dialyse péritonéale autonome (DPA et DPCA non assistée) et de l'autodialyse (stratégie 4) qui correspondait à un temps moyen passé en HD centre de 15 % (*versus* 24 % dans les pratiques observées).

Bien que non efficaces par rapport la greffe à partir de donneurs vivants et/ou décédés et au développement conjoint de la dialyse péritonéale autonome et de l'autodialyse, les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celle relative au développement de l'UDM au démarrage. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -19 768 à +1 225 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

► **Stratégies évaluées**

**Tableau 42. Stratégies évaluées pour les patients de 45-69 ans, non diabétiques**

Population : 45-69 non diabétiques		
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario	Analyses de sensibilité sur la mortalité
<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée + privilégier un transfert vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 3,9 % (observé) jusqu'à 15,6 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPA non assistée et l'HD autodialyse par 10 000 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée sans transfert vers l'HD autodialyse</p>	<p><b>Stratégie 1 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPA non assistée vers décès par les ceux du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA autonome + privilégier un transfert vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPCA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 5 % (observé) jusqu'à 19,9 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPCA non assistée et l'HD autodialyse par 10 000 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA non assistée sans transfert vers l'HD autodialyse</p>	<p><b>Stratégie 2 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPCA non assistée vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en autodialyse + privilégier un transfert vers l'HD UDM après 5 ans de HD autodialyse</p> <p>Multiplication des taux de transition des compartiments HD centre et UDM vers le compartiment HD autodialyse par 2, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment HD autodialyse et l'HD UDM par 3, entre 60 et 180 mois.</p>	<p><b>Stratégie 3</b> : développement de l'HD en autodialyse sans transfert vers l'HD UDM</p>	<p><b>Stratégie 3 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD autodialyse vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 4</b> : stratégie conjointe : développement de la DP non assistée et de l'HD en autodialyse</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 3,9 % (observé) jusqu'à 15,6 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 5 % (observé) jusqu'à 19,9 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition des compartiments HD centre et UDM vers le compartiment HD autodialyse par 2, sur les 60 premiers mois en limitant l'effet mécanique du modèle sur la transplantation</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre les compartiments DPA et DPCA non assistées et l'HD autodialyse par 10 000 entre 24 et 60 mois.</p>		<p><b>Stratégie 4 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments DPA et DPCA non assistée et HD autodialyse vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps</p>

Population : 45-69 non diabétiques		
<p><b>Stratégie 5</b> : développement de la greffe, donneurs décédés</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs décédés par 2, sur les 24 premiers mois, en maintenant le nombre de greffe donneurs vivants stable (ce qui revient à multiplier les taux de transition vers la greffe donneurs vivants par 1,3).</p>		<p><b>Stratégie 5 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment transplantation donneurs décédés vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 6</b> : développement de la greffe, donneurs vivants</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs vivants par 5, sur les 24 premiers mois, en maintenant le nombre de greffe donneurs décédés stable (ce qui revient à multiplier les taux de transition vers la greffe donneurs décédés par 1,15).</p>		<p><b>Stratégie 6 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment transplantation donneurs vivants vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 7</b> : stratégie conjointe - développement de la greffe, donneurs vivants et donneurs décédés</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers les compartiments transplantation donneurs vivants par 5 et compartiment transplantation donneurs décédés par 2, sur les 24 premiers mois.</p>		<p><b>Stratégie 7 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments transplantation donneurs vivants et décédé vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 8</b> : développement de l'UDM au démarrage</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de l'HD UDM de 2,7 % (observé) jusqu'à 8,1 %, aux dépens de l'HD Centre.</p>		<p><b>Stratégie 8 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>

### ► Résultats des stratégies évaluées pour les 45-69 ans non diabétiques

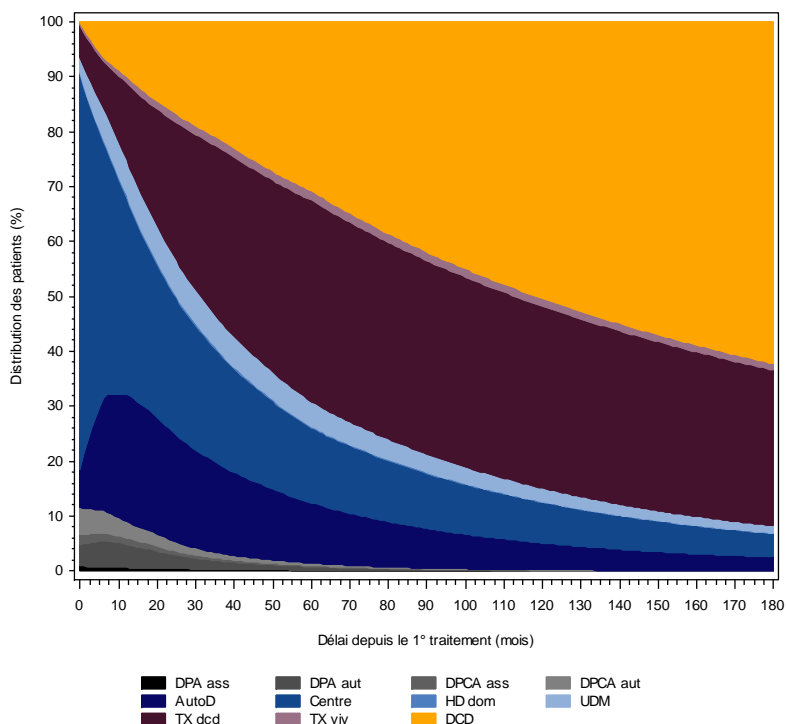
Les stratégies évaluées dans le modèle correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 45 à 69 ans non diabétiques, sur un horizon temporel de 180 mois (15 ans).

Dans la stratégie de base fondée sur des simulations à partir de données observées, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois des patients de 45-69 ans non diabétiques était en moyenne de 110,4 mois.

La Figure 14 décrit l'évolution dans le temps de la répartition de cette cohorte de patients sur 180 mois en fonction des 10 modalités de traitement et vers le décès. La surface totale des aires en gris (DP), bleu (HD), violet (TX) représente l'espérance de vie restreinte sur 180 mois. A 180 mois, 62 % des patients de ce groupe étaient décédés.



**Figure 14. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 45-69 ans non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.**



Les stratégies évaluées dans ce modèle à compartiments avaient un impact sur la distribution initiale des patients parmi les 10 modalités de traitement, sur le nombre de transitions et sur la répartition moyenne du temps passé dans les modalités de traitement sur la période (cases grisées Tableau 43).

Dans les données observées (distribution initiale), l'HD centre comme modalité de démarrage concernait 72 % des patients. Sur 15 ans, les patients passaient en moyenne 52 % de leur temps avec un greffon fonctionnel.

Les **stratégies 1 et 2** portaient sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important de la cohorte en DP autonome (DPA et DPCA non assistée) et un transfert préparé vers l'HD en unité d'autodialyse après 2 ans.

La dialyse péritonéale non assistée, peu développée dans les données observées au démarrage du traitement (3,9 % pour la DPA et 5 % pour la DPCA), a été augmentée jusqu'à 15,6 % pour la DPA (S1) et jusqu'à 19,9 % (S2) pour la DPCA. Le transfert des patients a été simulé au bout de 2 ans vers l'hémodialyse en unité d'autodialyse afin de maintenir les patients dans une modalité de traitement autonome. Ce repli en autodialyse était très peu observé ; en pratique, ces patients étant très souvent repliés de façon non programmée vers l'hémodialyse en centre. Dans ces stratégies, la part de l'hémodialyse en centre au démarrage diminuait jusqu'à 57 %.

La **stratégie 8** portait sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important de la cohorte en UDM (sans passage initial par de l'HD en centre) de 8,1 % *versus* 2,7 % dans les simulations fondées sur les données observées. Dans cette stratégie, la part de l'hémodialyse en centre au démarrage diminuait jusqu'à 66 %.

La **stratégie 3** concernait une modification des taux de transition au profit du développement de l'HD en unité d'autodialyse dans les trajectoires des patients avec un transfert préparé en UDM après 5 ans. Dans cette stratégie, le temps moyen passé sur la période en autodialyse était de 19,4 % (*versus* 15,1 % pour S0).

La **stratégie 4** était une stratégie de développement conjoint de la DP et de l'autodialyse. Dans cette stratégie les taux de transition vers le compartiment transplantation ont été contraints afin de limiter l'effet lié à l'augmentation importante du nombre de patients dans les compartiments de dialyse autonome (réservoir de la transplantation), et maintenir un nombre de transplantations raisonnable pour permettre l'évaluation de la seule stratégie envisagée pour ce groupe de patients. En termes de temps passé dans les différentes modalités de traitement sur la période de l'étude l'impact de cette stratégie conjointe était le suivant : 5,7 % pour la DP non assistée, 20,4 % pour l'HD autodialyse, 15,2 % pour l'HD centre, 4 % pour l'UDM et 53,2 % pour la transplantation.

Dans les stratégies 1, 2, 4 et 8 portant sur un démarrage du traitement de suppléance plus important en DP (S1, S2 et S4) ou en UDM (S8), la part de l'HD centre au démarrage diminuait jusqu'à 45,5 % pour la stratégie conjointe de développement de la DP et de l'HD en autodialyse (S4) *versus* 72 % dans la stratégie de base (S0).

Les **stratégies 5 et 6** concernaient une modification des taux de transition en faveur du développement de la transplantation rénale, respectivement à partir de donneurs vivants et donneurs décédés. La stratégie 7 était une stratégie conjointe avec les 2 types de donneurs. Dans les simulations fondées sur les données observées pour ce groupe d'âge, les patients passaient en moyenne 51,6 % de leur temps avec un greffon fonctionnel (S0).

La part de l'HD centre dans la répartition moyenne du temps passé était de 23,6 % dans les pratiques simulées à partir des données observées (S0) ; elle diminuait dans toutes les stratégies, jusqu'à 15 % dans la stratégie 4 (hypothèse d'un réservoir de patients dialysés en centre transférables vers des modalités de traitement autonomes en DP et HD en autodialyse).

Même si le temps moyen passé par les patients dans la modalité HD centre diminuait dans toutes les stratégies simulées (jusqu'à 15 % dans la stratégie 4), le nombre « d'entrées » dans le compartiment HD centre restait très élevé du fait des allers retours des patients entre l'HD centre et les autres modalités de traitement dans les trajectoires simulées (nombre de transitions), en particulier, pour la stratégie de développement de l'autodialyse (S3).

**Tableau 43. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 45-69 ans non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.**

		S0	S1	S2	S3	S4	S5	S6	S7	S8
Distribution initiale (%)	DPA non assistée	3,9	15,6	3,9	3,9	15,6	3,9	3,9	3,9	3,9
	DPCA non assistée	5,0	5,0	19,9	5,0	19,9	5,0	5,0	5,0	5,0
	HD en UDM	2,7	2,7	2,7	2,7	2,7	2,7	2,7	2,7	8,1
	<b>HD en Centre</b>	<b>72,1</b>	<b>60,4</b>	<b>57,2</b>	<b>72,1</b>	<b>45,5</b>	<b>72,1</b>	<b>72,1</b>	<b>72,1</b>	<b>66,7</b>
Répartition moyenne du temps passé en traitement sur la période (%)	DPA assistée	0,3	0,3	0,3	0,3	0,3	0,2	0,3	0,2	0,3
	DPA non assistée	1,5	3,0	2,2	1,4	3,3	1,1	1,3	1,1	1,5
	DPCA assistée	0,5	0,5	0,5	0,4	0,5	0,4	0,4	0,4	0,5
	DPCA non assistée	1,1	1,2	2,5	1,1	2,4	0,9	1,0	0,9	1,1
	HD en autodialyse	15,1	15,3	15,1	19,4	20,4	11,3	13,7	11,3	14,8
	<b>HD centre</b>	<b>23,6</b>	<b>21,2</b>	<b>20,8</b>	<b>18,2</b>	<b>15,2</b>	<b>19,8</b>	<b>21,9</b>	<b>19,8</b>	<b>22,7</b>
	HD domicile	0,3	0,3	0,3	0,3	0,3	0,2	0,3	0,2	0,3

		S0	S 1	S 2	S 3	S 4	S 5	S 6	S 7	S 8
	HD UDM	5,9	5,5	5,4	5,9	4,4	4,6	5,3	4,6	7,2
	Greffe donneurs décédés	49,3	50,3	50,3	50,8	50,7	59,0	48,5	59,0	49,3
	Greffe donneurs vivants	2,3	2,4	2,4	2,3	2,5	2,4	7,2	2,4	2,4
Nombre de transitions	DPA autonome	70	188	109	69	226	68	70	68	70
	DPCA autonome	70	75	220	69	224	69	69	69	69
	HD en autodialyse	433	445	440	619	596	410	424	410	428
	HD en UDM	196	187	183	227	174	178	189	178	244
	Nbre de patients transplantés - donneur DCD	475	493	494	516	525	576	475	558	479
	Nbre de patients transplantés – donneur VIV	20	21	21	20	23	21	60	55	20
	<b>HD en Centre</b>	<b>1016</b>	<b>920</b>	<b>894</b>	<b>1059</b>	<b>833</b>	<b>988</b>	<b>1003</b>	<b>988</b>	<b>977</b>
Décès		623	610	610	591	579	577	602	567	619

*Lecture : les cases grisées correspondent aux paramètres modifiés (distribution initiale et/ou taux de transition) pour la mise en œuvre des stratégies simulées.*

Les 4 axes privilégiés dans la définition des stratégies de prise en charge simulées dans ce groupe d'âge étaient les suivants :

- l'augmentation de la DP autonome (DPA et DPCA non assistée) comme modalité de démarrage ;
- l'augmentation de l'UDM comme modalité de démarrage ;
- le développement de l'autodialyse dans les trajectoires des patients ;
- le développement de la transplantation rénale, à partir de donneurs décédés ou/et vivants.

Le Tableau 44 (page suivante) présente les résultats des stratégies évaluées dans le modèle en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) ainsi que les résultats actualisés (taux d'actualisation de 4 % par an).

**Tableau 44. Impact des stratégies en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) chez les patients de 45-69 ans non diabétiques**

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen actualisé (euros)	Coût moyen par mois (euros)	Coût moyen par mois actualisé (euros)
Stratégie 0 : sans changement	110,4	89,2	406 854	331 543	3 685	3 715
Stratégie 1 : DPA autonome + transfert HD autodialyse	112,7	91,0	405 236	329 448	3 596	3 620
Stratégie 2 : DPCA autonome + transfert HD autodialyse	112,6	90,9	402 640	327 151	3 576	3 599
Stratégie 3 : HD autodialyse + transfert HD UDM	116,4	93,7	407 359	329 899	3 500	3 520
Stratégie 4 : stratégie conjointe : DP autonome +HD en autodialyse	118,9	95,6	404 846	326 439	3 405	3 414
Stratégie 5 : greffe, donneurs décédés	116,2	93,4	382 505	311 775	3 292	3 338
Stratégie 6 : greffe, donneurs vivants	113,0	91,1	397 145	323 541	3 515	3 551
Stratégie 7 : greffe, donneurs vivants et donneurs décédés	117,5	94,3	378 187	308 163	3 219	3 267
Stratégie 8 : UDM au démarrage	111,3	89,9	408 748	332 767	3 672	3 700

L'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1 000 patients était de 110,4 mois pour la stratégie de base fondée sur des simulations à partir de pratiques observées. Elle variait de 111,3 à 118,9 mois pour les stratégies évaluées dans ce groupe d'âge.

Les coûts de prise en charge moyen pour un patient sur toute la période variaient de 378 187 € à 408 748 € par patient *versus* 406 854 € pour la stratégie de base. Le coût de prise en charge moyen par mois pour un patient variait de 3 219 à 3 672 € *versus* 3 685 € pour la stratégie de base.

Après prise en compte d'une actualisation de 4 % par an<sup>86</sup>, l'espérance de vie variait de 89,2 à 95,9 mois et les coûts de 308 163 € à 332 767 € par patient selon les stratégies considérées.

## ► Résultats de l'analyse de l'efficacité

### Analyse des ratios différentiels coût-résultat sur l'ensemble des stratégies évaluées

Les RDCR (ratios différentiels coût-résultat) ont été calculés pour chacune des stratégies évaluées à partir des résultats du modèle sur une période de 180 mois (données de résultat et de coût actualisées). L'analyse des RDCR a mis en évidence deux stratégies efficaces par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées qui correspondaient au :

<sup>86</sup> Les coûts et les résultats futurs ont été actualisés afin de les ramener à leur valeur présente par un taux d'actualisation de 4 %.

- développement de la transplantation rénale à partir de donneurs vivants et de donneurs décédés (S7);
- développement conjoint de la DP autonome (DPA et DPCA non assistée) et de l'autodialyse (S4).

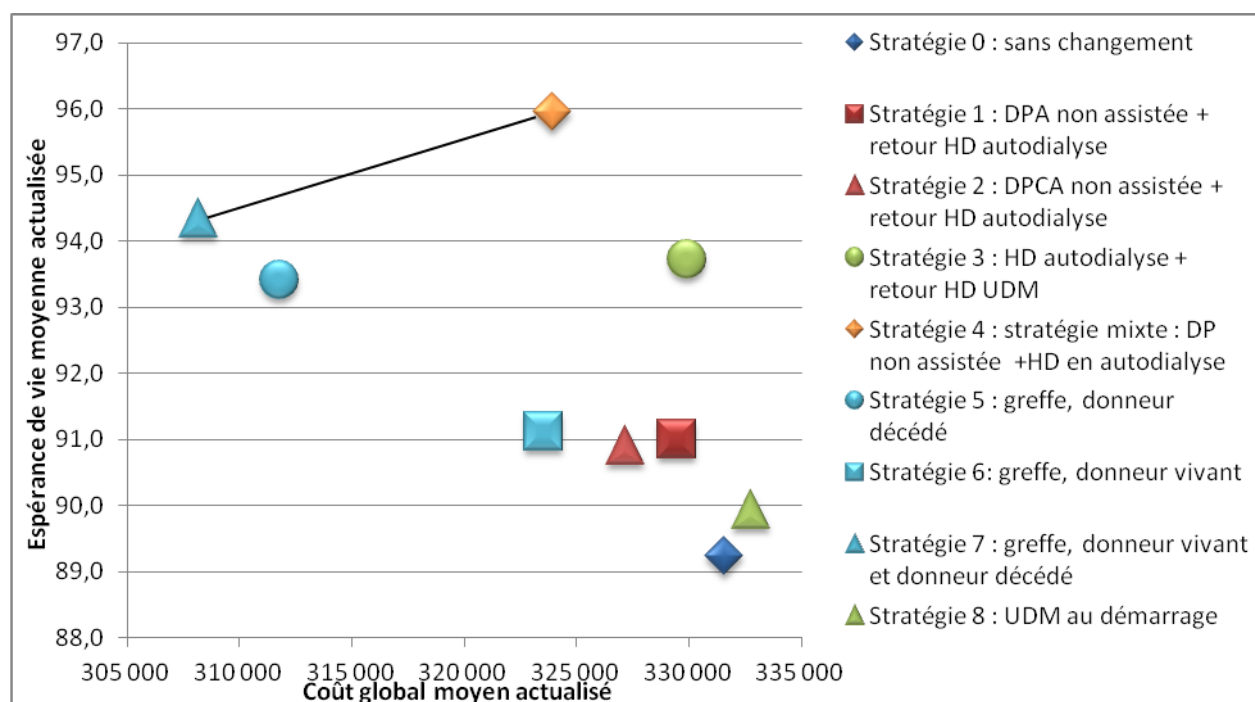
Dans la stratégie conjointe relative au développement de la transplantation (S7), l'espérance de vie moyenne actualisée était de 94,3 mois sur la période de l'étude (180 mois). Le coût moyen global actualisé de cette prise en charge était de 308 163 €.

Dans la stratégie conjointe de développement conjoint de la DP non assistée et de l'autodialyse (S4), l'espérance de vie moyenne actualisée était de 95,6 mois et le coût moyen global actualisé de cette prise en charge était de 326 439 €.

L'analyse du RDCR indiquait que le coût supplémentaire pour un mois de vie en plus avec la stratégie 4 (stratégie conjointe DP non assistée et autodialyse) par rapport à la stratégie 7 (transplantation à partir de donneurs décédés et vivants) était de 14 496 € sur la période de l'étude.

Ces deux stratégies se trouvaient sur la frontière d'efficacité. Toutes les autres stratégies étaient donc dominées avec une espérance de vie plus courte et un coût plus élevé (cf. figure 15).

**Figure 15. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficacité des stratégies évaluées chez les patients de 45-69 ans, non diabétiques**



### Analyses de sensibilité

Les analyses de sensibilité en scénario ont été conduites sur les stratégies relatives au développement de la dialyse péritonéale (S1, S2) et de l'autodialyse (S3) sans simuler le transfert des patients vers l'autodialyse après 2 ans de DP (S1' et S2') et vers l'UDM après 5 ans d'autodialyse (S3'). Ces analyses de sensibilité en scénario ne modifiaient pas les conclusions de

l'analyse de référence ; les stratégies 7 et 4 restaient efficaces par rapport aux autres stratégies évaluées.

Des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité ont été conduites pour toutes les stratégies évaluées. L'hypothèse haute où les taux de transitions vers le décès du (ou des) compartiments ciblé(s) des stratégies simulées seraient équivalents au taux de transition de l'HD en centre vers le décès a été testée en analyse de sensibilité. Cette analyse ne changeait pas les conclusions de l'analyse de référence.

### ► Discussion des stratégies évaluées pour les 45-69 ans non diabétiques

Les stratégies évaluées correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 45 à 69 ans non diabétiques, sur un horizon temporel restreint de 180 mois (15 ans). A 180 mois, 40 % de ces patients étaient toujours vivants. L'espérance de vie ainsi calculée par le modèle était restreinte.

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 193 patients parmi les 9 609 patients incidents ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ce groupe d'âge était de 59,2 ans.

### Les stratégies efficaces

Le développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés et vivants (S7) et la stratégie conjointe de développement de la DP autonome (DPA et DPCA non assistée) et de l'autodialyse (S4) étaient deux stratégies efficaces dans l'analyse de référence par rapport aux autres stratégies évaluées.

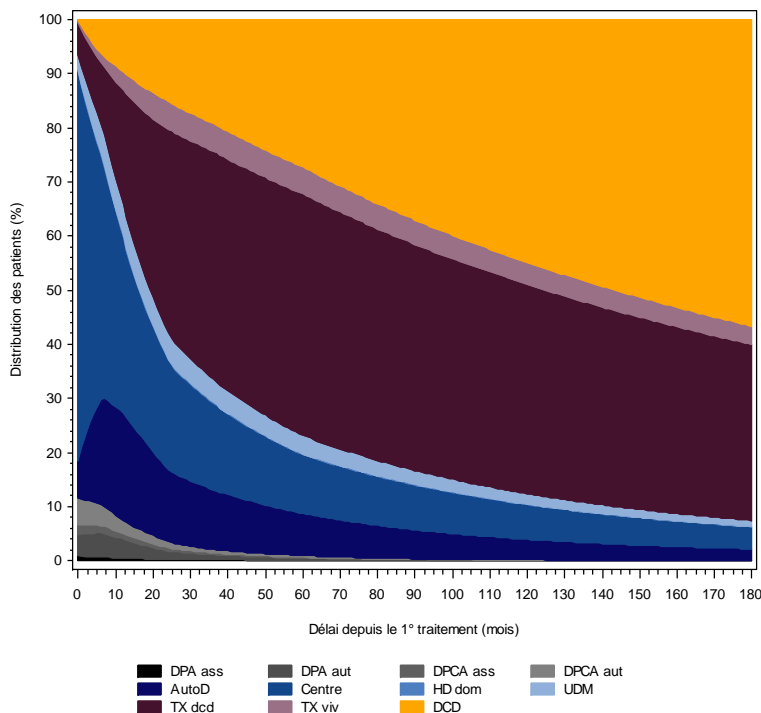
La stratégie conjointe de développement de la transplantation rénale se fondait sur un accroissement conjoint du nombre de greffes à partir de donneurs vivants et décédés (S7).

L'impact sur l'espérance de vie de cette stratégie était de 94,3 mois *versus* 89,2 mois dans les simulations fondées sur données observées (données actualisées). Le modèle ne permettait pas de différencier ce qui relevait de l'effet de la stratégie de prise en charge sur l'espérance de vie du biais de sélection des patients âgés de 45 à 69 ans non diabétiques les moins à risque en faveur de la transplantation. Les analyses de sensibilité en mortalité, faisant l'hypothèse très « pessimiste » d'une mortalité identique en transplantation et en HD centre, ne modifiaient cependant pas les conclusions. Le modèle ne permettait pas non plus de simuler des variations de décès post-greffe intervenant après le transfert en dialyse. En termes de coût global moyen, la différence avec la stratégie de base était de 23 380 € sur 180 mois, ce qui correspondait à un gain par mois de 448 € (données actualisées).

Selon les simulations fondées sur les données observées, sur 1 000 patients, on constatait 475 greffes à partir de donneurs décédés et 20 à partir de donneurs vivants sur les 15 premières années ; sur cette période, ces patients ont passé en moyenne 52 % de leur temps avec un greffon fonctionnel. Dans cette stratégie, la cible en termes de temps passé des patients de 45 à 69 ans non diabétiques avec un greffon fonctionnel était de 61,4 % (figure 16).

Le développement prudent de la greffe rénale à partir de donneurs vivants simulé dans cette stratégie était de 55 greffes chez 1 000 patients âgés de 45 à 69 ans non diabétiques. Cette stratégie prenait en considération la montée en charge encore très limitée de cette option thérapeutique pour l'ensemble des candidats à la greffe dans ce groupe de patients. Le développement de la greffe rénale à partir de donneurs décédés simulé dans cette stratégie était de 558 greffes chez 1 000 patients âgés de 45 à 69 ans diabétiques.

**Figure 16. Scénario 7 – Transplantation** Evolution de la répartition par modalité de traitement des patients de 45-69 ans non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.



La stratégie conjointe fondée sur un développement conjoint de la dialyse péritonéale autonome (DPA et DPCA non assistée) et de l'autodialyse (S4) était également efficace dans l'analyse de référence.

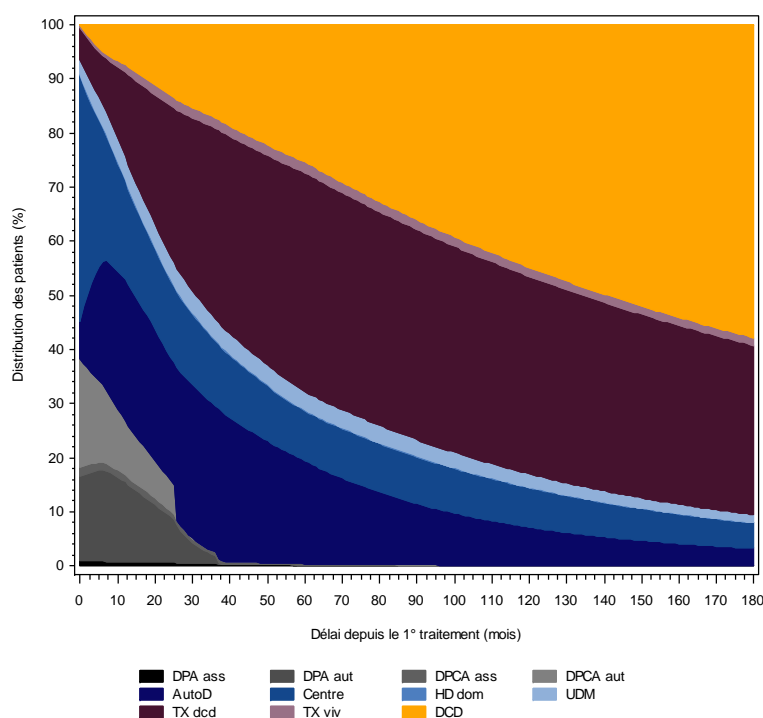
Cette stratégie conjointe se fondait sur la multiplication par 4 du nombre de patients démarrant par une DP non assistée à domicile en respectant la même répartition des patients entre la DPA et la DPCA. Une telle augmentation équivaut à un démarrage de 38 % des patients en DP non assistée (figure 17). Afin d'optimiser la trajectoire de prise en charge des patients mis en DP non assistée et ainsi éviter le passage en HD centre, un transfert préparé en HD autodialyse entre 24 et 60 mois a été simulé permettant de maintenir l'autonomie des patients.

L'impact sur l'espérance de vie de cette stratégie était de 95,6 mois *versus* 89,2 mois dans les simulations fondées sur données observées (données actualisées). La différence en termes de coût global moyen était de 5 104 € sur 180 mois, ce qui correspondait à un gain par mois de 301 € par rapport à la stratégie de base.

La différence d'espérance de vie très faible avec le développement de la transplantation (S7) en faveur de la stratégie conjointe fondée sur le développement des modalités de dialyse autonome (95,6 mois *versus* 94,3) pouvait s'expliquer par une sélection très importante des patients dans ces stratégies de prise en charge (profil des patients très proches de ceux transplantés). L'analyse de sensibilité déterministe sur la mortalité n'a cependant pas modifié l'ordre des conclusions. Les espérances de vie prédites par le modèle dans l'hypothèse d'une mortalité identique à celle observée en HD centre seraient de 93 mois pour la stratégie 7 et 95 mois pour la stratégie 4 (espérances de vie actualisées).

Bien que cet effet ait été minimisé dans la simulation effectuée, le nombre de transplantations a augmenté du fait d'une augmentation du nombre de patients dans les compartiments « dialyse autonome – autodialyse - DP » d'où sont issus ces patients (effet mécanique du modèle à compartiment).

**Figure 17. Scénario 4 – DP autonome et autodialyse : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients 45-69 non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.**



### Les autres stratégies

Les patients âgés de 44 à 69 ans non diabétiques formaient un groupe hétérogène pour lequel, d'autres axes ont été privilégiés dans les modifications des trajectoires de patients entre les modalités de traitement simulées :

- le démarrage du traitement en DP autonome (DPA et DPCA non assistée) avec transfert préparé en autodialyse après 2 ans (S1 et S2) ;
- l'UDM comme modalité de démarrage pour des patients (S8).
- le développement de l'autodialyse dans les trajectoires des patients comme modalité de traitement autonome, en privilégiant un transfert préparé en HD UDM au-delà de 60 mois (S3) ;

Bien que non efficaces par rapport au développement conjoint de la transplantation rénale (S7) et au développement conjoint de la DP autonome (DPA et DPCA non assistée) et de l'autodialyse (S4), les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celle relative au développement de l'UDM au démarrage. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -19 768 à +1 225 € par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

En termes d'impacts sur l'espérance de vie, les stratégies fondées sur une modification de la répartition des patients au démarrage en faveur de la DP non assistée (S1 et S2) ou de l'UDM (S8) étaient très proches des simulations fondées sur les pratiques observées (le différentiel



d'espérance de vie par rapport à la stratégie de base était de +1,7 et 1,8 mois pour les stratégies privilégiant la DP au démarrage et de +0,7 mois pour l'UDM, données actualisées).

Les stratégies fondées sur le démarrage en DP non assistée étaient moins coûteuses (entre 2 000 et 4 000 € de moins sur 180 mois), tandis que le coût global de traitement pour la stratégie privilégiant l'UDM au démarrage était légèrement plus élevé que celui de la stratégie de base (332 767 € *versus* 331 543 € dans les pratiques observées, données actualisées). Le développement de l'UDM au démarrage (S8) permettait de diminuer de seulement 1 % le temps moyen passé en HD centre et les coûts de traitement étaient relativement proches entre l'HD en centre et en UDM (cf. étude de coût).

La stratégie relative au développement de l'HD en autodialyse en privilégiant un transfert programmé en HD UDM pour les patients au-delà de 60 mois générait une espérance de vie de 93,7 mois par rapport aux pratiques observées de 89,2 mois (données actualisées). Cependant le modèle ne permettait pas différencier ce qui relevait de l'effet de la stratégie de prise en charge sur l'espérance de vie, du biais de sélection très probable des patients les moins à risques orientés en autodialyse. Dans les analyses de sensibilité en mortalité, faisant l'hypothèse très « pessimiste » d'une mortalité identique en autodialyse et en HD centre, l'espérance de vie prédite serait de 92,7 mois. En termes de coût global moyen, la stratégie développant l'autodialyse avait un coût sur 180 mois quasiment équivalent à celui de la stratégie de base (329 899 € *versus* 331 543 € par patient dans les données observées, actualisées). L'impact sur la répartition moyenne du temps passé en HD autodialyse était de 19,4 % (*versus* 15,1 % pour S0), de 18,2 % en HD centre (*versus* 23,6 % pour S0) et équivalent à la stratégie de base concernant l'UDM (5,9 %).

## 5.2.4 Patients de 45-69 ans, diabétiques

### Encadré 19. Evaluation médico-économique des stratégies de prise en charge pour les patients de 45-69 ans, diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 1 565 patients parmi les 9 609 patients incidents (16,3 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ce groupe d'âge était de 62,2 ans.

Dans la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées, sur 15 ans, les patients passaient en moyenne 24 % de leur temps avec un greffon fonctionnel. La part de l'HD Centre représentait 48 % du temps passé sur la période.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 75,2 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées.

Le coût global moyen de prise en charge sur cette même période était de 457 265 euros.

Sept stratégies d'évolution de la prise en charge ont été évaluées. Elles étaient fondées sur la modification des trajectoires de patients entre les modalités de traitement selon 4 axes :

- l'augmentation de la DP à domicile autonome (DPA et DPCA non assistées) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance ;
- le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients ;
- le développement de l'HD en unité d'autodialyse dans les trajectoires des patients ;
- le développement de la greffe à partir de donneurs décédés

L'analyse de l'efficacité a mis en évidence deux stratégies situées sur la frontière d'efficacité par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées :

- le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés (stratégie 7) qui correspondait à 239 greffes (*versus* 186 dans les pratiques observées) ;
- la stratégie conjointe de développement de la dialyse péritonéale autonome (DPA et DPCA non assistée) et de l'UDM de proximité (stratégie 6), qui correspondait à 36 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 48 % dans les pratiques observées).

L'analyse de sensibilité en scénario montrait que la stratégie relative au développement de la DPCA non assistée au démarrage (13 % des patients *versus* 4 %), sans transfert simulé en HD UDM après de 2 ans de traitement (stratégie S2') était une stratégie efficace (située sur la frontière d'efficacité).

Bien que non efficaces par rapport au développement de la greffe à partir de donneurs décédés et au développement conjoint de la dialyse péritonéale autonome et de l'UDM de proximité, les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celles relative au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients.

La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -3 944 à +5 887 € par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

► **Stratégies évaluées**

**Tableau 45. Stratégies évaluées pour les patients de 45-69 ans, diabétiques**

Population : 45-69 diabétiques		
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario	Analyses de sensibilité sur la mortalité
<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée + privilégier un transfert vers l'HD UDM après 2 ans de DPA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 2,3 % (observé) jusqu'à 9,2 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPA non assistée et l'HD autodialyse par 50 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée sans transfert vers l'HD UDM</p>	<p><b>Stratégie 1 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPA non assistée vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA autonome + privilégier un transfert vers l'HD UDM après 2 ans de DPCA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 4,4 % (observé) jusqu'à 13,1 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPCA non assistée et l'HD UDM par 100 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA non assistée sans transfert vers l'HD UDM</p>	<p><b>Stratégie 2 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPCA non assistée vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en UDM + privilégier un transfert vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 3, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment HD UDM et l'HD Centre par 3, entre 60 et 180 mois.</p>	<p><b>Stratégie 3</b> : développement de l'HD en UDM sans transfert vers l'HD Centre</p>	<p><b>Stratégie 3 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 4</b> : développer l'HD en UDM de proximité + privilégier un transfert vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 3, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment HD UDM et l'HD Centre par 3, entre 60 et 180 mois.</p> <p>Simulation de la baisse des coûts de transport pour l'UDM de proximité : multiplication du coût mensuel de l'HD UDM par 0,97 (ce qui correspond à la substitution des coûts de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse).</p>	<p><b>Stratégie 4</b> : développement de l'HD en UDM de proximité sans transfert vers l'HD Centre</p>	<p><b>Stratégie 4 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 5</b> : stratégie conjointe - développement de la</p>		<p><b>Stratégie 5 + substituer</b> les</p>

<b>Population : 45-69 diabétiques</b>		
<p>DP non assistée et de l'HD en UDM</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 2,3 % (observé) jusqu'à 9,2 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 4,4 % (observé) jusqu'à 13,1 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 3, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre les compartiments DPA et DPCA non assistée et l'HD UDM par 50 entre 24 et 60 mois.</p>		<p>taux de transition actuels des compartiments DPA et DPCA non assistée et HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps</p>
<p><b>Stratégie 6</b> : stratégie conjointe - développement de la DP non assistée et de l'HD en UDM de proximité</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA non assistée de 2.3 % (observé) jusqu'à 9.2 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA non assistée de 4.4 % (observé) jusqu'à 13.1 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 3, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre les compartiments DPA et DPCA non assistée et l'HD UDM par 50 entre 24 et 60 mois.</p> <p>Simulation de la baisse des coûts de transport pour l'UDM de proximité : multiplication du coût mensuel de l'HD UDM par 0,97 (ce qui correspond à la substitution des coûts de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse).</p>		<p><b>Stratégie 6 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments DPA et DPCA non assistée et HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps</p>
<p><b>Stratégie 7</b> : développement de la greffe, donneurs décédés</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs décédés par 2, sur les 24 premiers mois.</p>		<p><b>Stratégie 7 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment transplantation donneurs décédés vers décès par les taux de transitions du compartiment HD centre vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>

### ► Résultats des stratégies évaluées chez les 45-69 diabétiques

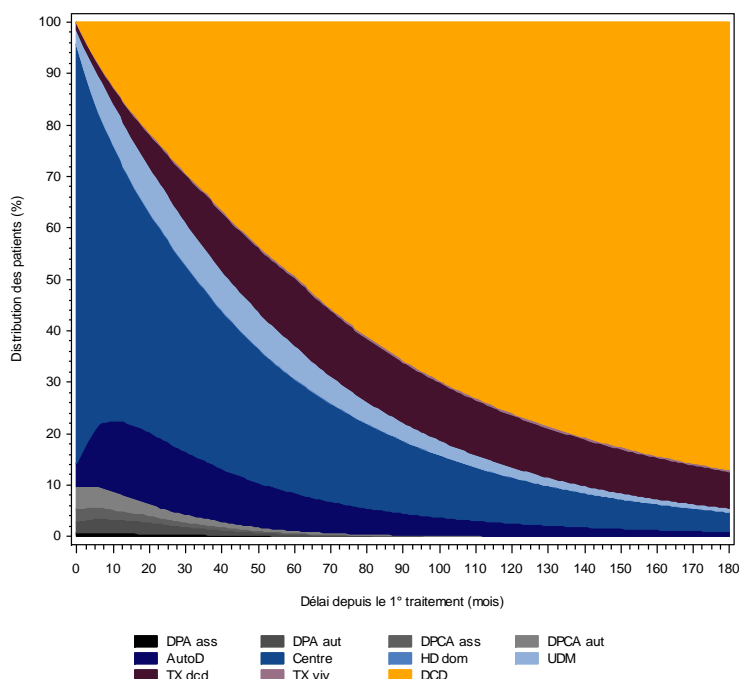
Les stratégies évaluées dans le modèle correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 45 à 69 ans diabétiques, sur un horizon temporel de 180 mois.

Dans la stratégie de base fondée sur des simulations à partir de données observées, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois des patients de 45-69 ans diabétiques était en moyenne de 75 mois.

A 180 mois, 87 % de ces patients étaient décédés. L'espérance de vie restreinte à 180 mois était donc peu différente d'une espérance de vie entière.

La Figure 18 décrit l'évolution dans le temps de la répartition de cette cohorte de patients sur 180 mois en fonction des 10 modalités de traitement et vers le décès. Chaque surface colorée représente le temps passé total dans chacune des différentes modalités. La surface totale des aires en gris (DP), bleu (HD), violet (TX) représente l'espérance de vie restreinte sur 180 mois.

**Figure 18. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 45-69 ans diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance**



Les stratégies évaluées dans ce modèle à compartiments avaient un impact sur la distribution initiale des patients parmi les 10 modalités de traitement, sur le nombre de transitions et sur la répartition moyenne du temps passé dans les modalités de traitement sur la période (cases grisées Tableau 46).

Sur 15 ans, les patients de groupe d'âge passaient en moyenne 24 % de leur temps avec un greffon fonctionnel et 48 % en HD Centre.

Les **stratégies 1 et 2** portaient sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important de la cohorte en DP non assistée et un transfert simulé vers l'hémodialyse en UDM après 2 ans.

La dialyse péritonéale non assistée, peu développée dans les données observées au démarrage du traitement (2,3 % pour la DPA et 4,4 % pour la DPCA), pourrait concerner les patients dont l'état clinique permet un traitement à domicile et les patients suffisamment autonomes pour assurer eux-mêmes leur traitement. Dans les stratégies, l'augmentation simulée de cette technique au démarrage a été poussée jusqu'à 9,2 % pour la DPA (S1) et 13,1 % pour la DPCA (S2). La part de l'HD centre au démarrage diminuait ainsi jusqu'à 73 % (*versus* 82 % dans la stratégie de base).

Les **stratégies 3 et 4** concernaient une modification des taux de transition au profit du développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients, avec un transfert simulé en hémodialyse en centre au-delà de 5 ans. Les **stratégies 5 et 6** étaient des stratégies conjointes de développement de la DP non assistée et de l'UDM et de la DP non assistée et de l'UDM de proximité.

Les stratégies relatives au développement de l'UDM de proximité étaient fondées sur les mêmes volumes et taux de transitions que celles relatives au développement de l'UDM (stratégies 3 et 4 et stratégie conjointe 5 et 6). Elles ne se différenciaient que par les coûts de transport qui ont été simulés à la baisse dans le scénario UDM de proximité<sup>87</sup>.

La part de l'UDM dans la répartition du temps moyen passé était de 10 % dans les simulations fondées sur les données observées ; elle a été augmentée à 17 % dans les stratégies 3 et 4, jusqu'à un maximum de 19 % dans les stratégies conjointes 5 et 6 ; dans ces stratégies conjointes, la part de l'HD centre sur la répartition moyenne du temps passé diminuait jusqu'à 36,3 % (*versus* 48,2 % pour S0).

Malgré une baisse du temps passé en HD centre, dans les stratégies 3 et 4, le nombre de passages (ou nombre « d'entrées ») dans le compartiment HD centre restait très élevé du fait de la modélisation du transfert programmé en HD centre dans les trajectoires de ces patients au-delà de 5 ans passés en UDM.

La **stratégie 7** concernait le développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés. La part du temps passé avec un greffon fonctionnel, en moyenne de 24 % sur la période, a été augmentée jusqu'à 30 %. Dans les simulations fondées sur les données observées, la part de la transplantation à partir de donneurs vivants était très faible (6 greffes pour 1 000 patients âgés de 45 à 69 ans diabétiques, dans la stratégie de base) ; la stratégie visant à développer la transplantation à partir de donneurs vivants dans ce groupe de patients n'a donc pas été retenue dans les scénarios simulés.

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD centre sur la répartition moyenne du temps passé était de 48,2 % dans les simulations fondées sur les pratiques observées. Dans toutes les stratégies, cette part diminuait jusqu'à 36 % dans les stratégies 5-6 (hypothèse de l'existence d'un réservoir de patients dialysés transférables vers une autre modalité).

**Tableau 46. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 45-69 ans diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions**

		S0	S 1	S 2	S 3 -S 4	S 5 -S 6	S 7
Distribution initiale (%)	DPA non assistée	2,3	9,2	2,3	2,3	9,2	2,3
	DPCA non assistée	4,4	4,4	13,1	4,4	13,1	4,4
	<b>HD en Centre</b>	<b>81,7</b>	<b>74,8</b>	<b>73,0</b>	<b>81,7</b>	<b>66,1</b>	<b>81,7</b>
Répartition moyenne du temps passé sur la période (%)	DPA non assistée	0,4	0,5	0,5	0,4	0,6	0,4
	DPA non assistée	1,4	2,7	1,8	1,3	2,9	1,2
	DPCA non assistée	1,0	1,0	1,1	0,9	1,0	0,9
	DPCA non assistée	1,7	1,8	3,3	1,6	3,3	1,6
	HD en autodialyse	13,6	12,9	12,9	13,0	11,9	12,0
	<b>HD centre</b>	<b>48,2</b>	<b>45,6</b>	<b>45,5</b>	<b>41,5</b>	<b>36,3</b>	<b>44,9</b>
	HD domicile	0,3	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2
	HD UDM	9,9	11,0	10,9	16,9	19,1	8,9
	Greffe donneurs décédés	22,7	23,3	22,9	23,2	23,9	29,0
	Greffe donneurs vivants	0,9	0,9	0,9	0,9	0,8	0,9
Nombre de	DPA non assistée	45	115	62	45	132	45

<sup>87</sup> Multiplication du coût mensuel de l'HD UDM par 0,97, ce qui correspondait à la substitution des coûts de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse.

		S0	S 1	S 2	S 3 -S 4	S 5 -S 6	S 7
transitions	DPCA non assistée	65	68	153	64	156	64
	HD en UDM	223	248	244	432	445	218
	Patients transplantés donneur DCD	186	193	188	199	209	239
	<b>HD en Centre</b>	<b>1120</b>	<b>1070</b>	<b>1059</b>	<b>1250</b>	<b>1094</b>	<b>1119</b>
Décès		870	867	869	862	862	854

*Lecture : les cases grisées correspondent aux paramètres modifiés (distribution initiale et/ou taux de transition) pour la mise en œuvre des stratégies simulées.*

Les 3 axes privilégiés dans la définition des stratégies de prise en charge simulées dans ce groupe d'âge étaient les suivants :

- l'augmentation de la dialyse péritonéale autonome (DPA et DPCA non assistée) comme modalité de démarrage ;
- le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients ;
- le développement de la transplantation rénale, à partir de donneurs décédés.

Le Tableau 47 présente les résultats du modèle en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) ainsi que les résultats actualisés (taux d'actualisation de 4 % par an).

**Tableau 47. Impact des stratégies évaluées pour les 45-69 diabétiques en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) chez les patients de 45-69 ans diabétiques**

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisée (euros)	Coût par mois (euros)	Coût par mois actualisé (euros)
Stratégie 0 : sans changement	75,2	63,9	457 265	379 716	6 077	5 946
Stratégie 1 : DPA non assistée + transfert HD UDM	76,2	64,6	456 750	378 641	5 993	5 861
Stratégie 2 : DPCA non assistée + transfert HD UDM	75,6	64,2	453 383	375 771	5 994	5 856
Stratégie 3 : HD UDM + transfert HD Centre	79,0	66,8	466 882	385 602	5 911	5 773
Stratégie 4 : HD UDM proximité + transfert HD Centre	79,0	66,8	464 545	383 622	5 882	5 743
Stratégie 5 : stratégie conjointe : DP non assistée + UDM	80,1	67,6	460 776	379 339	5 750	5 609
Stratégie 6 : stratégie conjointe : DP non assistée	80,1	67,6	458 093	377 126	5 716	5 577

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisée (euros)	Coût par mois (euros)	Coût par mois actualisé (euros)
+ UDM proximité						
Stratégie 7 : greffe DCD	78,1	65,9	452 198	374 959	5 788	5 688

L'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1 000 patients était de 75,2 mois pour la de base (S0) fondée sur des simulations à partir des pratiques observées. Elle variait de 75,6 à 80,1 mois pour les stratégies évaluées dans ce groupe d'âge.

Les coûts de prise en charge moyens pour un patient sur toute la période variaient de 452 198 € à 466 882 € par patient *versus* 457 265 € par patient pour la stratégie de base. Le coût de prise en charge moyen par mois pour un patient variait de 5 716 € à 5 994 € par patient *versus* 6 077 € par patient pour la stratégie de base.

Après prise en compte d'une actualisation de 4 % par an<sup>88</sup>, l'espérance de vie variait de 63,9 à 67,6 mois et les coûts de 374 959 € par patient et 385 602 € par patient selon les stratégies considérées.

### ► Résultats de l'analyse de l'efficacité

#### Analyse des ratios différentiels coût-résultat sur l'ensemble des stratégies évaluées

Les RDCR (ratios différentiels coût-résultat) ont été calculés pour chacune des stratégies évaluées à partir des résultats du modèle sur une période de 180 mois (données de résultat et de coût actualisées).

L'analyse des RDCR a mis en évidence deux stratégies efficaces par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées qui correspondaient :

- au développement de la transplantation à partir de donneurs décédés (S7) ;
- à la stratégie conjointe de développement de la DP autonome (DPA et DPCA non assistée) et de l'UDM de proximité (S6).

Dans la stratégie 7, l'espérance de vie moyenne actualisée était de 65,9 mois sur la période de l'étude de 180 mois. Le coût moyen global actualisé de prise en charge sur la même période était de 374 959 € par patient.

Dans la stratégie 6, l'espérance de vie moyenne actualisée était de 67,6 et le coût moyen global actualisé de 377 126 € par patient.

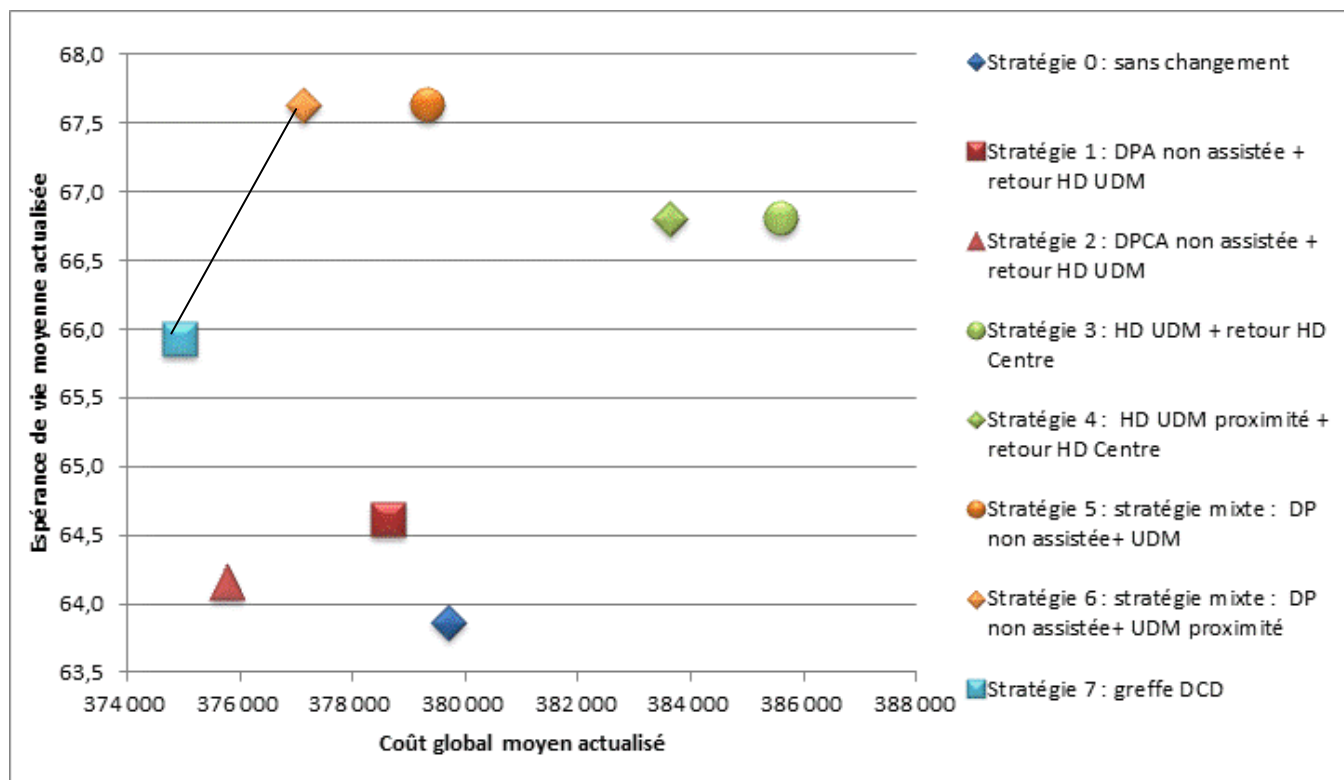
L'analyse du RDCR indiquait que le coût supplémentaire pour un mois de vie en plus avec la stratégie 6 par rapport à la stratégie 7 était de 1 276 € sur la période de l'étude (données actualisées).

Ces deux stratégies se trouvaient sur la frontière d'efficacité. Toutes les autres stratégies étaient donc dominées avec une espérance de vie plus courte et un coût plus élevé (cf. Figure 19).

<sup>88</sup> Les coûts et les résultats futurs ont été actualisés afin de les ramener à leur valeur présente par un taux d'actualisation de 4 %.



Figure 19. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficacité des stratégies évaluées chez les patients de 45-69 ans, diabétiques



extra-rénale

### Analyses de sensibilité

Les analyses de sensibilité en scénario ont été conduites sur les stratégies relatives au développement de la DPA non assistée et de l'UDM (et UDM de proximité) au démarrage du traitement de suppléance sans simuler le transfert des patients vers l'UDM après 2 ans de DPA (S1') et vers l'HD centre après 5 ans d'UDM ou d'UDM de proximité (S3' et S4'). Ces analyses de sensibilité en scénario ne modifiaient pas les conclusions de l'analyse de référence, les stratégies 7 et 6 restaient efficaces.

A contrario, l'analyse de sensibilité en scénario concernant le développement de la DPCA autonome seule, sans transfert simulé en HD UDM après 2 ans (S2') modifiait les conclusions de l'analyse de référence. Cette stratégie entraînait une diminution de l'espérance de vie de 0,6 mois et du coût de 3 845 € par patient par rapport à la stratégie de développement de la DPCA non assistée au démarrage, avec un transfert programmé en HD UDM (S2).

L'analyse des RDCR mettait alors en évidence 3 stratégies efficaces par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées :

- le développement de la DPCA non assistée sans transfert programmé (S2') ;
- le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés (S7) ;
- la stratégie conjointe de développement de la DP non assistée et de l'UDM de proximité (S6).

L'analyse des RDCR indiquait que le coût supplémentaire pour un mois de vie en plus avec la stratégie 7 par rapport à la stratégie 2' était de 1 294 € et de 1 276 € avec la stratégie 6 par rapport à la stratégie 7. Ces trois stratégies se situaient sur la frontière d'efficacité, les autres stratégies étaient toutes dominées.

Des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité ont été conduites pour toutes les stratégies évaluées. L'hypothèse haute où les taux de transitions vers le décès du (ou des)

compartiment(s) ciblé(s) des stratégies simulées seraient équivalents au taux de transition de l'hémodialyse en centre vers le décès a été testée en analyse de sensibilité. Cette analyse ne changeait pas l'ordre des conclusions de l'analyse de référence. Les stratégies 7 et 6 restaient efficaces, avec cependant un RDCR inférieur à celui de l'analyse de référence : le coût pour un mois de vie supplémentaire avec la stratégie 6 par rapport à la stratégie 7 était de 471 € sur la période de l'étude (*versus* 1 276 € dans l'analyse de référence).

#### ► Discussion des stratégies évaluées pour les 45-69 diabétiques

Les stratégies évaluées correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 45 à 69 diabétiques, sur un horizon temporel restreint de 180 mois. A 180 mois, 87 % de ces patients étaient décédés. Ainsi, les simulations de l'espérance de vie sur 180 mois, étaient peu éloignées de l'espérance de vie entière.

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 1 565 patients parmi les 9 609 patients incidents (16,3 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ce groupe d'âge était de 62,2 ans.

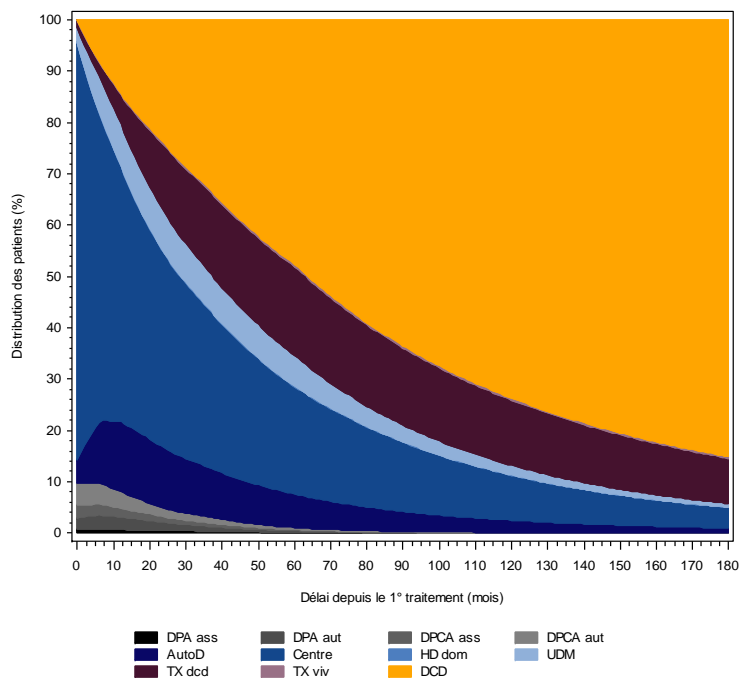
#### Les stratégies efficaces

Le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés (S7) et la stratégie conjointe de développement de la DP non assistée (DPA et DPCA) et de l'UDM de proximité (S6) étaient deux stratégies efficaces dans l'analyse de référence par rapport aux autres stratégies évaluées (espérance de vie la plus longue pour un coût moindre par rapport à toutes les autres stratégies simulées et la stratégie de base). En outre, l'analyse de sensibilité en scénario a montré que le développement de la DPCA non assistée seule, sans transfert simulé en HD UDM après 2 ans était également une stratégie efficace.

La stratégie de développement de la greffe rénale à partir de donneurs décédés était située sur la frontière d'efficacité. Son impact sur l'espérance de vie actualisée était de 66 mois sur 15 ans (*versus* 64 dans la stratégie de base) pour un coût global actualisé de prise en charge sur cette même durée moins élevé (- 4 600 € par patient). Cette différence de 2 mois, pourrait s'expliquer par un biais de sélection des patients âgés de 45 à 69 ans diabétiques les moins à risque en faveur de la greffe. Les analyses de sensibilité en mortalité, faisant l'hypothèse très « pessimiste » d'une mortalité identique en transplantation et en HD centre, ne modifiaient cependant pas les conclusions. Le coût par mois actualisé de cette stratégie était inférieur de 258 € par patient par rapport à la stratégie de base.

Le développement de la greffe rénale à partir de donneurs décédés, simulé dans cette stratégie portait le nombre de transplantations à 239 (*versus* 186 dans la stratégie de base) ; la cible en termes de temps passé des patients de 45 à 69 ans diabétiques avec un greffon fonctionnel était de 29 % (*versus* 23 % dans la stratégie de base).

**Figure 20. Scénario 7 – transplantation :** Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 45-69 ans diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance

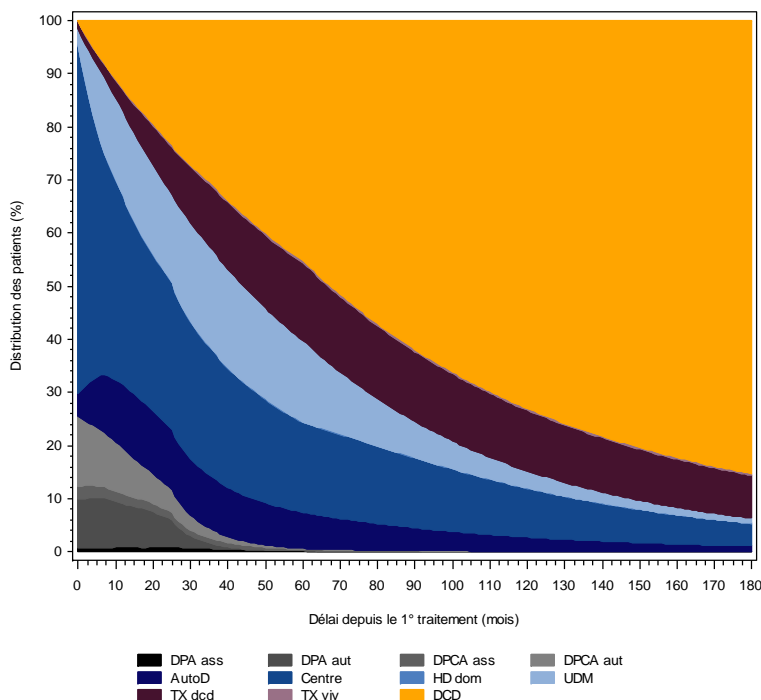


La stratégie conjointe de développement de la DP non assistée et de l'HD UDM proximité (S6) était également située sur la frontière d'efficacité. Cette stratégie était fondée sur la multiplication par 4 du nombre de patients démarrant par une DP non assistée à domicile, en respectant la même répartition des patients entre la DPA et la DPCA soit 0,5 pour la DPA. Une telle augmentation équivaut à démarrer 26,7 % des patients de cette population avec de la DP non assistée. Afin d'optimiser la trajectoire de prise en charge des patients mis en DP non assistée et éviter le passage en HD centre, un transfert préparé en HD UDM de proximité entre 24 et 60 mois a été simulé. L'HD en UDM de proximité a également été privilégiée aux dépens de l'HD en centre sur les 60 premiers mois. Globalement, la part du temps moyen total passé en UDM de proximité sur la période passait de 10 % à 19 %.

L'impact de cette stratégie sur l'espérance de vie actualisée était de 68 mois sur 15 ans (*versus* 64 mois dans la stratégie de référence) et le coût global moyen de prise en charge de 377 126 € par patient. Par rapport à la stratégie 7, la différence d'espérance de vie était très faible (+1,7 mois), de même que la différence concernant le coût global (+2 167 € par patient). Le coût supplémentaire pour un mois de vie en plus avec la stratégie 6 par rapport à la stratégie 7 était de 1 276 €.

Dans cette étude, l'UDM de proximité se différenciait de l'UDM uniquement par une baisse simulée des coûts de transport.

**Figure 21. Scénario 6 – DP non assistée et UDM proximité** : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients 45-69 diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance



L'analyse de sensibilité en scénario concernant le développement de la DPCA non assistée au démarrage sans transfert simulé en UDM au-delà de 2 ans de traitement a montré que cette stratégie (S2') était également située sur la frontière d'efficacité. Dans cette stratégie, les transferts en UDM après la période initiale de dialyse péritonéale n'étaient pas simulés (les taux de transitions entre la DPCA non assistée et l'UDM n'étaient pas modifiés). L'espérance de vie actualisée était pratiquement équivalente à celle de la stratégie simulant un transfert (respectivement 63,6 mois et 64,2 mois) avec un coût global actualisé inférieur (-3 845 € par patient). À 36 mois 2,8 % des patients étaient encore en DP *versus* 0,9 % dans la stratégie S2.

Par rapport à la stratégie de base, cette stratégie sans transfert simulé en UDM ne se différencie pas en termes d'espérance de vie actualisée (63,6 *versus* 63,9 mois) mais entraîne une diminution du coût global actualisé (-7 790 € par patient) du fait du coût de traitement de la DPCA non assistée inférieur à celui de l'UDM et de la forte augmentation simulée de la DPCA non assistée (de 4,5 à 17,5 %).

La stratégie privilégiant la transplantation avait un coût plus élevé que la stratégie relative au développement de la DPCA non assistée sans transfert programmé (+3 033 € par patient) et un différentiel d'espérance de vie de 2,3 mois (données actualisées). Ainsi, le RDCR indiquait que le coût pour un mois de vie supplémentaire avec la stratégie 7 par rapport à la stratégie 2' était de 1 294 € par patient.

Figure 22. Stratégie 2 – DPCA non assistée avec un transfert programmé en UDM pour les 45-69 ans diabétiques

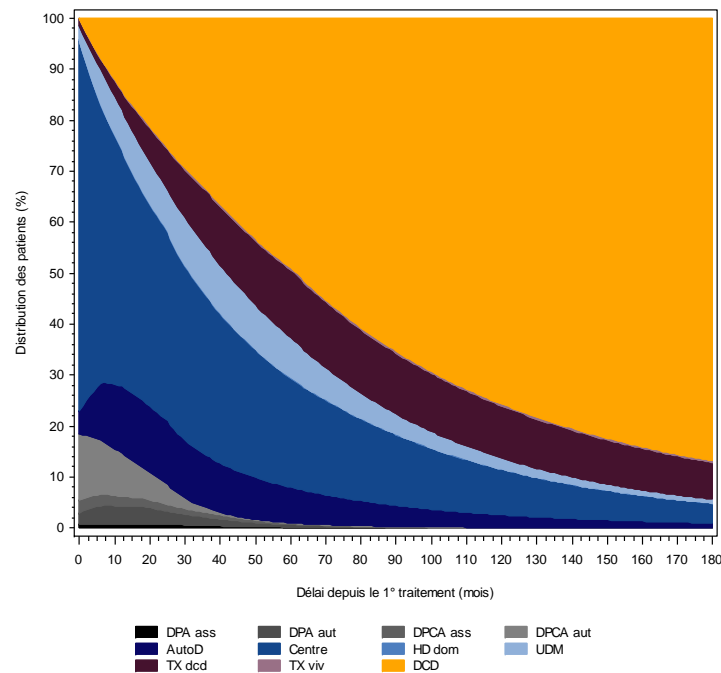
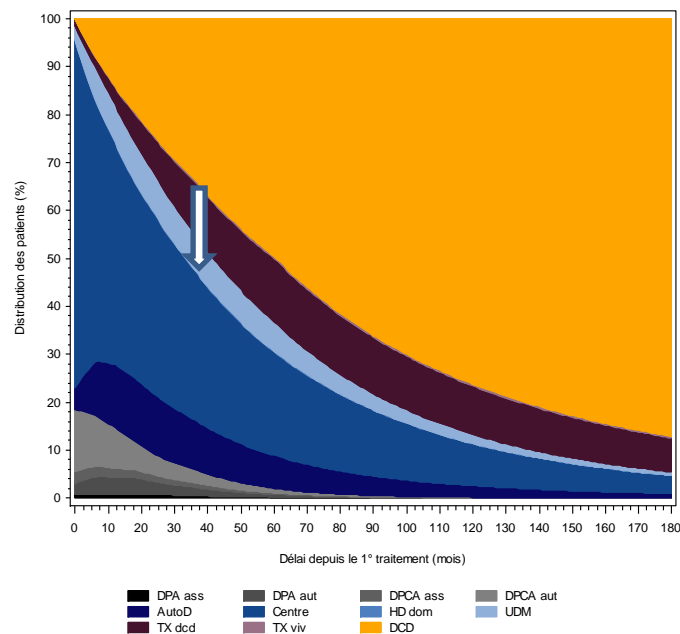


Figure 23. Stratégie 2' – DPCA non assistée sans un transfert programmé en UDM pour les 45-69 ans diabétiques



### Autres stratégies

Les patients âgés de 44 à 69 ans diabétiques, formaient un groupe hétérogène. En dehors des stratégies efficaces, les autres axes privilégiés dans la définition des stratégies simulées concernaient le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients (S3, S4) ainsi que l'augmentation de la DP autonome (DPA et DPCA non assistée) comme modalité de démarrage avec un transfert programmé en hémodialyse.

Bien que non efficientes par rapport aux stratégies situées sur la frontière d'efficacité, d'autres stratégies apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celles relative au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients.

La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -3 944 à +5 887 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Le développement de la dialyse péritonéale non assistée (S1, S2) comme modalité de démarrage, permet de maintenir l'autonomie des patients par un traitement à domicile. Afin d'anticiper dans de bonnes conditions le repli vers l'hémodialyse en centre, le transfert préparé vers l'HD en UDM a été simulé au-delà de 2 ans de traitement. Les stratégies d'augmentation de la DP au démarrage (DPA et DPCA non assistée) généraient toutes deux une espérance de vie moyenne actualisée proche de la stratégie de base (64,6 et 64,2 mois *versus* 63,9 mois). Le coût global moyen actualisé pour la DPA était également proche de celui de la stratégie de base (378 641 € par patient pour S1 *versus* 379 716 € par patient pour S0) ; il était moins élevé pour la DPCA (375 771 € par patient pour S2).

Les stratégies favorisant le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité (S3, S4) généraient une espérance de vie légèrement plus élevée par rapport à la stratégie de base ce qui pourrait s'expliquer par un profil de patients moins sévères orientés vers l'UDM par rapport à l'HD centre (66,8 mois pour S3-S4 *versus* 63,9 mois pour S0, données actualisées). Cependant les analyses en sensibilité substituant la mortalité en UDM par celle observée en HD en centre ne montraient pas d'impact majeur sur l'espérance de vie (66,3 mois *versus* 66,8).

Le développement de l'HD UDM aux dépens de l'HD Centre (S3) permettait de diminuer de 7 % le temps moyen passé en HD centre et de baisser le coût moyen actualisé par mois à 5 773 € par patient *versus* 5 946 € par patient (pour S0). En substituant les coûts de transport actuellement observés en HD en UDM par ceux observés en HD autodialyse (S4), le coût actualisé diminuait à 5 743 € par mois par patient. Toutefois, pour ces 2 stratégies, le coût global moyen actualisé était supérieur à celui de la stratégie de base (385 602 € par patient pour S3 et 383 622 € par patient pour S4 *versus* 379 716 € par patient pour S0) du fait de l'effet mécanique de l'allongement de l'espérance de vie (3 mois supplémentaires) et des coûts de traitement relativement proches de l'HD en centre et de l'HD en UDM (cf. chapitre 4 : étude du coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement).

## 5.2.5 Patients de 70 ans et plus, non diabétiques

### Encadré 20. Evaluation médico-économique des stratégies de prise en charge pour les patients de 70 ans et plus, non diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 809 patients parmi les 9 609 adultes incidents (c'est-à-dire 29 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 80,5 ans.

Dans la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées, sur 15 ans, les patients passaient en moyenne 62 % de leur temps en hémodialyse en centre.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 45,2 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées.

Le coût global moyen de prise en charge sur cette même période était de 283 801 euros.

Sept stratégies d'évolution des prises en charge ont été évaluées à partir d'une modification des trajectoires de patients entre les modalités de traitement définies selon 3 axes :

- l'augmentation de la DP à domicile assistée (DPA et DPCA) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance ;
- le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients ;
- le développement de la transplantation rénale, à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion.

L'analyse de l'efficacité a mis en évidence **une stratégie efficace** par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées : le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion (stratégie 7), qui correspondait à 134 greffes (*versus* 16 dans les pratiques observées).

L'analyse de sensibilité en scénario montrait que la stratégie relative au développement de la DPCA assistée au démarrage (25 % des patients *versus* 10 %), sans transfert simulé en HD UDM après de 2 ans de traitement (stratégie S2') était également une stratégie située sur la frontière d'efficacité.

Bien que non efficaces par rapport à la transplantation, les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, l'exception de celles relatives au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -6 536 € à +12 293 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

► **Stratégies évaluées**

**Tableau 48. Stratégies évaluées pour les patients de 70 ans et plus, non diabétiques**

Population : 70 ou plus, non diabétiques		
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario	Analyses de sensibilité sur la mortalité
<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA assistée + privilégier un transfert vers l'HD UDM après 2 ans de DPA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA assistée de 1,9 % (observé) jusqu'à 9,3 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPA assistée et l'HD UDM par 500 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA assistée sans transfert vers l'HD UDM</p>	<p><b>Stratégie 1 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPA assistée vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA assistée + privilégier un transfert vers l'HD UDM après 2 ans de DPCA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA assistée de 10 % (observé) jusqu'à 24,9 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPCA assistée et l'HD UDM par 100 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA assistée sans transfert vers l'HD UDM</p>	<p><i>Non relevant</i></p>
<p><b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en UDM + privilégier un transfert vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 5, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment HD UDM et HD Centre par 2, entre 60 et 180 mois.</p>	<p><b>Stratégie 3</b> : développement de l'HD en UDM sans transfert vers l'HD Centre</p>	<p><b>Stratégie 3 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 4</b> : développer l'HD en UDM de proximité + privilégier un transfert vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM de proximité</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 5, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment HD UDM et l'HD Centre par 2, entre 60 et 180 mois.</p> <p>Simulation de la baisse des coûts de transport pour l'UDM de proximité : multiplication du coût mensuel de l'HD UDM par 0,97 (ce qui correspond à la substitution des coûts de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse).</p>	<p><b>Stratégie 4</b> : développer l'HD en UDM de proximité sans transfert vers l'HD Centre</p>	<p><b>Stratégie 4 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 5</b> : stratégie conjointe - développement de la DP assistée et de l'HD en UDM</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA assistée de</p>		<p><b>Stratégie 5 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments DPA assistée et HD UDM vers décès par les</p>



<b>Population : 70 ou plus, non diabétiques</b>		
<p>1,9 % (observé) jusqu'à 9,3 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA assistée de 10 % (observé) jusqu'à 24,9 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 5, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre les compartiments DPA et DPCA assistée et l'HD UDM par 50 entre 24 et 60 mois.</p>		<p>taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps</p>
<p><b>Stratégie 6</b> : stratégie conjointe - développement de la DP assistée et de l'HD en UDM de proximité</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA assistée de 1,9 % (observé) jusqu'à 9,3 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA assistée de 10 % (observé) jusqu'à 24,9 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM de proximité par 5, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre les compartiments DPA et DPCA assistée et l'HD UDM de proximité par 50 entre 24 et 60 mois.</p> <p>Simulation de la baisse des coûts de transport pour l'UDM de proximité : multiplication du coût mensuel de l'HD UDM par 0,97 (ce qui correspond à la substitution des coûts de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse).</p>		<p><b>Stratégie 6 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments DPA assistée et HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps</p>
<p><b>Stratégie 7</b> : développement de la greffe, donneurs décédés « old-for-old »<sup>89</sup> avec machine à perfusion</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs décédés par 20, sur les 24 premiers mois.</p> <p>Coût supplémentaire lié à l'utilisation d'une machine à perfusion estimé à 1700 € pour chaque transition vers transplantation. Pas de modification des taux de transition du compartiment « greffe donneurs décédés » (durée de vie équivalente du greffon).</p>		<p><b>Stratégie 7 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment transplantation donneurs décédés vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>

Non relevant : la mortalité en DPCA assistée ayant été choisie comme référence car la plus élevée, il n'a pas été fait d'analyse de sensibilité sur la mortalité pour cette stratégie.

<sup>89</sup> Pour rappel, *old for old* désigne une stratégie de répartition des greffons qui privilégie l'attribution des greffons en fonction de l'âge du donneur et du receveur. Les receveurs les plus âgés ont donc accès à la greffe à partir de greffon prélevé sur des donneurs décédés à un âge proche du leur.

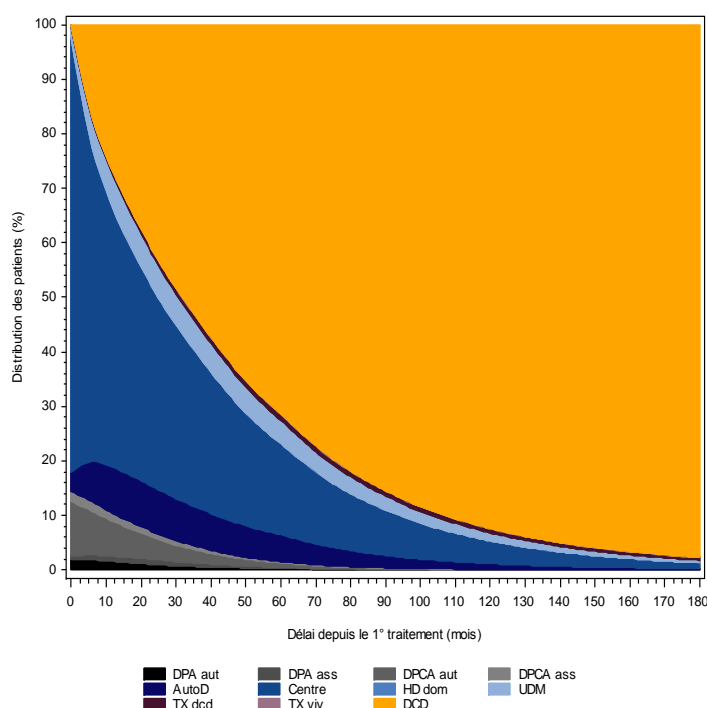
### ► Résultats des stratégies évaluées pour les plus de 70 ans non diabétiques

Les stratégies évaluées dans le modèle correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 70 et plus non diabétiques, sur un horizon temporel de 180 mois.

Dans la stratégie de base fondée sur des simulations à partir de données observées, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois des patients de 70 ans et plus non diabétiques était en moyenne de 45 mois. A 180 mois, 97,7 % de ces patients étaient décédés. Les espérances de vie restreintes issues du modèle correspondaient donc à une espérance de vie entière.

La Figure 24 décrit l'évolution dans le temps de la répartition de cette cohorte de patients sur 180 mois en fonction des 10 modalités de traitement et vers le décès. La surface totale des aires en gris (DP), bleu (HD), violet (TX) représente l'espérance de vie restreinte sur 180 mois.

**Figure 24. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.**



Les stratégies évaluées dans ce modèle à compartiments avaient un impact sur la distribution initiale des patients parmi les 10 modalités de traitement, sur le nombre de transitions et sur la répartition moyenne du temps passé dans les modalités de traitement sur la période (cases grisées Tableau 49).

Dans les données observées (distribution initiale), l'hémodialyse en centre comme modalité de démarrage concernait 80 % des patients.

Les **stratégies 1 et 2** portaient sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important de la cohorte en dialyse péritonéale assistée, et un transfert préparé en UDM simulé après 2 ans.

Dans les simulations fondées sur les données observées, la DPA assistée comme modalité de démarrage, concernait 1,9 % des patients et la DPCA assistée 10 % des patients. Les stratégies fondées sur une augmentation de cette technique au démarrage, ont été poussées à 9,3 % pour la DPA (S1) et à 24,9 % pour la DPCA (S2). En conséquence, la part de l'HD centre au démarrage

diminuait jusqu'à 64,9 % dans la stratégie 2. L'impact sur la répartition moyenne du temps passé des patients en DP restait cependant faible (inférieur à 15 % sur la période de l'étude).

Les **stratégies 3 et 4** concernaient une modification des taux de transition au profit du développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients, avec un transfert préparé en HD en centre simulé à 5 ans. Les stratégies 5 et 6 étaient des stratégies conjointes de développement de la DP et de l'UDM et UDM de proximité.

Les **stratégies 5 et 6** relatives au développement de l'UDM de proximité étaient fondées sur les mêmes volumes et taux de transitions que celles relatives au développement de l'UDM (stratégies 3 et 4 et stratégies conjointes 5 et 6) et ne se différençaient que par les coûts de transport qui ont été simulés à la baisse dans le scénario UDM de proximité.

La part de l'UDM dans la répartition du temps moyen passé dans cette modalité était de 11,5 % sur les données observées ; elle a été augmentée à 27,3 % dans les stratégies 3 et 4, jusqu'à un maximum de 29,4 % dans les stratégies conjointes 5 et 6.

La **stratégie 7** portait sur le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion. La part de la transplantation à partir de donneurs décédés, faible dans ce groupe de patients (3,2 % du temps moyen) a été augmentée jusqu'à 24,9 % dans cette stratégie. Dans les simulations fondées sur les données observées, la part de la transplantation à partir de donneurs vivants étant quasi nulle aucun scénario simulé n'a donc été envisagé (0,2 % du temps passé et une seule greffe à partir de donneurs vivants).

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD en centre sur la répartition moyenne du temps passé était de 62,3 % dans les simulations fondées sur les données observées. Dans toutes les stratégies, cette part diminuait, jusqu'à un minimum de 39,9 % dans les stratégies 5-6 (hypothèse de l'existence d'un réservoir de patients dialysés en hémodialyse en centre transférables vers la dialyse péritonéale assistée et l'UDM). Malgré une baisse du temps passé en HD centre, dans les stratégies 3 et 4, le nombre de passages dans le compartiment HD en centre restait très élevé du fait de la modélisation du transfert programmé en HD en centre, dans les trajectoires de ces patients au-delà de 5 ans passés en UDM et les allers retours entre ces modalités de traitement (nombre de transitions).

**Tableau 49. Impact des stratégies en termes de répartition des patients âgés de plus de 70 ans et non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions**

		S0	S 1	S 2	S 3 - S 4	S 5 - S 6	S 7
Distribution initiale (%)	DPA assistée	1,9	<b>9,3</b>	1,9	1,9	<b>9,3</b>	1,9
	DPCA assistée	10,0	10,0	<b>24,9</b>	10,0	<b>24,9</b>	10,0
	HD en Centre	<b>79,9</b>	72,5	64,9	79,9	57,5	79,9
Répartition moyenne du temps passé sur la période (%)	DPA assistée	1,4	<b>3,3</b>	1,8	1,2	<b>3,6</b>	1,1
	DPA non assistée	1,0	1,3	1,2	0,9	1,4	0,7
	DPCA assistée	5,5	5,7	<b>10,2</b>	4,9	<b>10,2</b>	4,7
	DPCA non assistée	1,4	1,4	1,6	1,3	1,5	1,2
	HD en autodialyse	13,3	12,6	12,1	12,1	10,6	8,6
	HD centre	<b>62,3</b>	<b>58,5</b>	<b>55,1</b>	<b>48,7</b>	<b>39,9</b>	<b>50,3</b>
	HD domicile	0,1	0,1	0,1	0,1	0,1	0,1
	HD UDM	11,5	13,7	14,7	<b>27,3</b>	<b>29,4</b>	8,3
	Greffe donneurs décédés	3,2	3,2	3,0	3,3	3,1	<b>24,9</b>
	Greffe donneurs vivants	0,2	0,2	0,2	0,3	0,3	0,2

		S0	S 1	S 2	S 3 - S 4	S 5 - S 6	S 7
Nombre de transitions	DPA assistée	33	107	42	33	116	32
	DPCA assistée	122	127	271	121	276	121
	HD en UDM	132	158	167	379	360	123
	patients transplantés DCD	16	16	15	18	17	134
	HD en Centre	960	906	841	1107	872	968
Décès		977	976	976	973	969	940

*Lecture : les cases grisées correspondent aux paramètres modifiés (distribution initiale et/ou taux de transition) pour la mise en œuvre des stratégies simulées.*

Les 3 axes privilégiés dans la définition des stratégies de prise en charge simulées dans ce groupe d'âge étaient les suivants :

- l'augmentation de la dialyse péritonéale assistée (DPA et DPCA) comme modalité de démarrage ;
- le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients ;
- le développement de la transplantation rénale, à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion.

Le Tableau 50 présente les résultats des stratégies évaluées dans le modèle en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) ainsi que les résultats actualisés (taux d'actualisation de 4 % par an).

**Tableau 50. Impact des stratégies en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) chez les patients âgés de plus de 70 ans non diabétiques.**

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût moyen par mois (euros)	Coût moyen par mois actualisé (euros)
Stratégie 0 : sans changement	45,2	40,5	283 801	243 995	6 273	6 028
Stratégie 1 : DPA assistée + transfert HD UDM	45,6	40,7	283 238	243 089	6 210	5 966
Stratégie 2 : DPCA assistée + transfert HD UDM	45,9	40,3	276 991	237 459	6 031	5 899
Stratégie 3 : HD UDM + transfert HD Centre	50,3	44,6	301 262	256 289	5 987	5 743
Stratégie 4 : HD UDM proximité + transfert HD Centre	50,3	44,6	299 189	254 532	5 946	5 704
Stratégie 5 : stratégie conjointe : DP assistée+ UDM	49,1	43,5	287 277	243 883	5 846	5 608
Stratégie 6 : stratégie conjointe : DP assistée+ UDM proximité	49,1	43,5	285 098	242 093	5 802	5 567
Stratégie 7 : greffe DCD + machine perfusion	52,1	45,5	276 770	237 207	5 313	5 215

L'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1 000 patients était de 45,2 mois pour la stratégie de base fondée sur des simulations à partir des données observées. Elle variait de 45,6 à 52,1 mois pour les stratégies évaluées dans ce groupe d'âge.

Les coûts moyens de prise en charge pour un patient sur toute la période variaient de 276 770 € par patient à 301 262 € par patient *versus* 283 801 € par patient pour la stratégie de base. Le coût moyen de prise en charge par mois pour un patient variait de 5 313 € à 6 210 € par patient *versus* 6 273 € par patient pour la stratégie de base.

Après prise en compte d'une actualisation de 4 % par an<sup>90</sup>, l'espérance de vie variait de 40,3 à 45,5 mois et les coûts de 237 207 € à 256 289 € par patient selon les stratégies considérées.

## ► Résultats de l'analyse de l'efficience

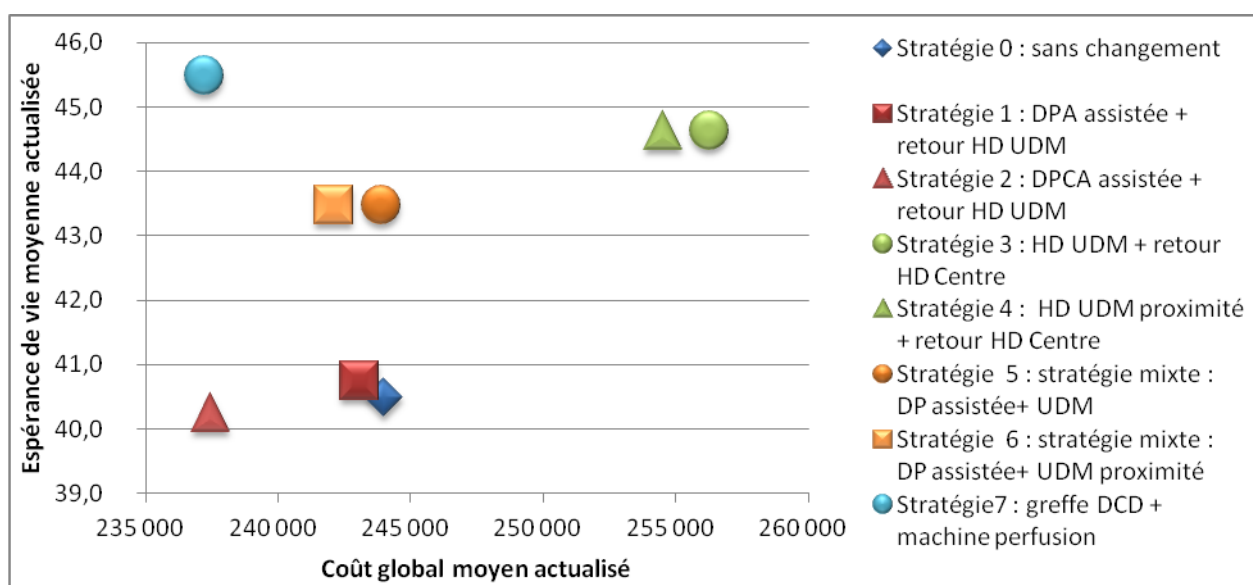
### Analyse des ratios différentiels coût-résultat sur l'ensemble des stratégies évaluées

Les RDCR (ratios différentiels coût-résultat) ont été calculés pour chacune des stratégies évaluées à partir des résultats du modèle sur une période de 180 mois (données de résultat et de coût actualisées). L'analyse des RDCR a montré que seul le développement de la transplantation rénale, à partir de donneurs décédés *old for old* avec utilisation des machines à perfusion (S7), était une stratégie efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées.

Dans cette stratégie, l'espérance de vie moyenne actualisée était de 45,5 mois et le coût moyen global actualisé de prise en charge sur la période était de 237 207 € par patient.

Cette stratégie de développement de la transplantation se trouve par conséquent sur la frontière d'efficience (S7). Les autres stratégies évaluées et la stratégie de base amènent une espérance de vie plus courte pour un coût plus élevé ; elles sont donc dominées (cf. Figure 25).

**Figure 25. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficience des stratégies évaluées chez les patients de 70 ans et plus, non diabétiques**



<sup>90</sup> Les coûts et les résultats futurs ont été actualisés afin de les ramener à leur valeur présente par un taux d'actualisation de 4 %.

## Analyses de sensibilité

L'analyse de sensibilité en scénario concernant le développement de la DPA assistée au démarrage sans transfert simulé vers l'UDM au bout de 2 ans (S1') ne modifiait pas les conclusions de l'analyse de référence. De même, les analyses de sensibilité en scénario concernant le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité sans transfert simulé en HD centre au bout de 5 ans (S3' et S4') ne modifiaient pas les conclusions de l'analyse de référence.

A l'inverse, l'analyse de sensibilité en scénario concernant le développement de la DPCA assistée au démarrage, sans transfert simulé vers l'UDM après de 2 ans de traitement (S2'), a montré que cette stratégie (S2') était également située sur la frontière d'efficacité.

Le développement de la DPCA assistée seule (S2') au démarrage sans transfert simulé en HD UDM au bout de 2 ans, entraînait une diminution du coût global de 6 133 € par patient par rapport à la stratégie de développement de la DPCA assistée au démarrage, avec un transfert simulé en HD UDM (S2) ; à 15 ans, les espérances de vie associées aux 2 stratégies étaient très proches (données actualisées).

L'analyse des RDCR mettait alors en évidence 2 stratégies efficaces :

- le développement de la DPCA assistée au démarrage sans transfert simulé en HD UDM au-delà de 2 ans de traitement (S2') ;
- le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion (S7).

L'analyse des RDCR indiquait que le coût supplémentaire pour un mois de vie en plus avec la stratégie 7 (transplantation) par rapport à la stratégie 2' (DPCA assistée seule) était de 923 €. Ces deux stratégies se situaient sur la frontière d'efficacité, les autres stratégies étaient toutes dominées.

Des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité ont été conduites pour toutes les stratégies évaluées. L'hypothèse haute où les taux de transitions vers le décès du (ou des) compartiment(s) ciblé(s) des stratégies simulées seraient équivalents au taux de transition de la DPCA assistée vers le décès (taux le plus élevé dans ce groupe d'âge) a été testée en analyse de sensibilité. Cette analyse de sensibilité déterministe sur la mortalité ne changeait pas les conclusions de l'analyse de référence : S7 restait la stratégie efficace par rapport aux autres stratégies évaluées.

### ► Discussion des stratégies évaluées pour les patients de plus de 70 ans non diabétiques

Les stratégies évaluées correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 70 et plus non diabétiques, sur un horizon temporel de 180 mois. A 180 mois, la plupart des patients âgés de 70 ans et plus, non diabétiques, étaient décédés (97,7 % des patients) ; pour ce groupe de patients, on peut ainsi considérer que l'espérance de vie n'était pas restreinte.

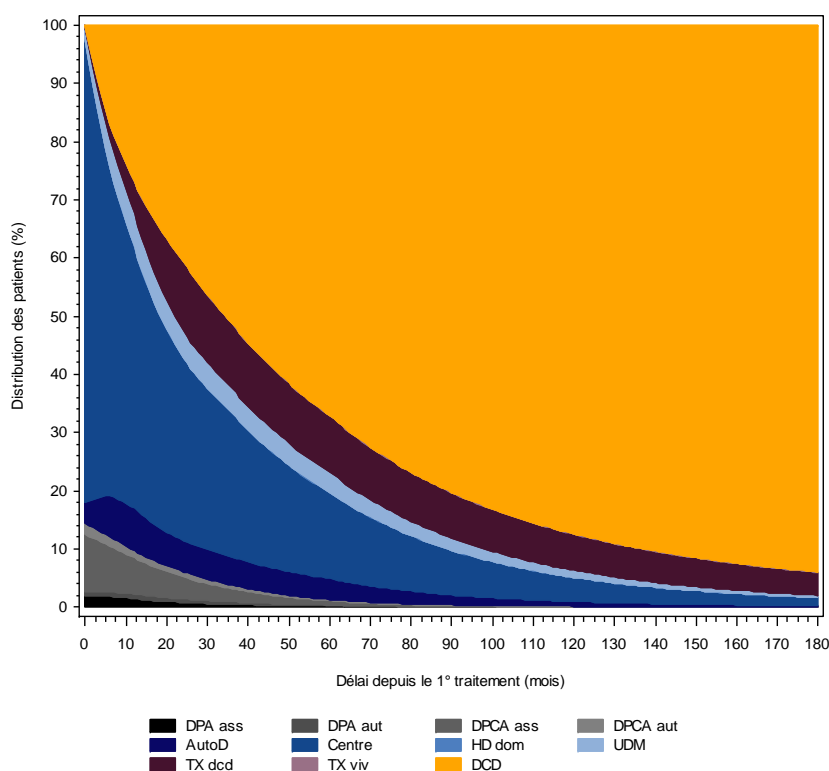
Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 809 patients parmi les 9 609 adultes incidents (c'est-à-dire 29 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 80,5 ans.

## Les stratégies efficaces

La stratégie fondée sur une possibilité de développement de la transplantation rénale à partir d'une augmentation du prélèvement de donneurs décédés âgés avec l'utilisation des machines à perfusion pour garantir une bonne fonction du greffon et d'allocation de ces organes aux receveurs âgés (« old-for-old ») était une stratégie efficace par rapport aux autres stratégies évaluées.

Sa mise en place avait pour impact une forte augmentation de la place relative à la transplantation (i.e. surface en violet foncé sur la Figure 26), ce qui correspondait à 134 transplantations chez 1000 patients de 70 ans ou plus, non diabétiques, *versus* 16 dans la stratégie de base (S0). Dans les simulations fondées sur les pratiques observées, en moyenne, le temps passé par les patients avec un greffon fonctionnel était seulement de 3,2 % contre 24,9 % dans cette stratégie ciblée.

**Figure 26. Stratégie S7 – transplantation : évolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance**



Cette stratégie correspondait à un coût global moyen actualisé de 237 207 € *versus* 243 995 € par patient dans la stratégie de base (S0) et son coût moyen par mois actualisé était de 5 215 € *versus* 6 028 € par patient. En termes d'espérance de vie, la différence était de 7 mois (52.1 mois pour S7 *versus* 45,2 mois pour S0, espérances de vie actualisées). Le modèle ne peut différencier ce qui relève de l'effet de la stratégie de prise en charge sur l'espérance de vie du biais de sélection des patients les moins sévères en faveur de la greffe. Les analyses de sensibilité en mortalité faisant l'hypothèse très « pessimiste » d'une mortalité identique en transplantation et en HD centre ne modifiaient cependant pas les conclusions. Avec cette hypothèse, l'espérance de vie simulée était inférieure de 7 mois (44,8 mois actualisée) et toujours supérieure à l'espérance de vie simulée à partir des données observées.

Cette stratégie de développement de la transplantation rénale *old for old* impliquait des changements de pratiques importants avec une multiplication par 8 du nombre de patients transplantés. Elle a été définie en se fondant sur l'hypothèse selon laquelle l'utilisation des machines à perfusion pour des greffons « limites » (ou à critères élargis) apporterait une durée de vie équivalente à celle d'un greffon « non limite ». Concrètement, dans le modèle, cela revient à ne pas modifier les taux de transitions du compartiment « greffe donneurs décédés » alors que ces taux ont été estimés sur des périodes où les machines à perfusion n'étaient pas encore en service et les personnes âgées peu prélevées. En revanche, un surcoût de 1 700 € lié à l'utilisation des machines à perfusion pour chaque transition vers la transplantation rénale à partir de donneurs

décédés a été ajouté dans le modèle. Ce surcoût correspondait aux modalités de financement<sup>91</sup> mises en place depuis 2012.

Les analyses de sensibilité sur la mortalité ont montré que la stratégie restait efficiente même si la mortalité en transplantation rénale à partir de donneurs décédés devenait équivalente à la mortalité observée en DPCA assistée : sous cette hypothèse extrême, il y aurait 4 décès supplémentaires pour les 134 patients transplantés (i.e. 52 *versus* 48).

L'analyse de sensibilité en scénario concernant le développement de la DPCA assistée au démarrage sans transfert préparé en UDM simulé au-delà de 2 ans de traitement a montré que cette stratégie (S2') était également située sur la frontière d'efficacité. Dans cette stratégie, les transferts après la période initiale de dialyse péritonéale n'étaient pas simulés (les taux de transitions entre la DPCA assistée et l'UDM n'étaient pas modifiés par rapport aux estimations fondées sur les données observées).

Par rapport à la stratégie initiale de développement de la DPCA avec transfert simulé en HD en UDM (S2), la stratégie sans transfert simulé (S2') entraînait une diminution du coût global de traitement de 6 133 € par patient pour une espérance de vie quasi équivalente (-1,2 mois, données actualisées). À 36 mois 5,1 % des patients étaient encore en DP *versus* 2,5 % dans la stratégie S2 (Figures 27 et 28).

Par rapport à la stratégie de base, l'espérance de vie actualisée de la stratégie sans transfert simulé (S2') était très peu différente (39,1 *versus* 40,5 mois) mais entraînait une diminution du coût global actualisé (-12 700 € par patient) du fait du coût de prise en charge de la DPCA assistée inférieur à celui de l'UDM et de la forte augmentation simulée de la DPCA assistée (de 4,5 à 17,5 %) dans cette stratégie.

La stratégie privilégiant la transplantation était plus coûteuse que la stratégie relative au développement de la DPCA assistée sans transfert simulé (+5 881 € par patient) mais avec une différence d'espérance de vie de 6,4 mois. Ainsi, le RDCR indiquait que le coût pour un mois de vie supplémentaire avec la stratégie 7 par rapport à la stratégie 2' était de 923 €.

---

<sup>91</sup> Forfait POA et nouvelle composante du FAG (cf. Plaquette publiée par l'Agence de la Biomédecine concernant les modalités de financement 2013).



Figure 27. Stratégie 2 – DPCA assistée avec un transfert programmé en UDM pour les 70 ans et plus non diabétiques

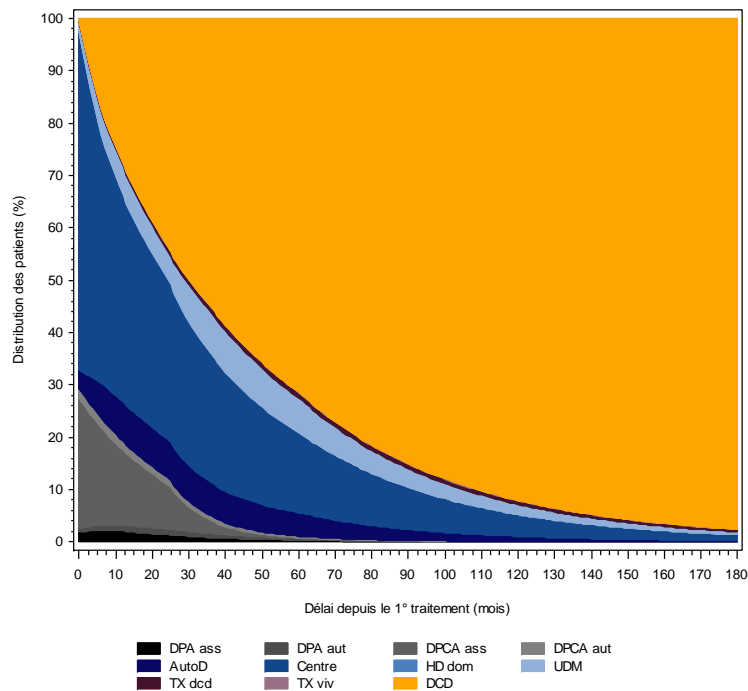
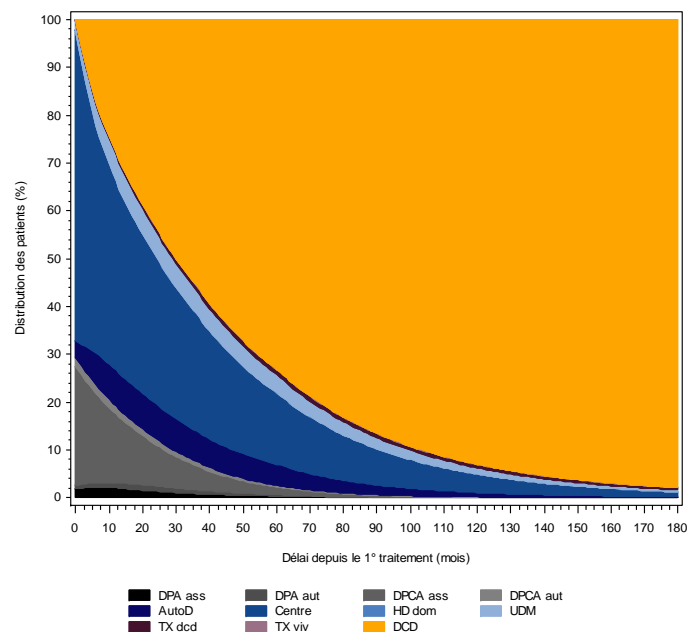


Figure 28. Stratégie 2' – DPCA assistée sans un transfert programmé en UDM pour les 70 ans et plus non diabétiques



### Les autres stratégies

Bien que non efficientes par rapport aux stratégies situées sur la frontière d'efficacité, les autres stratégies évaluées apparaissent moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, l'exception de celles relatives au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un

horizon de 180 mois allait de -6 536 € à +12 293 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Parmi les axes de changements des trajectoires entre les modalités de traitements simulés dans ce groupe d'âge, le développement de la dialyse péritonéale assistée (DPA et DPCA) comme modalité de démarrage avec transfert préparé en HD en UDM se démarquait peu de la stratégie de base. Les résultats sur l'espérance de vie étaient très proches des pratiques observées (40 mois en moyenne, espérance de vie actualisée), de même que le coût global de prise en charge pour la DPA assistée (243 089 *versus* 243 995 € par patient pour S0, coûts actualisés) ; le coût de la DPCA assistée avec transfert préparé en UDM simulé à 2 ans (S2) était cependant plus faible (237 459 €). Malgré la forte augmentation de la DP simulée au démarrage, l'impact sur la répartition moyenne du temps passé des patients en DP restait inférieur à 15 % sur la période de l'étude.

Le faible différentiel de coûts avec la stratégie de base pouvait s'expliquer par les replis non programmés qui se font dans la plupart des cas en HD en centre (dont le coût de traitement est proche de celui de l'UDM). En revanche, dans les 2 stratégies simulées (S1 et S2) ces replis, du fait de leur anticipation sur la période 24-60 mois, peuvent survenir plus précocement que dans la stratégie de base. Ainsi, dans la stratégie avec transfert simulé (S2), seul 0,6 % des patients étaient encore en DPCA assistée à 48 mois, *versus* 2,8 % dans la stratégie sans transfert simulé (S2'). Rappelons que le surcoût éventuel d'un repli non programmé n'a pas été estimé dans le cadre de cette modélisation.

Il faut également souligner que le développement de la DPA assistée a été particulièrement « forcé » puisque simulé à 9,3 % au démarrage, soit 5 fois le pourcentage actuel. Cette modalité particulière, encore peu développée chez la personne-âgée pourrait se prêter aux patients en institution (ou EHPAD).

Les stratégies de développement de l'UDM et de l'UDM de proximité avec transfert programmé en HD en centre (S3 et S4) et les stratégies conjointes de développement de l'UDM et de la DP (S5 et S6) généraient des résultats relativement proches sur l'espérance de vie (environ 44 mois en moyenne *versus* 40 mois dans la stratégie de base). Le modèle ne peut cependant différencier ce qui relève de l'effet de la stratégie de prise en charge sur l'espérance de vie, du biais de sélection des patients les moins à risque en faveur l'UDM par rapport à l'HD Centre. Dans l'analyse de sensibilité en mortalité faisant l'hypothèse très « pessimiste » d'une mortalité identique en UDM et en DPCA assistée, l'espérance de vie simulée était inférieure de 1 mois (43,6 mois actualisée) et toujours supérieure à l'espérance de vie simulée à partir des données observées.

Le coût moyen global de ces stratégies intégrant l'UDM dans la trajectoire était supérieur à celui de la stratégie de base fondée sur les pratiques observées ; à l'inverse, le coût moyen par mois par patient actualisé était plus faible dans toutes les stratégies, ce qui peut être expliqué par le différentiel d'espérance de vie supérieur de 4 mois pour l'UDM par rapport à la stratégie de base (effet mécanique du modèle).

La stratégie de développement de l'UDM de proximité (S4) permettait une baisse du coût moyen par mois par patient de 40 €. Dans cette étude, l'UDM de proximité se différenciait de l'UDM uniquement par une baisse simulée des coûts de transport.

Dans les stratégies conjointes associant DP assistée et UDM, l'espérance de vie restreinte actualisée était de 43,5 mois et le coût moyen par mois actualisé de 5 608 € par patient pour l'UDM et 5 567 € par patient pour l'UDM de proximité, soit un gain de 400 € par mois par patient par rapport à la stratégie de base (S0) ; cependant, le coût par mois le plus faible correspondait au développement de la transplantation (5 210 € par patient).

## 5.2.6 Patients de 70 ans et plus, diabétiques

### Encadré 21. Evaluation médico-économique des stratégies de prise en charge pour les patients de 70 ans et plus, diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 092 patients parmi les 9 609 patients incidents adultes (21.8 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 78,1 ans.

Dans la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées, sur 15 ans, les patients passaient en moyenne 71 % de leur temps en hémodialyse en centre.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 39,6 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées.

Le coût global moyen de prise en charge sur cette même période était de 291 684 euros.

Sept stratégies d'évolution des prises en charge ont été évaluées à partir d'une modification des trajectoires de patients entre les modalités de traitement définies selon 3 axes :

- l'augmentation de la DP à domicile assistée (DPA et DPCA) comme modalité de démarrage du traitement de suppléance ;
- le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients ;
- le développement de la transplantation rénale, à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion.

L'analyse de l'efficacité a mis en évidence **trois stratégies efficaces** par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées :

- la stratégie conjointe de développement de la dialyse péritonéale assistée (DPA et DPCA) et de l'UDM de proximité (stratégie 6), qui correspondait à 51 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 71 % dans les pratiques observées);
- la stratégie de développement de la transplantation à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion (stratégie 7), qui correspondait à 52 greffes (*versus* 5 dans les pratiques observées);
- la stratégie relative au développement de l'UDM de proximité avec transfert préparé en HD centre simulé à 5 ans (stratégie 4), qui correspondait à 21 % du temps moyen passé en UDM (*versus* 9 % dans les pratiques observées).

Les analyses de sensibilité en scénario ont mis en évidence trois autres stratégies également situées sur la frontière d'efficacité :

- la stratégie relative au développement de la DPCA assistée au démarrage sans transfert préparé en HD UDM simulé après de 2 ans de traitement (stratégie S2') qui avait pour conséquence d'aboutir à 61 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 71 % dans les pratiques observées);
- la stratégie concernant le développement de l'UDM sans transfert préparé en HD centre simulé après 5 ans de traitement (stratégie S3') qui avait pour conséquence d'aboutir à 59 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 71 % dans les pratiques observées);
- la stratégie concernant le développement de l'UDM de proximité sans transfert préparé en HD centre simulé après 5 ans de traitement (stratégie S4') qui avait pour

conséquence d'aboutir à 59 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 71 % dans les pratiques observées);

Bien que non efficaces par rapport aux stratégies sur la frontière d'efficacité, les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celles relative au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients.

La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -8 237 € à +7 044 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

## ► Stratégies évaluées

Tableau 51. Stratégies évaluées pour les patients de 70 ans et plus, diabétiques

Population : 70 ans et plus, diabétiques		
STRATEGIES EVALUEES	Analyse de sensibilité en scénario	Analyse de sensibilité sur la mortalité
<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA assistée privilégier un transfert vers l'HD UDM après 2 ans de DPA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA assistée de 1,6 % (observé) jusqu'à 6,4 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPA assistée et l'HD UDM par 50 000 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA assistée sans transfert vers l'HD UDM</p>	<p><b>Stratégie 1 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment DPA assistée vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA assistée privilégier un transfert vers l'HD UDM après 2 ans de DPCA</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA autonome de 10,3 % (observé) jusqu'à 30,9 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment DPCA assistée et l'HD UDM par 5000 entre 24 et 60 mois.</p>	<p><b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA assistée sans transfert vers l'HD UDM</p>	<p><i>Non relevant</i></p>
<p><b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en UDM + privilégier un transfert vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 4, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment HD UDM et l'HD Centre par 2, entre 60 et 180 mois.</p>	<p><b>Stratégie 3</b> : développement de l'HD en UDM sans transfert vers l'HD Centre</p>	<p><b>Stratégie 3 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>
<p><b>Stratégie 4</b> : développer l'HD en UDM de proximité + privilégier un transfert vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 4, sur les</p>	<p><b>Stratégie 4</b> : développement de l'HD en UDM de proximité sans transfert</p>	<p><b>Stratégie 4 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès</p>

<b>Population : 70 ans et plus, diabétiques</b>		
<p>60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre le compartiment HD UDM et l'HD Centre par 2, entre 60 et 180 mois.</p> <p>Simulation de la baisse des coûts de transport pour l'UDM de proximité : multiplication du coût mensuel de l'HD UDM par 0,97 (ce qui correspond à la substitution des coûts de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse).</p>	vers l'HD Centre	observé, à chaque intervalle de temps.
<p><b>Stratégie 5</b> : stratégie conjointe : développement de la DP assistée et de l'HD en UDM</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA assistée de 1,6 % (observé) jusqu'à 6,4 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA assistée de 10,3 % (observé) jusqu'à 30,9 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 4, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre les compartiments DPA et DPCA assistées et l'HD UDM par 1000 entre 24 et 60 mois.</p>		<p><b>Stratégie 5 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments DPA assistée et HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps</p>
<p><b>Stratégie 6</b> : stratégie conjointe : développement de la DP assistée et de l'HD en UDM de proximité</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPA assistée de 1,6 % (observé) jusqu'à 6,4 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Modification de la <u>distribution initiale</u> des modalités de traitement avec augmentation de la DPCA assistée de 10,3 % (observé) jusqu'à 30,9 %, aux dépens de l'HD Centre.</p> <p>Multiplication des taux de transition du compartiment HD centre vers le compartiment HD UDM par 4, sur les 60 premiers mois.</p> <p>Multiplication des taux de transitions entre les compartiments DPA et DPCA assistées et l'HD UDM par 1000 entre 24 et 60 mois.</p> <p>Simulation de la baisse des coûts de transport pour l'UDM de proximité : multiplication du coût mensuel de l'HD UDM par 0,97 (ce qui correspond à la substitution des coûts de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse).</p>		<p><b>Stratégie 6 + substituer</b> les taux de transition actuels des compartiments DPA assistée et HD UDM vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps</p>
<p><b>Stratégie 7</b> : développement de la greffe, donneurs décédés « old-for-old » avec machine à perfusion</p> <p>Multiplication des taux de transition de l'ensemble des compartiments dialyse vers le compartiment transplantation donneurs décédés par 20, sur les 24 premiers mois.</p> <p>Coût supplémentaire lié à l'utilisation d'une machine à perfusion estimé à 1700 € pour chaque transition vers</p>		<p><b>Stratégie 7 + substituer</b> les taux de transition actuels du compartiment transplantation donneurs décédés vers décès par les taux de transitions du compartiment DPCA assistée vers décès observé, à chaque intervalle de temps.</p>

**Population : 70 ans et plus, diabétiques**

transplantation. Pas de modification des taux de transition du compartiment « greffe donneurs décédés » (durée de vie équivalente du greffon).

Non relevant : la mortalité en DPCA assistée ayant été choisie comme référence car la plus élevée, il n'a pas été fait d'analyse de sensibilité sur la mortalité pour cette stratégie.

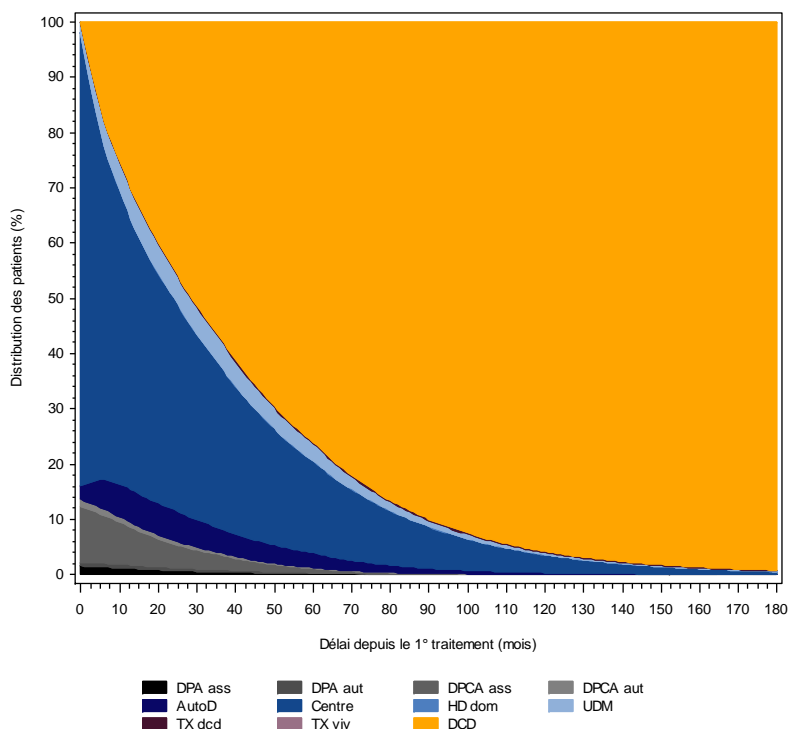
► **Résultats des stratégies évaluées pour les patients de plus de 70 ans diabétiques**

Les stratégies évaluées dans le modèle correspondent à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 70 et plus diabétiques, sur un horizon temporel de 180 mois (15 ans).

Dans la stratégie de base fondée sur des prédictions à partir des données observées, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de ces patients était en moyenne de 40 mois. A 180 mois, 99 % de ces patients étaient décédés (surface jaune). Les espérances de vie restreintes issues du modèle correspondent donc à une espérance de vie entière.

La Figure 29 décrit l'évolution dans le temps de la répartition de cette cohorte de patients sur 180 mois en fonction des 10 modalités de traitement et vers le décès. La surface totale des aires en gris (DP), bleu (HD), violet (TX) représente l'espérance de vie restreinte sur 180 mois.

**Figure 29. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.**



Les stratégies évaluées dans ce modèle à compartiments avaient un impact sur la distribution initiale des patients parmi les 10 modalités de traitement, sur le nombre de transitions et sur la répartition moyenne du temps passé dans les modalités de traitement sur la période (cases grisées tableau 52).

Dans les simulations fondées sur les données observées (distribution initiale), l'HD centre comme modalité de démarrage concernait 82 % des patients.

Les **stratégies 1 et 2** portaient sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important de la cohorte en dialyse péritonéale assistée, et un transfert préparé en hémodialyse en UDM simulé après 2 ans. Dans la stratégie de base, la DPA assistée comme modalité de démarrage concernait 1,6 % des patients et la DPCA assistée 10,3 % des patients. Les stratégies fondées sur une augmentation de cette technique au démarrage, ont été poussées à 8 % pour la DPA (S1) et à 25,8 % pour la DPCA (S2). En conséquence, la part de l'HD centre au démarrage diminuait jusqu'à 66,4 % dans la stratégie 2.

Les **stratégies 3 et 4** concernaient une modification des taux de transition au profit du développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients, avec un transfert préparé en hémodialyse en centre simulé après 5 ans. Les **stratégies 5 et 6** étaient des stratégies conjointes de développement de la dialyse péritonéale et de l'UDM et de la DP et de l'UDM de proximité.

Les stratégies relatives au développement de l'UDM de proximité étaient fondées sur les mêmes volumes et mêmes taux de transitions que celles relatives au développement de l'UDM (stratégies 3 et 4 et stratégies conjointes 5 et 6). Elles ne se différenciaient que par les coûts de transport qui ont été simulés à la baisse dans le scénario UDM de proximité (multiplication du coût mensuel de l'HD UDM par 0,97 ce qui correspondait à la substitution des coûts de transport de l'UDM par ceux de l'autodialyse).

La part de l'UDM dans la répartition du temps moyen passé était de 8,8 % sur les données observées ; elle a été augmentée à 19,6 % dans les stratégies conjointes 5 et 6 et jusqu'à un maximum de 20,5 % dans les stratégies 3 et 4.

La **stratégie 7** portait sur le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion. La part de la transplantation à partir de donneurs décédés, très faible dans ce groupe (1,1 % du temps moyen) a été augmentée jusqu'à 11,1 %. Cette augmentation qui ne porte cependant que sur 47 greffes supplémentaires (pour 1 000 patients) se fonde sur un développement de la transplantation « old-for-old » avec l'utilisation de machines à perfusion. Dans les données observées, la part de la transplantation à partir de donneurs vivants était nulle. Aucune simulation sur cette stratégie de prise en charge n'a été mise en œuvre.

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD centre sur la répartition moyenne du temps passé était de 71,4 % dans les pratiques observées. Dans toutes les stratégies, cette part diminuait jusqu'à 50,9 % dans les stratégies 5 et 6 (hypothèse de l'existence d'un « réservoir » de patients dialysés en HD centre transférables vers l'UDM et la DP assistée). Dans les stratégies de développement de l'HD en UDM (S3, S4, S5 et S6), malgré une baisse du temps passé en centre, le nombre « d'entrées » dans le compartiment HD centre restait élevé du fait de la modélisation du transfert en HD centre au-delà de 60 mois dans les trajectoires de ces patients (1088 transitions ou passages par l'HD centre) et des allers retours fréquents entre ces 2 modalités.

**Tableau 52. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.**

		S0	S 1	S 2	S 3 - S 4	S 5 - S 6	S 7
Distribution initiale (%)	DPA assistée	1,6	8,0	1,6	1,6	8,0	1,6
	DPCA assistée	10,3	10,3	25,8	10,3	25,8	10,3
	<b>HD en Centre</b>	<b>81,9</b>	<b>75,5</b>	<b>66,4</b>	<b>81,9</b>	<b>60,0</b>	<b>81,9</b>
Répartition moyenne du	DPA assistée	1,4	3,0	1,7	1,3	4,3	1,3
	DPA non assistée	0,7	0,9	0,9	0,6	1,1	0,7

		S0	S 1	S 2	S 3 - S 4	S 5 - S 6	S 7
temps passé sur la période ( %)	DPCA assistée	6,7	7,1	12,9	6,2	14,2	6,3
	DPCA non assistée	1,0	1,0	1,2	0,9	1,2	0,9
	HD en autodialyse	8,8	8,4	7,8	8,3	7,3	7,5
	<b>HD centre</b>	<b>71,4</b>	<b>68,2</b>	<b>63,2</b>	<b>60,7</b>	<b>50,9</b>	<b>64,9</b>
	HD domicile	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2	0,2
	HD UDM	8,8	10,2	11,3	20,5	19,6	7,2
	Greffe donneurs décédés	1,1	1,1	1,0	1,3	1,1	11,1
	Greffe donneurs vivants	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0	0,0
Nombre de transitions	DPA assistée	29	94	36	29	102	29
	DPCA assistée	128	134	282	128	289	128
	HD en UDM	115	133	149	304	262	112
	patients transplantés DCD	5	5	5	7	6	52
	<b>HD en Centre</b>	<b>965</b>	<b>918</b>	<b>847</b>	<b>1088</b>	<b>864</b>	<b>966</b>
Décès		992	992	992	991	991	976

*Lecture : les cases grisées correspondent aux paramètres modifiés (distribution initiale et/ou taux de transition) pour la mise en œuvre des stratégies simulées.*

Les 3 axes privilégiés dans la définition des stratégies de prise en charge simulées dans ce groupe d'âge étaient les suivants :

- l'augmentation de la dialyse péritonéale assistée (DPA et DPCA) comme modalité de démarrage ;
- le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients ;
- le développement de la transplantation rénale, à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion.

Le Tableau 53 présente les résultats des stratégies évaluées dans le modèle en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) ainsi que les résultats actualisés (taux d'actualisation de 4 % par an).

**Tableau 53. Impact des stratégies en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) chez les patients de 70 ans et plus diabétiques**

Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût moyen par mois (euros)	Coût moyen par mois actualisé (euros)
Stratégie 0 : sans changement	39,6	36,1	291 684	254 502	7 362	7 045
Stratégie 1 : DPA assistée + transfert HD UDM	39,6	36,1	289 040	252 024	7 305	6 989
Stratégie 2 : DPCA assistée + transfert HD UDM	39,4	35,9	284 753	248 067	7 224	6 910
Stratégie 3 : HD UDM +	42,6	38,6	301 694	261 546	7 089	6 776



Stratégies évaluées	Espérance de vie moyenne sur 180 mois (mois)	Espérance de vie moyenne actualisée (mois)	Coût global moyen pour 1 patient (euros)	Coût global moyen pour 1 patient actualisé (euros)	Coût moyen par mois (euros)	Coût moyen par mois actualisé (euros)
transfert HD Centre						
Stratégie 4 : HD UDM proximité + transfert HD Centre	42,6	38,6	300 268	260 304	7 055	6 744
Stratégie 5 : stratégie conjointe : DP assistée+ UDM	40,8	37,1	283 541	246 265	6 951	6 645
Stratégie 6 : stratégie conjointe : DP assistée+ UDM proximité	40,8	37,1	282 230	245 144	6 919	6 615
Stratégie 7 : greffe DCD + machine perfusion	42,1	37,9	290 063	252 683	6 883	6 659

L'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1 000 patients était de 39,6 mois pour la stratégie de base qui correspond à des prédictions du modèle à partir des pratiques observées. Elle variait de 39,6 à 42,6 mois pour les stratégies évaluées dans ce groupe d'âge.

Les coûts de prise en charge moyen pour un patient sur toute la période variaient de 282 230 € à 301 694 € *versus* 291 684 € par patient pour la stratégie de base. Le coût de prise en charge par mois variait de 6 883 € à 7 305 € par patient *versus* 7 362 € par patient pour la stratégie de base.

Après prise en compte d'une actualisation de 4 % par an, l'espérance de vie variait de 36,1 à 38,6 mois et les coûts de 245 144 € à 261 546 € selon les stratégies considérées.

## ► Résultats de l'analyse de l'efficience

### Analyse des ratios différentiels coût-résultat sur l'ensemble des stratégies évaluées

Les RDCR (ratios différentiels coût-résultat) ont été calculés pour chacune des stratégies évaluées à partir des résultats du modèle sur une période de 180 mois (données de résultat et de coût actualisées). L'analyse des RDCR a mis en évidence trois stratégies efficaces par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées :

- la stratégie conjointe de développement de la DP assistée (DPA + DPCA) et de l'UDM de proximité (S6) ;
- la stratégie relative au développement de la greffe à partir de donneurs décédés *old for old* avec utilisation des machines à perfusion (S7) ;
- la stratégie relative au développement de l'UDM de proximité avec anticipation du transfert en hémodialyse en centre à 5 ans (S4).

Dans la stratégie conjointe de développement de la DP assistée et de l'UDM (S6), l'espérance de vie moyenne actualisée était de 37,1 mois et le coût moyen global actualisé de 245 144 € par patient, sur la période de l'étude (180 mois).

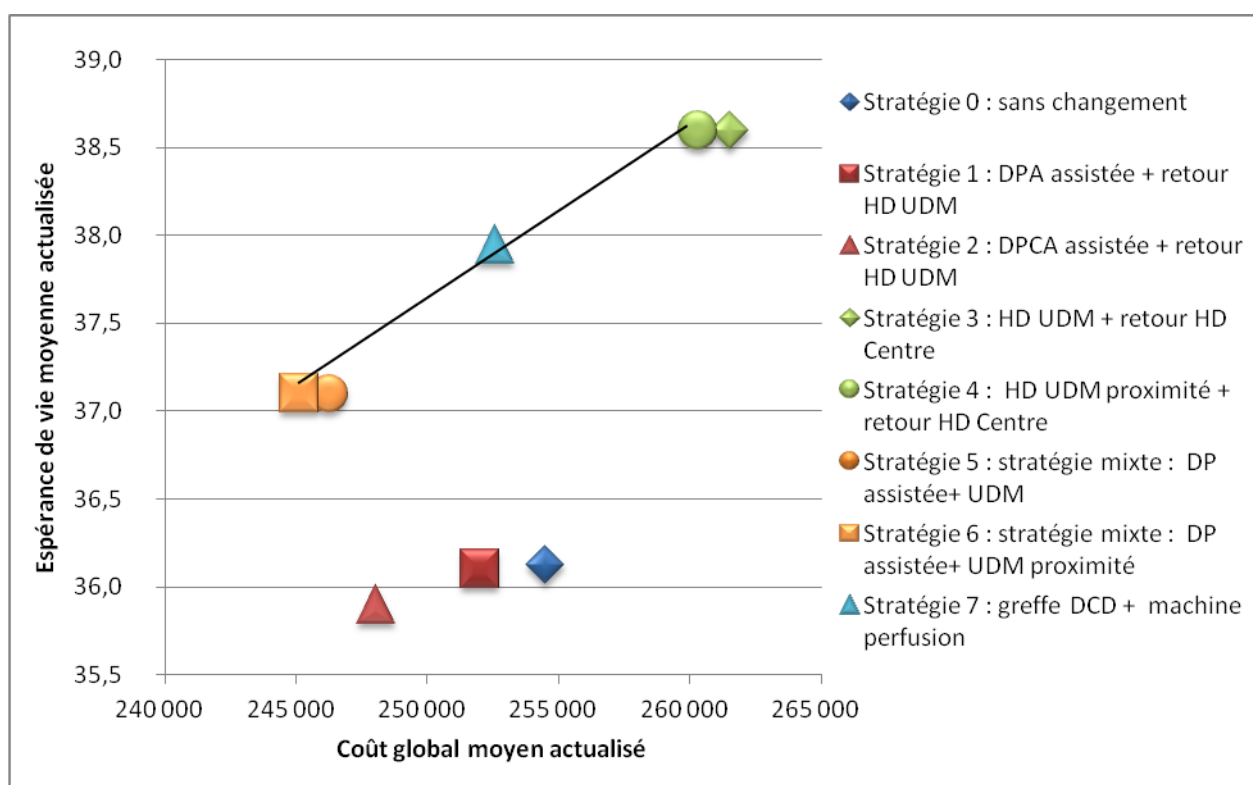
Dans la stratégie relative au développement de la greffe (S7), l'espérance de vie moyenne actualisée était de 37,9 mois et le coût moyen global actualisé de 252 683 € par patient.

Enfin, dans la stratégie relative au développement de l'UDM de proximité (S4), l'espérance de vie était de 38,6 mois et le coût global moyen de 260 304 € par patient (données actualisées).

L'analyse du RDCR indiquait que le coût pour un mois de vie supplémentaire avec la stratégie 7 (transplantation) par rapport à la stratégie 6 (stratégie conjointe DP assistée + UDM) était de 8 904 € sur la période de l'étude. De même, le coût pour un mois de vie supplémentaire avec la stratégie 4 (UDM + transfert centre) par rapport à la stratégie 7 (transplantation) était de 11 735 € sur la période de l'étude.

Ces trois stratégies se trouvaient sur la frontière d'efficacité. Toutes les autres stratégies étaient donc dominées avec une espérance de vie plus courte ou équivalente et un coût plus élevé (cf. Figure 30). Cependant, les résultats de l'analyse de l'efficacité et les RDCR sont à interpréter avec précaution, car pour ce groupe de patients, les espérances de vie obtenues avec les stratégies simulées sur une période de 15 ans étaient très proches. Les RDCR ainsi calculés (coût d'un mois de vie supplémentaire) sont donc très élevés du fait d'une très faible différence dans les données relatives à l'espérance de vie des stratégies efficaces.

**Figure 30. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficacité des stratégies évaluées chez les patients de 70 ans et plus diabétiques**



### Analyses de sensibilité

Les analyses de sensibilité en scénario ont été conduites sur les stratégies relatives au développement de la dialyse péritonéale assistée sans simuler le transfert des patients vers l'UDM après 2 ans (S1' et S2') et concernant le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité, sans simuler le transfert des patients vers l'HD en centre après 5 ans (S3' et S4').

Les espérances de vie obtenues par les stratégies simulées étaient très proches les unes des autres, les résultats de l'analyse de référence sont ainsi sensibles à la moindre petite variation d'espérance de vie : toutes les analyses de sensibilité en scénarios modifiaient les conclusions de l'analyse de l'efficacité de référence, à l'exception de celle relative au développement de la DPA assistée au démarrage sans transfert simulé (S1') qui ne devenait efficace. L'interprétation de ces

résultats détaillée ci-dessous est par conséquent à prendre avec précaution étant donné le très faible différentiel d'espérance de vie entre les stratégies évaluées.

L'analyse de sensibilité en scénario concernant le développement de la DPCA assistée au démarrage sans transfert préparé en HD UDM simulé au bout de 2 ans (S2'), a montré que cette stratégie était efficiente. Par rapport à la stratégie de développement de la DPCA assistée au démarrage, avec transfert en HD UDM (S2), l'espérance de vie actualisée était quasi-équivalente (moins 0,8 mois), mais le coût global actualisé de traitement était inférieur (moins 4 815 € par patient sur 180 mois).

L'analyse des RDCR mettait alors en évidence 4 stratégies situées sur la frontière d'efficacité :

- le développement de la DPCA sans transfert préparé en HD UDM simulé au bout de 2 ans (S2') ;
- la stratégie conjointe de développement de la DP assistée (DPA + DPCA) et de l'UDM de proximité (S6) ;
- le développement de la greffe à partir de donneurs décédés *old for old* avec utilisation des machines à perfusion (S7) ;
- le développement de l'UDM de proximité avec anticipation du transfert en hémodialyse en centre à 5 ans (S4).

L'analyse des RDCR montrait que le coût pour un mois de vie supplémentaire avec la stratégie 6 (stratégie conjointe DP assistée + UDM) par rapport à la stratégie 2' (développement DPCA sans transfert) était de 946€. Les RDCR des trois autres stratégies efficaces (S4 par rapport à S7 et S7 par rapport à S6) étaient identiques à ceux de l'analyse de référence.

L'analyse de sensibilité en scénario concernant le développement de l'UDM sans transfert préparé en HD centre simulé au bout de 5 ans (S3') a montré que cette stratégie était efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées. La stratégie testée en analyse de sensibilité était très peu différente de celle relative au développement de l'UDM avec transfert en HD centre (S3) simulée en analyse de référence : l'espérance de vie était quasi-équivalente (+ 0,1 mois), ainsi que le coût global de traitement sur 180 mois (-183 € par patient).

L'analyse des RDCR mettait alors en évidence 3 stratégies situées sur la frontière d'efficacité :

- la stratégie conjointe de développement de la DP assistée (DPA + DPCA) et de l'UDM de proximité (S6) ;
- le développement de la greffe à partir de donneurs décédés « *old for old* » avec utilisation des machines à perfusion (S7) ;
- le développement de l'UDM sans transfert programmé en HD centre au bout de 5 ans (S3').

L'analyse des RDCR montrait que le coût pour un mois de vie supplémentaire avec la stratégie 3' (développement UDM sans transfert programmé) par rapport à la stratégie 7 (transplantation) était de 11 192 €.

L'analyse de sensibilité en scénario concernant le développement de l'UDM de proximité (S4) a montré que cette stratégie restait efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées même si le transfert en HD centre au bout de 5 ans n'était pas simulé (S4'). La stratégie testée en analyse de sensibilité était très peu différente de celle simulée en analyse de référence : par rapport à la stratégie de développement de l'UDM de proximité avec transfert simulé en HD centre (S4), l'espérance de vie était quasi-équivalente (+ 0,1 mois), ainsi que le coût global de traitement sur 180 mois (-262 € par patient).

Les résultats de cette analyse en scénario étaient donc très proches de ceux de l'analyse de référence avec 3 stratégies efficaces :

- la stratégie conjointe de développement de la DP assistée (DPA + DPCA) et de l'UDM de proximité (S6) ;
- le développement de la greffe à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion (S7) ;
- le développement de l'UDM de proximité sans transfert préparé en HD centre simulé au bout de 5 ans (S4').

Le coût supplémentaire pour un mois de vie en plus avec la stratégie 4' (développement UDM de proximité sans transfert) par rapport à la stratégie 7 (transplantation) était de 9 489 €.

Des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité ont été conduites pour toutes les stratégies évaluées. L'hypothèse haute où les taux de transitions vers le décès du (ou des) compartiments ciblé(s) des stratégies simulées seraient équivalents au taux de transition de la DPCA assistée vers le décès a été testée en analyse de sensibilité. Cette analyse de sensibilité déterministe sur la mortalité ne changeait pas l'ordre des conclusions de l'analyse de l'efficacité de référence.

### ► Discussion des stratégies évaluées pour les patients de plus de 70 ans diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 092 patients parmi les 9 609 patients incidents adultes (21.8 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 78,1 ans.

Les stratégies évaluées correspondaient à des scénarios simulés sur une cohorte de 1 000 patients incidents âgés de 70 et plus diabétiques, sur un horizon temporel restreint de 180 mois. A 180 mois, la totalité des patients diabétiques âgés de 70 ans et plus étaient décédés (99 % des patients).

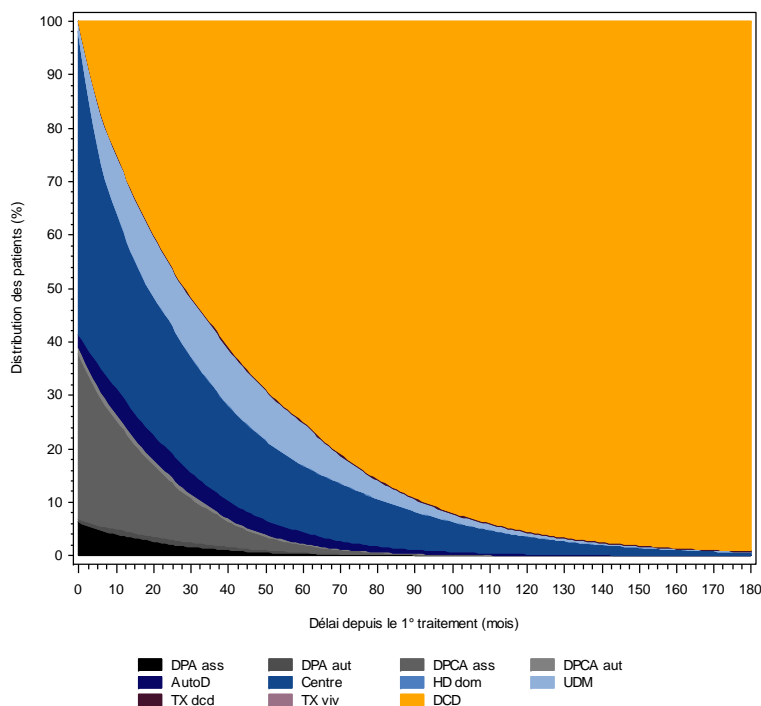
Dans ce groupe de patients âgés et diabétiques, les modifications simulées dans les différentes stratégies avaient un impact limité par rapport à la stratégie de base. Cette population était caractérisée par des espérances de vie très courtes après le démarrage du traitement de suppléance ; par conséquent, les espérances de vie des différentes stratégies simulées étaient également très proches (en moyenne de 38,5 mois dans les stratégies privilégiant l'UDM à 36 mois dans la stratégie de base).

### Stratégies efficaces

**Stratégie 6** : stratégie conjointe de développement de la DP assistée (DPA + DPCA) et de l'HD en UDM de proximité

Cette stratégie était fondée sur une importante possibilité de redistribution de l'HD centre vers la DPCA et DPA assistées et l'UDM de proximité. Cet impact est visible sur la Figure 31 qui montre une augmentation de la surface correspondant à la DPCA assistée (gris clair) et à l'UDM (bleu clair). Il correspond à 391 passages par la DP assistée (DPA et DPCA) *versus* 157 dans la stratégie de base et 262 passages en UDM *versus* 115 dans la stratégie de base.

**Figure 31. Stratégie 6 :** Evolution de la répartition par modalité de traitement des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.



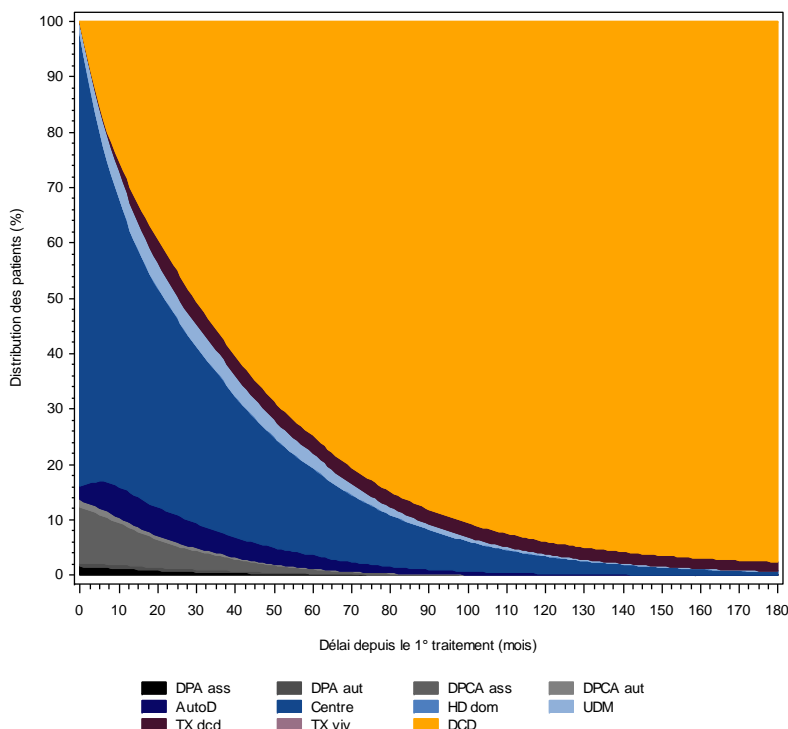
En termes de coûts, cette stratégie correspondait au coût moyen actualisé par mois le plus faible (6 615 € par patient) de toutes les stratégies évaluées. En termes d'espérance de vie, la différence avec la stratégie de base était de 1 mois (37,1 *versus* 36,1 mois dans les pratiques observées, données actualisées). Dans les pratiques observées, le profil des patients dialysés en centre se situe plus ou moins entre les patients en DPCA assistée (patients les plus « lourds ») et en UDM (patients avec un peu moins de comorbidités). Ce constat tend à expliquer l'absence de différence d'espérance de vie dans les stratégies simulées par ce modèle fondées sur des données observationnelles.

Cette stratégie correspondait à des changements de pratiques importants avec plus de 30 % de patients démarrant en DP assistée et un doublement du temps passé en UDM de proximité dans les trajectoires de cette cohorte de patients. Elle avait un impact important sur l'HD centre puisque le temps moyen passé dans cette modalité était de 50 % au lieu de 71 % dans les simulations du modèle fondées sur les données observées.

**Stratégie 7 :** développement de la greffe, donneurs décédés « old-for-old » avec utilisation des machines à perfusion

Cette stratégie était fondée sur une possibilité de développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés avec une répartition tenant compte de l'âge du receveur et du donneur (« old-for-old ») et de l'utilisation des machines à perfusion. La mise en place de cette stratégie a pour impact une augmentation de la surface relative à la transplantation (en violet foncé sur la Figure 32) ce qui correspondait à 52 transplantations chez 1 000 patients de 70 ans ou plus, diabétiques, *versus* 5 dans les données observées (S0).

**Figure 32. Stratégie 7 :** Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.



Le coût global moyen actualisé de cette stratégie était de 252 683 € *versus* 254 502 € par patient dans les données observées (S0) et le coût moyen par mois actualisé de 6 659 € *versus* 7 045 € par patient. En termes d'espérance de vie (actualisée), la différence avec la stratégie de base était très faible (37.9 *versus* 36.1 mois).

Les analyses de sensibilité sur la mortalité ont montré que cette stratégie restait efficace même si la mortalité en transplantation devenait équivalente à la mortalité observée en DPCA assistée.

Cette stratégie implique des changements de pratiques importants avec une multiplication par 10 du nombre de patients transplantés (5 patients sur 1 000 dans les données observées et seulement 1,1 % du temps passé par les patients avec un greffon fonctionnel). Elle n'est envisageable que chez certains patients très ciblés avec peu de comorbidités. Elle a été définie en se fondant sur l'hypothèse selon laquelle l'utilisation des machines à perfusion pour des greffons limites (ou à critères élargis) apporterait une durée de vie équivalente à celle d'un greffon non limite. Concrètement, dans le modèle, cela revient à ne pas modifier les taux de transitions du compartiment « greffe donneurs décédés » estimés sur des périodes où les machines à perfusion n'étaient pas encore en service et les personnes âgées peu prélevées. En revanche, un surcoût de 1 700 € lié à l'utilisation de machines à perfusion a été ajouté pour chaque transition vers la transplantation rénale à partir d'un donneur décédé. Ce surcoût correspondait aux modalités de financement mises en place depuis 2012.

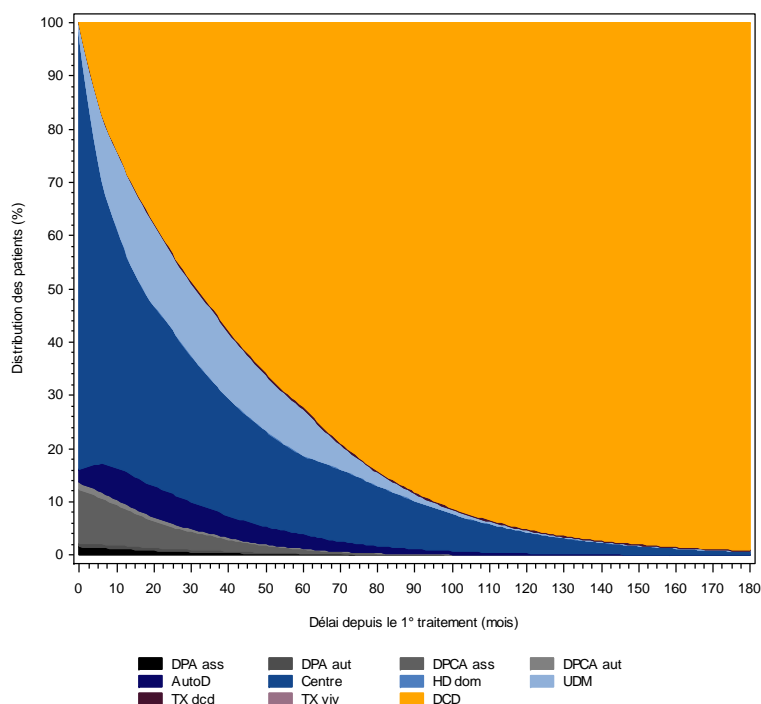
**Stratégie 4 :** développement de la prise en charge des patients en UDM de proximité et privilégier un transfert préparé vers l'HD Centre simulé après 5 ans

Cette stratégie était fondée sur une possibilité de développement de la prise en charge des patients en UDM de proximité dans les 5 premières années après le démarrage du traitement de suppléance. Elle suit la tendance actuelle de développement des UDM et des UDM de proximité dont certaines fonctionnent par télé-médecine. D'après les données de REIN, la part de l'UDM

dans la prise en charge des patients en IRCT est en constante augmentation d'environ 2 % par an depuis 2007.

La mise en place de cette stratégie avait pour impact une forte augmentation de la place relative à l'UDM (surface en bleu clair sur la Figure 33) puis une rupture à partir de 60 mois coïncidant au transfert préparé vers l'hémodialyse en centre. Elle correspondait à 304 passages par l'UDM *versus* 115 dans les données observées (S0).

**Figure 33. Stratégie 4 : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance**



Le coût global moyen actualisé de cette stratégie était de 260 304 € *versus* 254 502 € par patient dans les données observées (S0) et le coût moyen par mois actualisé de 6 744 € *versus* 7 045 € par patient. En termes d'espérance de vie actualisée, la différence avec la stratégie de base était faible (38.6 *versus* 36.1 mois).

Cette stratégie impliquait une augmentation importante du temps passé en UDM de proximité (20,5 % *versus* 8,8 %) dans les trajectoires de cette cohorte de patients. Son coût global était très proche de celui de la stratégie de base ce qui s'expliquait par le faible différentiel de coût de traitement entre les 2 modalités (dans cette simulation, seule la proximité au travers de la baisse du coût de transport a été prise en compte). En termes de profil de patients, dans les pratiques observées, les patients orientés vers l'UDM avaient un peu moins de comorbidités que ceux de l'HD centre ; ceci tend à expliquer la légère augmentation de l'espérance de vie dans ce modèle dont les simulations étaient fondées sur des données observationnelles. Une mortalité en UDM qui serait équivalente à la mortalité observée en DPCA assistée n'ajouterait que 12 décès supplémentaires (147 *versus* 135 selon l'analyse de sensibilité déterministe sur la mortalité).

Les analyses de sensibilité en scénario ont montré que le développement de l'UDM de proximité simulé par une baisse de coûts de transport sans transfert préparé en centre (S4') et que le développement de l'UDM sans transfert préparé (S3') étaient deux stratégies efficaces. Par rapport au développement de la transplantation rénale (S7), les coûts de ces stratégies étaient de 9 489 € et 11 192 € supplémentaires par mois de vie gagnée par patient.

De la même façon, la stratégie relative au développement de la DPCA sans transfert préparé en UDM simulé au-delà de 2 ans de traitement (S2'), était efficiente.

Il semble cependant difficile d'envisager dans ce groupe d'âge à haut risque le développement de la DPCA assistée au démarrage et de l'UDM dans les trajectoires des patients sans anticiper un certain nombre de replis de ces patients en hémodialyse en centre.

### Les autres stratégies

Bien que non efficientes par rapport aux stratégies sur la frontière d'efficience, les autres stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celles relative au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -8 237 € à +7 044 € par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Le développement important de la dialyse péritonéale assistée (DPA et DPCA) comme modalité de démarrage avec transfert préparé vers l'UDM simulé après 2 ans (S1 et S2) se démarquait peu de la stratégie de base fondée sur les pratiques observées. Bien que les coûts mensuels du traitement en DP assistée soient plus faibles qu'en HD centre, le temps moyen passé en DP assistée (14 % maximum pour S2) et le transfert préparé en UDM expliquaient le faible impact sur le coût global (actualisé), à la seule exception de la DPCA assistée (248 067 € *versus* 254 502 € par patient dans la stratégie de base).

Dans les deux stratégies simulées (S1 et S2), les transferts pouvaient survenir plus précocement que dans la stratégie de base, du fait qu'ils aient été « anticipés » sur la période 24-60 mois. Ainsi, dans la stratégie avec transfert préparé (S2), seul 1,1 % des patients étaient encore en DPCA assistée à 48 mois, *versus* 3,5 % dans la stratégie sans transfert préparé (S2'). Le surcoût éventuel d'un repli non programmé n'a pas été estimé dans le cadre de cette modélisation.

Dans les stratégies favorisant le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité, les espérances de vie légèrement plus élevées pouvaient être expliquées par un profil de patients moins sévères orientés vers l'UDM par rapport à l'HD centre (38,6 et 38,7 mois pour S3-S4 et S3'-S4' *versus* 36,1 mois dans la stratégie S0). Cependant les analyses de sensibilité substituant la mortalité en UDM par celle observée en DPCA assistée ne montraient pas d'impact majeur sur la survie (38 mois).

Le développement de l'HD UDM aux dépens de l'HD Centre (S3) permettait de diminuer de 10 % le temps moyen passé en HD centre et de baisser le coût moyen actualisé par mois à 6 776 € *versus* 7 045 € (S0) par patient. En substituant les coûts de transport actuellement observés en HD UDM par les coûts de transports observés en HD autodialyse (S4) dans la stratégie d'UDM de proximité, le coût actualisé diminuait à 6 744 € par mois par patient. Cependant, le coût global moyen de toutes les stratégies de développement de l'UDM dans les trajectoires des patients (S3-S4 et S3'-S4') était supérieur à celui de la stratégie de base fondée sur les pratiques observées.

La faible différence dans les coûts de prise en charge des patients en HD centre et HD UDM, et le transfert préparé vers l'HD centre au-delà de 60 mois tend à expliquer que malgré une espérance de vie légèrement augmentée, le développement de l'UDM dans les trajectoires des patients (S3) ne soit pas une stratégie efficiente. L'analyse de sensibilité en scénario fondée sur le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité sans transfert préparé en HD centre simulé après 5 ans (S3' et S4'), a toutefois montré que ces stratégies devenaient efficientes par leur impact sur les coûts de prise en charge à la baisse.



## 5.3 Analyse de l'incertitude associée aux résultats de l'évaluation

Les résultats présentés ci-dessus doivent être interprétés au regard des choix structurants, de la structure du modèle et de ses paramètres introduits. Un modèle est une représentation simplifiée de la réalité, l'objectif de cette partie était de discuter de la robustesse des résultats au regard de la façon dont la réalité a été modélisée et des éléments non pris en compte.

### 5.3.1 Incertitude liée aux choix structurants

Les données disponibles ont conduit à faire des choix qui ont des conséquences sur l'estimation des résultats.

#### ► Non prise en compte de la qualité de vie

L'IRCT a des conséquences importantes en termes de qualité de vie, qui peuvent être différentes en fonction de la modalité de traitement, mais aussi des caractéristiques des patients et de leur environnement.

Les études identifiées dans la revue de la littérature montraient que la qualité de vie associée à la santé dans le cas de la transplantation était supérieure à celle de la dialyse, mais que des différences pouvaient également exister selon les techniques de dialyse et l'organisation de la prise en charge (12, 165). La prise en compte de la qualité de vie associée à la santé dans l'évaluation économique pourrait donc affecter les résultats : par exemple, variation selon le degré d'autonomie qu'elle laisse aux patients (compatibilité avec une activité professionnelle, maintien à domicile, et à l'inverse, l'angoisse générée par la solitude fasse au traitement, etc.). La qualité de vie de l'entourage pourrait également être affectée par le mode de prise en charge, notamment à domicile qui nécessite l'aide d'un aidant.

Les données nécessaires au calcul des QALYs pour les 9 modalités de traitement et de leur évolution dans le temps pour les 6 groupes de patients étant indisponibles, les résultats tiennent compte uniquement de la quantité de vie et pas de la qualité de vie associée aux différentes stratégies. Cette limite doit être considérée dans l'interprétation des résultats.

#### ► Perspective incomplète

La perspective retenue n'est pas une perspective collective, certaines des conséquences, en termes de coût notamment, ne sont pas prises en compte dans l'estimation des résultats, en particulier, les coûts restant à la charge des patients et les coûts d'investissement du point de vue des fournisseurs de soins. Leur prise en compte pourrait affecter différemment les différentes stratégies alternatives envisagées et donc modifier les résultats.

Par exemple, la participation financière des patients au traitement est limitée compte tenu du fait que l'IRCT est classée parmi les ALD (160). Les restes à charge pour les patients ne sont cependant pas pris en compte. Une vigilance particulière s'impose en effet dans l'estimation des coûts de prise en charge concernant les modalités de traitement à domicile et autonomes sans assistance (hémodialyse et dialyse péritonéale). Or, cette évaluation ne permet pas d'assurer l'absence de transfert de charge vers les patients dans les stratégies alternatives. En outre, la perspective de l'étude ne prend pas en compte l'entourage des patients, alors que le développement de prises en charge autonomes à domicile pourrait avoir un impact direct sur le temps des aidants.

Par ailleurs, les coûts d'investissement pour les fournisseurs de soins liés à la mise en place de certaines stratégies de prise en charge ne sont pas intégrés dans la présente évaluation. Or, ils sont parties prenantes dans le développement des différentes stratégies de prise en charge envisagées en termes de conséquences organisationnelles et financières (rentabilité lié au développement d'un nouveau mode d'organisation).

### ► **Horizon temporel restreint**

L'horizon temporel de 180 mois (15 ans), ne permet pas d'envisager les résultats du modèle sur la vie entière de tous les groupes d'âge. Ainsi, pour le sous-groupe de patients âgés de 18 à 44 ans le modèle est tronqué à droite. Il ne tient pas compte des « fins » de trajectoire qui pourraient s'avérer plus coûteuses en raison de l'aggravation de l'état clinique des patients et d'une perte éventuelle d'autonomie (par exemple en cas de rejet de greffe et de transfert en dialyse). Dans les sous-groupes de patients de plus de 45 ans, l'espérance de vie moyenne est largement inférieure aux 180 mois du modèle.

La prise en compte des « fins de trajectoire » pour le sous-groupe des 18-44 ans pourraient affecter les résultats si les stratégies les moins coûteuses et les plus efficaces sur les 15 premières années devenaient beaucoup plus coûteuses et moins efficaces au-delà de 15 ans et inversement. S'il est peu probable que cela inverse les conclusions, il est possible que le rapport coût-efficacité de certaines stratégies, la greffe par exemple, soit surestimé si l'horizon temporel ne permet pas de prendre en compte les rejets chroniques nécessitant une nouvelle transplantation ou une mise en dialyse. Cependant, il est également fort probable que même au-delà de 15 ans, la dialyse reste moins efficace et au moins aussi coûteuse.

### ► **Choix des sous populations**

Six sous populations ont été définies en prenant en compte l'âge et le diabète. D'autres caractéristiques cliniques des patients qui ont un impact sur la mortalité et les taux de transition n'ont pas été retenues, principalement pour des raisons de faisabilité (effectifs trop faibles par groupes de patients). Les résultats fondés sur des données « moyennes » peuvent masquer la variabilité liée à l'hétérogénéité clinique des patients.

Le modèle a été mis en œuvre pour chaque groupe de patients. La concurrence de ces sous-populations face à une offre de soins contrainte et une pénurie d'organes n'est pas prise en compte concernant la faisabilité des stratégies envisagées. Cette hypothèse a des conséquences sur les possibilités de mise en œuvre des stratégies ; elle sera discutée dans le chapitre 6..

## **5.3.2 Incertitude liée à la structure du modèle retenu**

### ► **Type de modèle**

L'incertitude structurelle, inhérente à la construction du modèle d'évaluation économique, peut être documentée lorsqu'il existe des modèles alternatifs plausibles correspondant à une représentation différente du phénomène (4). Or, la revue de la littérature et les experts interrogés n'ont pas permis d'identifier de modèle similaire développé pour étudier la prise en charge de cette pathologie.

Une structure alternative de type micro-simulation (modèle individus-centrés), aurait pu se justifier pour définir des trajectoires « idéales » selon une typologie de patients. La faisabilité de ce genre de modèle complexe permettant de simuler des trajectoires individuelles est difficilement envisageable en raison des nombreux compartiments et d'un horizon temporel sur 15 ans. En outre, l'analyse de l'interaction entre les individus, c'est-à-dire la compétition des patients pour une modalité de traitement en fonction de l'offre disponible n'était pas l'objet de la présente étude fondée sur une vision macroéconomique des conséquences liées aux changements simulés dans les pratiques de prise en charge d'une cohorte de patients. Elle aurait pu se justifier si l'accès à un greffon rénal ou la préférence individuelle des patients pour un mode de prise en charge devait être pris en compte de façon centrale. Une telle précision aurait nécessité d'avoir beaucoup plus d'informations complémentaires (groupage HLA, préférence des patients pour une modalité de traitement, éléments de décision finale de prise en charge, etc.) ; données qui ne sont pas disponibles dans le registre REIN pour tous les patients. Au final, il a été considéré, qu'en l'état des données disponibles, le recours à ce type de modèle aurait accentué l'incertitude attachée aux résultats.

### ► Hypothèses simplificatrices

Le modèle repose sur l'hypothèse de l'indépendance des taux de transition, c'est-à-dire que la modification d'un taux de transition ne modifie pas le comportement ou le coût du compartiment départ ou du compartiment arrivée.

Par ailleurs, il s'agit d'un modèle sans mémoire dans lequel l'état futur est uniquement déterminé par l'état actuel et qui ne prend pas en compte les traitements antérieurs dans le calcul des taux de transition.

Les taux de transition ont été estimés dans chacune des 3 tranches d'âge. En revanche, le changement de sous-groupes pour les patients proches des bornes d'âge n'a pas été pris en compte dans le modèle stratifié par sous-groupe.

Le seul axe de temps pris en compte est le délai depuis le démarrage d'un traitement de suppléance sur 180 mois. Cependant, les taux de transition ont été estimés selon 7 intervalles de temps depuis le démarrage, en particulier le taux de transition vers le décès ce qui permet de prendre en compte le risque accru de décès avec le temps.

### 5.3.3 Incertitude liée aux données sources alimentant le modèle

#### ► Incertitude sur l'estimation de la distribution initiale et des taux de transition de la stratégie de base

Pour rappel, pour chaque sous-population, la stratégie de base correspondant aux prédictions du modèle à partir des pratiques observées dans le registre REIN sur la période 2002-2010, a été comparée à différentes stratégies alternatives qui ont été construites par la modification de la distribution initiale observée des patients dans les différentes modalités de traitement ou/et par la modification des taux de transition entre les différentes modalités de traitement.

Les taux de transition de la stratégie de base ont été calculés sur une population d'un registre à partir des régions participant sur la période 2002-2009 et non sur un échantillon de patients.

Sur cette période, les données n'intégraient pas l'ensemble des régions françaises : l'Île de France et les régions d'Antilles-Guyane n'ont pas été prises en compte.

L'absence des 3 DOM pourrait constituer une source d'incertitude en raison d'un accès à la greffe très particulier dans ces régions et d'une démographie caractérisée par des patients plus jeunes et plus souvent diabétiques mais étant donné la taille de ces régions, elles ont globalement peu d'impact sur la moyenne nationale.

La non prise en compte de la région l'Île de France est également à examiner compte tenu du nombre très important d'inscrits sur la liste d'attente dans cette région. En raison de la pénurie d'organes, le temps d'accès à un greffon peut être considéré comme similaire à la province et n'ayant pas d'impact majeur sur les taux de transition.

Cependant, on peut considérer que les données du registre REIN sur les 22 régions prise en compte reflètent les pratiques moyennes sur cette période.

Concernant le cas particulier de l'UDM, modalité créée en 2002 et en cours de déploiement sur le territoire, les données récentes montrent une augmentation du nombre de patients traités par cette modalité, aux dépens de l'autodialyse et du centre. En revanche, le profil des patients a peu évolué sur cette période (cf. figure 1). Cette limite peut affecter l'estimation du coût global de traitement.

#### ► Incertitude liée aux données observationnelles

En situation observationnelle, il existe des biais d'indication qui expliquent, au moins en partie, les différences d'espérance de vie observées selon les modalités de traitement dans chacune des sous populations de patient. En d'autres termes, on peut considérer que la survie n'est peut-être

pas tant liée à la modalité de traitement qu'au fait d'avoir les caractéristiques compatibles avec cette modalité de traitement. Cependant la prise en compte de l'âge et du statut diabétique permet d'atténuer ces biais d'indication.

A l'intérieur des six sous populations, les profils de patients orientés préférentiellement vers la transplantation rénale ou la dialyse autonome sont ceux qui présentaient potentiellement moins de comorbidités. Les analyses de la sensibilité sur la mortalité ont permis d'estimer en partie l'incertitude générée par ce biais d'indication sur les résultats de santé.

En l'absence d'essai contrôlé randomisé comparant les modalités de traitement selon un critère d'efficacité, l'utilisation des données du registre REIN ont l'avantage d'être observées en situation populationnelle alors que dans les essais, la population d'étude est souvent très sélectionnée, de petite taille et l'horizon temporel court.

L'incertitude liée à l'utilisation de données observationnelles dans le modèle et son impact sur la validité des résultats de santé est discutée dans le paragraphe 5.3.4.

### ► Incertitude sur les coûts

L'étude de coûts réalisée à partir des données du SNIIRAM-PMSI présentait un certain nombre de limites qui ont été énoncées précédemment (chapitre 4). Ces limites portaient sur :

- la prise en compte d'une seule année (2009) ;
- les critères de sélection de la population d'analyse qui ne pouvaient garantir une sélection exhaustive ;
- la nécessité d'établir des règles de classement des patients dans une ou plusieurs modalités de traitement, à défaut de pouvoir reconstituer des trajectoires en fonction du temps passé dans les modalités de traitement et de pouvoir identifier de façon totalement certaine les patients porteurs de greffon ;
- le périmètre des coûts pris en compte pour estimer un coût global moyen d'un patient stable en traitement de suppléance pour IRCT, ne permettant pas de distinguer les coûts liés directement à la prise en charge de l'IRCT du coût des comorbidités ;
- l'absence de prise en compte de l'évolution des coûts selon l'ancienneté des patients dans les techniques de traitement et le vieillissement des patients.

Ces limites peuvent affecter les résultats de l'analyse de l'efficacité (ratio différentiel coût-résultat) mais elles ne constituent pas en soi des sources d'incertitude sur l'ordre des conclusions. Elles ne sont à priori pas en faveur ou en défaveur d'une modalité de traitement ou d'une autre, lorsqu'elles le sont, elles sont plutôt conservatrices au regard des conclusions. Par exemple, c'est notamment le cas de la sélection des patients porteurs de greffons non hospitalisés sur la période de l'étude et repérés à partir d'au moins 3 prescriptions d'immunosuppresseurs : ce médicament traceur peut être utilisé pour d'autre motif que la greffe rénale. Des patients greffés du rein et d'un autre organe ont pu être sélectionnés et toutes leurs dépenses ont été prises en compte : le coût de la greffe rénale a pu ainsi être surestimé, ce qui est un choix conservateur au vu de la dominance répétée de la stratégie transplantation dans les résultats de l'évaluation économique.

Le modèle a été alimenté à partir du coût mensuel pour un patient prévalent « stable », estimé pour chaque modalité de traitement et par tranches d'âge et présence ou non de diabète (cf. méthode présentée dans l'étude de coût). Le choix d'estimer les coûts de prise en charge à partir des patients prévalents stables, a conduit à introduire des coûts de transition permettant de mieux approcher la complexité de la réalité. Certaines transitions n'ont pas été valorisées, comme par exemple dans le cas d'un repli des patients dans les modalités d'HD non autonomes ou les retours en dialyse après échecs de greffe.

Les choix effectués pour estimer le calcul des coûts de transition peuvent être source d'incertitude dans la mesure où ils peuvent conduire à surestimer ou au contraire sous-estimer le coût d'une stratégie de prise en charge. C'est notamment le cas de l'estimation d'un surcoût associé au dernier mois de décès. Le coût moyen du dernier mois de traitement pour chaque modalité a été

appliqué dans son intégralité à chaque patient décédant au cours de la période. Le choix de ne pas retrancher le coût d'un mois de traitement d'un patient prévalent stable implique un risque de surestimation du coût du décès. Ce choix est lié au fait que le décès peut survenir à n'importe quel moment du mois et correspond rarement à un mois complet.

Comme déjà indiqué, l'utilisation de données transversales pour estimer les coûts n'a pas permis de prendre en compte l'évolution des coûts en fonction du temps passé dans la modalité. Ainsi, par exemple, l'estimation du coût de prise en charge d'un patient porteur d'un greffon fonctionnel classé dans le groupe des plus de 70 ans peut correspondre pour une part à des patients greffés avant 70 ans. En revanche, l'estimation du coût initial de la greffe a été faite sur des patients de l'année et donc correspond à l'âge réel au moment de la greffe. De même pour les décès.

Des stratégies sans transfert préparé ont été simulées dans l'évaluation économique. Pour ces stratégies, les coûts des replis en urgence n'ont pas été calculés et ont pu donc amener à sous-estimer les coûts globaux des stratégies concernées. Cependant, ces stratégies ont été testées en analyse de sensibilité et ont, dans très peu de cas, modifié les résultats des analyses de référence.

Enfin, en l'absence de données disponibles, les coûts de certaines stratégies « émergentes » ont été estimés sur la base d'hypothèses (cas de l'UDM de proximité, de l'HD quotidienne). A chaque fois, c'est l'hypothèse haute (coût maximum) qui a été privilégié. Ainsi, on peut définir un intervalle de coût qui a pour borne basse la prise en charge conventionnelle (UDM ou HD domicile) et comme borne haute la prise en charge « émergente ». Des analyses de sensibilités sur les coûts n'auraient indiqués que des résultats intermédiaires entre ces 2 bornes.

### **5.3.4 Incertitude liée à la définition des stratégies évaluées**

Les stratégies alternatives ont été définies à partir des trajectoires observées (données REIN) et en se fondant sur les possibilités d'évolution de la prise en charge en fonction des caractéristiques des groupes de patients qui reposent sur : l'hypothèse d'un réservoir de patients pris en charge en hémodialyse en centre, qui pourraient démarrer leur traitement de suppléance dans d'autres modalités de traitement et celle d'une substituabilité partielle des différentes modalités de traitement. Ses stratégies ont été définies afin de ne pas entraîner, a priori, de perte de chance pour les patients.

Elles dépendent donc des pratiques observées (qui intègrent le choix des patients) et de ce qui est considéré comme « possible » ou « réalisable ». En l'absence de connaissances précises sur l'étendue du pool de patients pris en charge en hémodialyse en centre pouvant être traités par un autre mode, les éléments qui ont conduit à la définition des alternatives sont susceptibles d'être porteurs d'un biais d'endogénéité concernant le choix des stratégies comparées dans chaque sous-population.

Par exemple, les stratégies liées au développement de la transplantation rénale ont été définies dans la lignée des objectifs chiffrés issus du plan greffe. En dialyse, les instructions ARS ne définissent pas de chiffres ciblés par modalités de traitement et en fonction des caractéristiques des patients. Elles précisent seulement le développement de la dialyse hors centre à 45 % à 3 mois après le démarrage du traitement de suppléance.

Dans un objectif d'amélioration de la prise en charge, des scénarios de transferts préparés ont été simulés dans un certain nombre de stratégies. Ce choix est justifié par les besoins et les pratiques, une incertitude persiste cependant sur le moment du retour et le taux de retour qui doit être envisagé. Afin de tenir compte de l'impact de ces choix, des stratégies n'intégrant pas de transfert préparé ont été testées en analyse de sensibilité en scénarios. Ces analyses de sensibilité ont permis de voir dans quelle mesure une stratégie avec transfert préparé pouvaient impacter les résultats sur 15 ans ; cependant ces scénarios n'intégraient pas les coûts associés aux replis en urgence.

Les niveaux de modification des paramètres des stratégies évaluées ont été définis à partir d'une modification de la distribution initiale des patients dans les différentes modalités et/ou des taux de

transition par rapport à la stratégie de base. Les niveaux de modifications ont été fixés en fonction d'une cible à atteindre, soit en termes de part de « marché » d'une modalité de traitement, soit en termes de volumes de patients concernés. Ces paramètres ont été déterminés au regard de la littérature et sur avis d'experts concernant leur réalisme par rapport à la situation observée. Dans le cas de trajectoires peu observées dans le registre REIN (taux de transition proches de zéro), les paramètres ont dû être forcés, avec des facteurs multiplicatifs très élevés, pour qu'un effet de la nouvelle stratégie puisse être observé.

Enfin, les volumes de patients dans chaque compartiment dépendent d'un effet mécanique du modèle. Lorsque les effectifs d'un compartiment sont modifiés (à la hausse ou à la baisse), au pas de temps suivant, le nombre de patients sortant de ce compartiment est modifié de façon mécanique (même sans modification du taux de transition de sortie) car les flux entre compartiments dépendent des effectifs des compartiments et des taux de transition. Il a été vérifié que les modifications en termes de volume de patients dans les compartiments liées à l'effet mécanique restaient cohérentes ; dans le cas contraire les flux ont été contraints (par exemple, dans le cas du développement de la transplantation rénale à partir d'un type de donneur, afin de pouvoir comparer les stratégies simulées à la stratégie de base, certains taux de transition ont été augmentés dans l'objectif de maintenir un volume équivalent de greffe à partir de l'autre type de donneur). Pour les stratégies évaluées concernant les patients jeunes (18-44 ans, diabétiques et non diabétiques), des scénarios alternatifs à la transplantation rénale ont été simulés sur un horizon temporel limité à 3 ans afin de « masquer » l'effet sur les résultats liés à la transplantation sur le long terme.

Les résultats de cette évaluation sont donc dépendants des stratégies qui ont été effectivement comparées, d'autres auraient pu être envisagées. L'intérêt d'avoir développé ce modèle est néanmoins de pouvoir disposer d'un outil qui permettra de simuler, dans l'avenir, d'autres modifications dans l'évolution de la prise en charge des patients en IRCT.

### **5.3.5 Incertitude sur les résultats de santé du modèle**

En définitive, les résultats de l'évaluation sont intrinsèquement liés à l'estimation de la distribution initiale et des modifications des taux de transition des stratégies alternatives.

Les biais d'indication, précédemment évoqués, associés à l'effet mécanique du modèle ont toutefois un impact sur la validité de l'estimation des résultats de santé. Le modèle a simulé différents flux de patients entre les compartiments. Ces flux ont été modifiés en fonction des stratégies évaluées et par la mécanique même de ce modèle : dans le cas d'une modification de la distribution initiale des modalités de traitement ou d'une modification des taux de transition entre les compartiments, un pool de patients va être réorienté vers une autre modalité de traitement et prendre les caractéristiques des patients du compartiment d'arrivée. En effet, par construction du modèle, l'espérance de vie de ces patients sera la même que celle des patients du compartiment d'arrivée. En revanche, l'espérance de vie des patients du compartiment de départ n'a pas été dégradée.

Ainsi, dans les résultats du modèle, l'augmentation de l'espérance de vie est en partie liée au fait que l'on affecte à ces patients la survie correspondant à celle observée pour les patients du compartiment d'arrivée. Par exemple, pour les patients âgés de 70 ans et plus non diabétiques, dans le cas d'un scénario de développement de l'UDM, l'espérance de vie plus longue par rapport à l'hémodialyse en centre s'explique partiellement par le biais d'indication de patients « moins lourds » orientés vers l'UDM.

Ce choix est justifié par l'hypothèse de substituabilité partielle des modalités de traitement (existence d'un pool de patients dont les caractéristiques étaient compatibles avec un autre mode de prise en charge). Cependant, si cette hypothèse semble valide au regard des données disponibles et des disparités régionales observées, il existe une incertitude sur ses limites. Il n'est pas possible de savoir quel est le pool de patient qui peut être transféré d'un mode de traitement à l'autre sans affecter l'espérance de vie respective des compartiments de départ et d'arrivée. Il n'est

pas possible non plus d'analyser avec précision l'incertitude liée aux biais d'indication. L'hypothèse de substituabilité partielle des modalités de traitement et l'existence dans chaque compartiment d'un pool de patients transférables vers un autre compartiment a cependant été testée à partir d'analyses de sensibilité. Des analyses de sensibilité déterministes sur la mortalité ont été systématiquement conduites afin de prendre en considération le fait que les caractéristiques des patients transférés pouvaient être différentes de celles des patients du compartiment d'arrivée : les taux de transition des compartiments d'arrivée, dont le volume a été modifié vers le compartiment « décès » ont alors été fixés au taux de mortalité le plus élevé observé dans le groupe de patients considéré, pour toutes les stratégies afin de tenir compte de la faisabilité de l'évolution des prises en charge, sans entraîner de perte de chance a priori. Les résultats des 64 analyses de sensibilité déterministes mises en œuvre pour les six sous-populations ne modifiaient pas l'ordre des conclusions de l'analyse de référence.

En dehors de la transplantation rénale, en l'absence de consensus dans la littérature sur les différences d'efficacité entre les modalités de traitement, le modèle se fonde sur l'hypothèse de substituabilité partielle des modalités de traitement. Les stratégies évaluées ont été définies pour chaque sous-population en fonction de l'âge et du statut diabétique du patient afin de tenir compte de la faisabilité de l'évolution des prises en charge, sans entraîner de perte de chance a priori. Par conséquent, par construction, le modèle ne permet pas de mettre en évidence de différences majeures d'espérance de vie entre les stratégies évaluées.

#### ► **Limites des analyses de sensibilité déterministes**

Les analyses de sensibilité sur les paramètres n'ont pas porté sur une variation des coûts, en particulier des forfaits de dialyse. Les forfaits relèvent d'une approche tarifaire ; or l'objectif de cette évaluation était d'évaluer l'efficacité liée à une évolution des stratégies de prise en charge des patients en IRCT et non une adaptation de la tarification. En outre, en terme de faisabilité, il n'était pas possible d'intégrer dans le modèle une variation unique des tarifs dans la mesure où les paramètres du modèle prenaient en compte des montants remboursés pour une prise en charge globale des patients (et non uniquement les tarifs).

Seules des analyses de sensibilité déterministes ont été mise en œuvre. De plus, compte tenu du nombre important de paramètres dans le modèle (en particulier, 700 transitions entre les compartiments), la faisabilité et l'interprétation des résultats liés à la réalisation d'analyses de sensibilité multivariées aurait été très difficile.

En outre, l'utilisation d'un modèle structurel déterministe n'était pas compatible avec la mise en œuvre d'analyses de sensibilité probabilistes qui nécessitait de remodeler la structure du modèle vers un modèle de type Markov caché qui aurait probablement posé des problèmes de convergence et d'interprétabilité. Le modèle développé est un modèle :

- à compartiments sans mémoire avec données groupées par compartiments en fonction des co-variables âges et diabète (prise en compte du temps où le patient reste dans le compartiment et de sa probabilité de sortie vers un autre compartiment) ;
- permettant des simulations déterministes et fondées sur la résolution d'un système d'équations différentielles ;
- complexe nécessitant un découpage en sous-modèles de Markov afin de faire converger les données.

Les analyses de sensibilité en scénario proposées sont elles-mêmes déterministes et fondées sur des hypothèses concernant le choix des paramètres modifiés et leur valeur.

Les analyses de sensibilité en mortalité ont été basées sur des hypothèses fortes en termes d'augmentation de la mortalité du compartiment d'arrivée. En revanche, l'impact des stratégies simulées sur la mortalité des autres compartiments n'a pu être analysé en l'absence d'éléments laissant supposer qu'il y puisse y avoir un impact direct.

## **Encadré 22. Conclusions sur l'analyse de l'incertitude**

En conclusion, les résultats de cette évaluation doivent être interprétés au regard de l'incertitude associée aux éléments suivants :

- Choix structurants la mise en œuvre de l'évaluation : non prise en compte de la qualité de vie, la perspective incomplète, l'horizon temporel restreint et les choix liés aux caractéristiques des sous-populations.
- Structure du modèle : type de modèle, hypothèses simplificatrices (indépendance des taux de transitions, modèle sans mémoire, estimation des taux de transition sur 7 périodes de temps).
- Données sources alimentant le modèle : données observationnelles du registre REIN et incertitude générée par les biais d'indication des différentes modalités de traitement sur les résultats de santé, incertitude sur les coûts liée aux limites d'utilisation des données du SNIIRAM chaînées au PMSI et à l'estimation des coûts qui alimentent le modèle.
- Définition des stratégies évaluées : à partir des trajectoires observées dans les données REIN et sur l'hypothèse d'un réservoir de patients pris en charge en hémodialyse en centre qui pourraient bénéficier d'autres modalités de traitement, i.e. hypothèse de substituabilité partielle des différentes modalités de traitement ; de même, les niveaux de modification des paramètres des stratégies évaluées ont été déterminés au regard de la littérature, des cibles fixées par les tutelles et sur avis d'expert concernant leur réalisme par rapport à la situation observée.
- Résultats de santé du modèle : intrinsèquement liés à l'estimation de la distribution initiale et des modifications des taux de transition des stratégies alternatives, et aussi, à l'effet mécanique du modèle et aux limites de l'hypothèse de substituabilité partielle des modalités de traitement sans que l'on puisse analyser avec précision l'incertitude liée aux biais d'indication dans les données observées ni celle liée au pool de patients transférables d'une modalité de traitement à une autre sans affecter l'espérance de vie des compartiments de départ et d'arrivée.



## 5.4 Synthèse des résultats de l'évaluation

L'objectif était d'évaluer selon un critère d'efficience, différentes stratégies de prise en charge des patients traités pour IRCT en France, en tenant compte des possibilités d'évolution par rapport à la situation actuelle.

Le modèle sur lequel se fonde cette évaluation économique a permis de décrire les évolutions sur 15 ans de la répartition des volumes de patients incidents pris en charge dans dix modalités de traitement. Il donne la possibilité de simuler des changements dans les trajectoires des patients entre les différentes modalités de traitement au cours du temps et d'estimer leurs impacts en termes de coût et d'efficacité (espérance de vie).

Les stratégies évaluées ont été définies par groupes d'âge et en fonction du statut diabétique afin de tenir compte de la faisabilité de l'évolution des prises en charge (18-44 ans non diabétiques et diabétiques, 45-69 ans non diabétiques et diabétiques, 70 ans et plus non diabétiques et diabétiques).

Les résultats de l'évaluation médico-économique sont fondés sur des simulations du devenir de cohortes de 1 000 patients incidents sur 15 ans. Ils ont été présentés dans la section 5.2 pour chaque sous-population étudiée. L'interprétation des résultats de l'évaluation a ensuite fait l'objet d'une analyse critique dans la section 5.3, afin d'apprécier la part d'incertitude associée aux résultats de la modélisation.

Dans cette synthèse, les principaux résultats de l'ensemble des stratégies évaluées pour les 6 sous-populations sont présentés de la façon suivante :

- caractéristiques de la population étudiée, espérance de vie moyenne et coût global moyen de prise en charge par patient dans les pratiques observées sur la période étudiée ;
- stratégies évaluées ;
- résultats de l'analyse de l'efficience fondée sur la comparaison de toutes les stratégies de façon simultanée en termes d'efficacité et de coût (la représentation graphique de la frontière d'efficience, n'est pas reprise dans cette synthèse) ;
- comparaison des résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 15 ans (stratégies efficaces et non efficaces) par rapport à la stratégie de base fondée sur les pratiques observées. Ces comparaisons sont présentées dans une synthèse graphique sur laquelle :
  - l'origine correspond à la stratégie de base (pratiques observées) ;
  - l'axe des abscisses correspond à la différence (en mois) d'espérance de vie moyenne de la stratégie évaluée par rapport à celle de la stratégie de base fondée sur les pratiques observées (données actualisées) ;
  - l'axe des ordonnées correspond à la différence de coût (en euros) du coût global moyen de la stratégie évaluée par rapport à celui de la stratégie de base (données actualisées).

### 5.4.1 Patients âgés de 18 à 44 ans, non diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait seulement 824 patients parmi les 9 609 patients incidents (8,6 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 35,4 ans.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 161,9 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées. Sur cette période, les patients passaient en moyenne 70 % de leur temps avec un greffon fonctionnel et 13 % en HD en autodialyse.

Le coût global moyen de prise en charge par patient sur cette même période était de 434 493 euros

Dix stratégies d'évolution de la prise en charge ont été évaluées dans ce groupe. Elles ont été définies en modifiant la part relative de chaque modalité de traitement dans les trajectoires des patients au cours du temps (cf. Tableau 55. Stratégies évaluées pour les patients de 18-44 ans, non diabétiques).

**Tableau 54. Stratégies évaluées pour les patients de 18-44 ans, non diabétiques**

Population : 18-44 non diabétiques	
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario*
<b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée au démarrage + privilégier un transfert <sup>92</sup> préparé vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPA afin de maintenir l'autonomie des patients non greffés.	<b>S'1</b> développement de la DPA non assistée seule, sans transfert préparé en HD autodialyse ou domicile
<b>Stratégie 2</b> : développement de la DPA non assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD domicile après 2 ans de DPA afin de maintenir l'autonomie des patients non greffés.	
<b>Stratégie 3</b> : développement de la DPCA non assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPCA afin de maintenir l'autonomie des patients non greffés	<b>S'2</b> développement de la DPCA non assistée sans transfert préparé en HD autodialyse ou domicile
<b>Stratégie 4</b> : développement de la DPCA non assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD domicile après 2 ans de DPCA afin de maintenir l'autonomie des patients non greffés	
<b>Stratégie 5</b> : développement de l'HD à domicile sur les 24 premiers mois de traitement pour les patients ayant une attente longue ou une contre-indication temporaire à la transplantation – pas de transfert préparé	
<b>Stratégie 6</b> : développement de HD quotidienne à domicile sur les 24 premiers mois de traitement pour les patients ayant une attente longue ou une contre-indication temporaire à la transplantation – pas de transfert préparé Le coût de l'HD quotidienne a été estimé sur la base d'un doublement du coût de traitement et du forfait autonomie, i.e. 80 % d'augmentation par rapport à l'HD domicile conventionnelle.	
<b>Stratégie 7</b> : stratégie conjointe – développement de la DP non assistée au	

<sup>92</sup> La notion de transfert doit être interprétée dans le sens d'un changement de technique préparé en fonction d'indicateurs liés à la qualité de l'épuration ou à un changement d'état de santé ou d'autonomie et non comme un changement systématique programmé.

Population : 18-44 non diabétiques	
démarrage et de l'HD à domicile dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD domicile)	
<b>Stratégie 8</b> : développement de la greffe, donneurs vivants	
<b>Stratégie 9</b> : développement de la greffe, donneurs décédés	
<b>Stratégie 10</b> : stratégie conjointe de développement de la greffe, donneurs vivants et donneurs décédés	

\* Des **analyses de sensibilité sur la mortalité** ont été conduites pour toutes les stratégies en substituant les taux de transition vers le décès du compartiment d'arrivée par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé à chaque intervalle de temps

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD en centre dans la répartition moyenne du temps passé était de 11,3 % dans les simulations fondées sur les pratiques observées. Dans toutes les stratégies simulées, cette part diminuait, jusqu'à 7,7 % dans les stratégies de développement de la greffe et jusqu'à 9 % dans la stratégie de développement conjoint de la DP non assistée et de l'HD domicile.

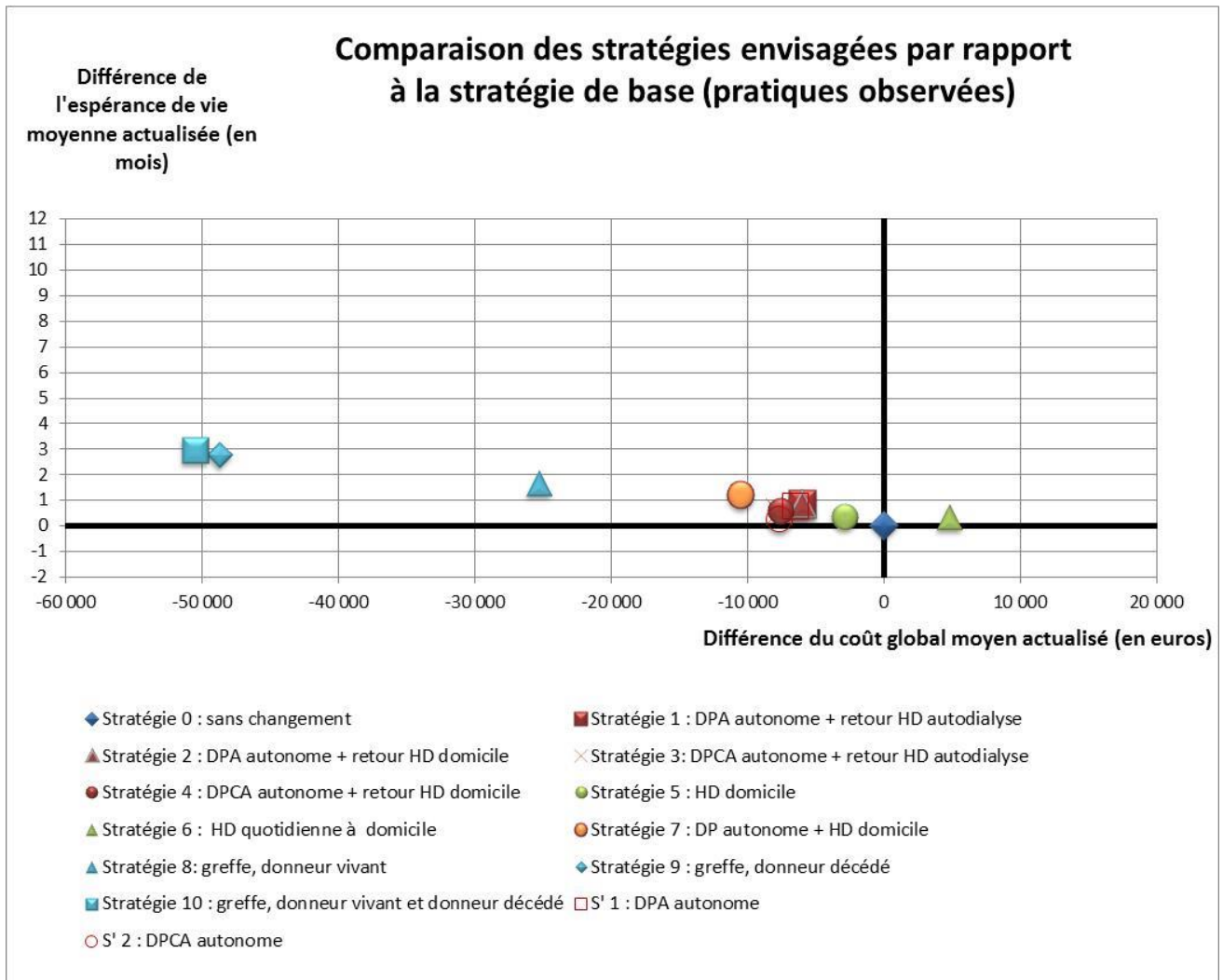
L'analyse de l'efficacité, comparant toutes les stratégies de façon simultanée, a mis en évidence une stratégie efficace par rapport aux autres des stratégies évaluées : la stratégie conjointe de développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés et vivants (stratégie 10, cf. figure 9). Cette stratégie correspondait à 1 023 patients transplantés à partir d'un donneur décédé et 107 à partir d'un donneur vivant (*versus* 874 et 99 respectivement dans les pratiques observées), pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois.

En dehors de la stratégie efficace, la comparaison en termes d'efficacité et de coût des différentes stratégies évaluées par rapport à la prise en charge actuelle a permis de mettre en évidence les résultats suivants.

L'espérance de vie moyenne tronquée à 180 mois variait de 126,4 mois à 128,9 mois *versus* 126,1 mois dans les pratiques observées (espérance de vie moyenne actualisée). Le différentiel d'espérance de vie sur la période variait ainsi de +0,3 mois à +2,8 mois par rapport à la stratégie actuelle (Figure 34).

Les stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées, à l'exception de celle relative au développement de l'HD quotidienne. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -48 689 € à -10 500 € en moyenne par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Figure 34. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients de 18-44 ans, non diabétiques



### 5.4.2 Patients âgés de 18 à 44 ans, diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait seulement 123 patients parmi les 9 609 patients incidents (1,3 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 38,9 ans.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 130,8 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées. Sur cette période, les patients passaient en moyenne 60 % de leur temps avec un greffon fonctionnel.

Le coût global moyen de prise en charge par patient sur cette période était de 586 632 euros.

Sept stratégies d'évolution ont été évaluées dans ce groupe. Elles ont été définies en modifiant la part relative de chaque modalité de traitement dans les trajectoires des patients au cours du temps (cf. Tableau 55. Stratégies évaluées pour les patients de 18-44 ans, diabétiques).

**Tableau 55. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 18-44 ans diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.**

Population : 18-44 diabétiques	
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario*
<b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPA afin de maintenir les patients non greffés dans une modalité de traitement autonome	<b>S'1</b> : développement de la DPA non assistée sans transfert préparé vers HD autodialyse
<b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA non assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPCA afin de maintenir les patients non greffés dans une modalité de traitement autonome	<b>S'2</b> : développement de la DPCA non assistée sans transfert préparé vers HD autodialyse
<b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en autodialyse sur les 60 premiers mois, sans transfert préparé, pour les patients en pont vers la transplantation ou ayant une contre-indication temporaire	
<b>Stratégie 4</b> : stratégie conjointe : développement de la DP non assistée au démarrage et de l'HD en autodialyse dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD autodialyse)	
<b>Stratégie 5</b> : développement de la transplantation, donneurs décédés	
<b>Stratégie 6</b> : développement de la transplantation, donneurs vivants	
<b>Stratégie 7</b> : stratégie conjointe : développement de la greffe, donneurs vivants et donneurs décédés	

\* Des **analyses de sensibilité sur la mortalité** ont été conduites pour toutes les stratégies en substituant les taux de transition vers le décès du compartiment d'arrivée par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé à chaque intervalle de temps

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD en centre dans la répartition moyenne du temps passé était de 23,4 % dans les simulations à partir des pratiques observées ; elle diminuait dans toutes les stratégies simulées, jusqu'à 15,7 % dans la stratégie 4 de développement conjoint de la DP non assistée et de l'HD en autodialyse.

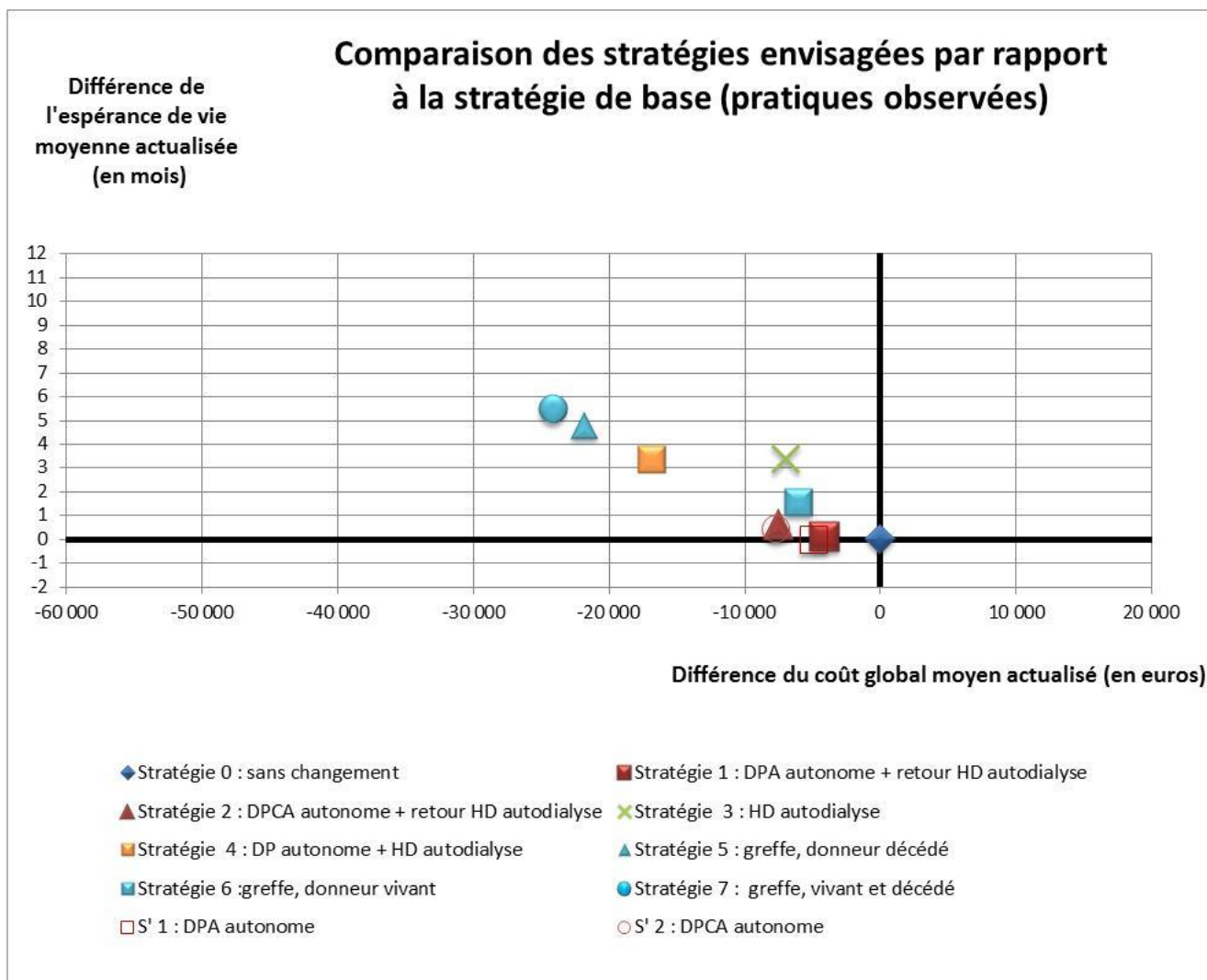
L'analyse de l'efficacité, comparant toutes les stratégies de façon simultanée, a mis en évidence une stratégie efficiente par rapport aux autres stratégies évaluées : la stratégie conjointe de développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés et vivants (stratégie 7, cf. figure 12). Cette stratégie correspondait à 829 patients transplantés à partir d'un donneur décédé et 40 à partir d'un donneur vivant (*versus* 730 et 13 respectivement dans les pratiques observées), pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois.

En dehors de la stratégie efficiente, la comparaison en termes d'efficacité et de coût des différentes stratégies évaluées par rapport à la prise en charge actuelle a permis de mettre en évidence les résultats suivants.

L'espérance de vie moyenne tronquée à 180 mois variait de 104,8 mois à 108,9 mois *versus* 104,2 mois dans les pratiques observées (espérance de vie moyenne actualisée). Le différentiel d'espérance de vie sur la période variait ainsi de +0,1 mois à +4,8 mois par rapport à la stratégie actuelle (Figure 35).

Les stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées. La variation de coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de de -4 096 à -21 776 € en moyenne par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Figure 35. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients de 18-44 ans diabétiques



### 5.4.3 Patients âgés de 45 à 69 ans, non diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 193 patients parmi les 9 609 patients incidents (22,8 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ce groupe d'âge était de 59,2 ans.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 110,4 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées. Sur cette période, les patients passaient en moyenne 51,6 % de leur temps avec un greffon fonctionnel.

Le coût global moyen de prise en charge par patient sur cette période était de 406 854 euros.

Huit stratégies d'évolution ont été évaluées dans ce groupe. Elles ont été définies en modifiant la part relative de chaque modalité de traitement dans les trajectoires des patients au cours du temps (cf. Tableau 56. Stratégies évaluées pour les patients de 45-69 ans, non diabétiques).

**Tableau 56. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 45-69 ans non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.**

Population : 45-69 non diabétiques	
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario*
<b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPA afin de maintenir les patients dans une modalité de traitement autonome	<b>S'1</b> : développement de la DPA non assistée sans transfert préparé vers l'HD autodialyse
<b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA autonome au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD autodialyse après 2 ans de DPCA afin de maintenir les patients dans une modalité de traitement autonome	<b>S'2</b> : développement de la DPCA non assistée sans transfert préparé vers l'HD autodialyse
<b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en autodialyse + privilégier un transfert préparé vers l'HD UDM après 5 ans de HD autodialyse afin de privilégier une modalité de proximité et éviter le repli en centre	<b>S'3</b> : développement de l'HD en autodialyse sans transfert préparé vers l'HD UDM
<b>Stratégie 4</b> : stratégie conjointe : développement de la DP non assistée au démarrage et de l'HD en autodialyse dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD autodialyse)	
<b>Stratégie 5</b> : développement de la greffe, donneurs décédés	
<b>Stratégie 6</b> : développement de la greffe, donneurs vivants	
<b>Stratégie 7</b> : stratégie conjointe - développement de la greffe, donneurs vivants et donneurs décédés	
<b>Stratégie 8</b> : développement de l'UDM au démarrage (sans passage initial par l'HD Centre)	

\* Des analyses de sensibilité sur la mortalité ont été conduites pour toutes les stratégies en substituant les taux de transition vers le décès du compartiment d'arrivée par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé à chaque intervalle de temps

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD en centre dans la répartition moyenne du temps passé était de 23,6 % dans les simulations fondées sur les pratiques observées ; elle diminuait dans toutes les stratégies simulées, jusqu'à 15 % dans la stratégie 4 de développement conjoint de la DP non assistée et de l'HD en autodialyse.

L'analyse de l'efficacité, comparant toutes les stratégies de façon simultanée, a mis en évidence deux stratégies situées sur la frontière d'efficacité par rapport aux autres stratégies évaluées (cf. figure 19).

- la stratégie conjointe de développement de la transplantation à partir de donneurs décédés et vivants (stratégie 7) qui correspondait à 558 patients transplantés à partir d'un donneur décédé et 55 patients transplantés à partir d'un donneur vivant (*versus* 475 et 20 respectivement dans les pratiques observées) pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois;



- la stratégie conjointe de développement de la dialyse péritonéale non assistée (DPA et DPCA) et de l'autodialyse (stratégie 4), qui correspondait à un temps moyen passé en HD centre de 15 % (*versus* 24 % dans les pratiques observées) pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois.

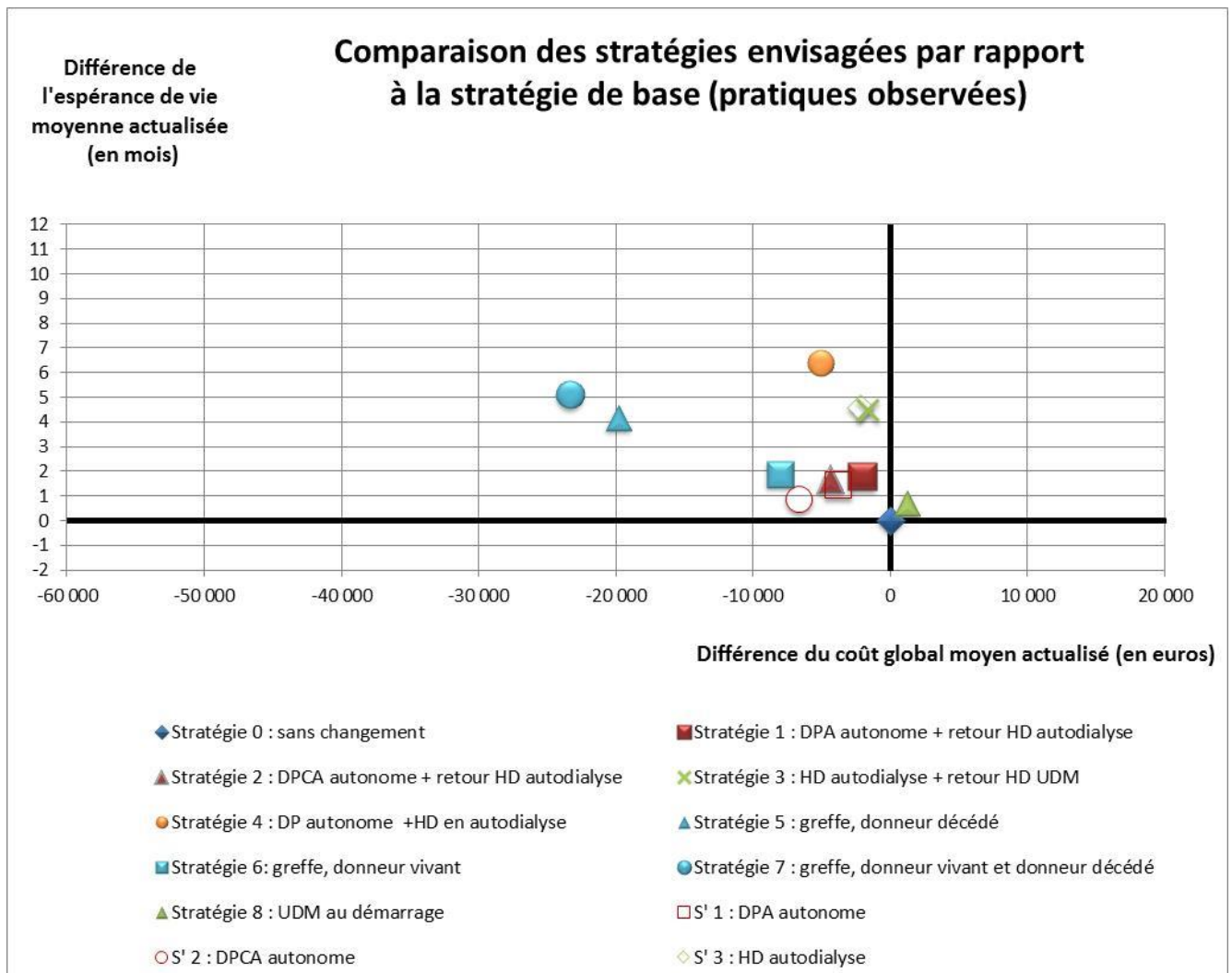
En dehors des stratégies efficaces, la comparaison en termes d'efficacité et de coût des différentes stratégies évaluées par rapport à la prise en charge actuelle a permis de mettre en évidence les résultats suivants.

- L'espérance de vie moyenne tronquée à 180 mois variait de 90,9 mois à 93,7 mois *versus* 89,2 mois dans les pratiques observées (espérance de vie moyenne actualisée). Le différentiel d'espérance de vie sur la période variait ainsi de +1,7 mois à +4,5 mois par rapport à la actuelle (

Figure 36).

Les stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées à l'exception de celle relative au développement de l'UDM au démarrage. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de de -19 768 € à + 1 225 € en moyenne par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Figure 36. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients de 45-69 ans, non diabétiques



#### 5.4.4 Patients âgés de 45 à 69 ans, diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 1 565 patients parmi les 9 609 patients incidents (16,3 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ce groupe d'âge était de 62,2 ans.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 75,2 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées. Sur cette période, les patients passaient en moyenne 23,6 % de leur temps avec un greffon fonctionnel.

Le coût global moyen de prise en charge sur cette période était de 457 265 euros.

Sept stratégies d'évolution ont été évaluées dans ce groupe. Elles ont été définies en modifiant la part relative de chaque modalité de traitement dans les trajectoires des patients au cours du temps (cf. Tableau 57 Stratégies évaluées pour les patients de 45-69 ans, diabétiques).

**Tableau 57. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 45-69 ans diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.**

Population : 45-69 diabétiques	
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario
<b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA non assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD UDM après 2 ans de DPA afin d'éviter le repli en centre	<b>S'1</b> : développement de la DPA non assistée sans transfert préparé vers l'HD UDM
<b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA autonome au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD UDM après 2 ans de DPCA afin de d'éviter le repli en centre	<b>S'2</b> : développement de la DPCA non assistée sans transfert préparé vers l'HD UDM
<b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en UDM dans les trajectoires des patients + privilégier un transfert préparé vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM	<b>S'3</b> : développement de l'HD en UDM sans transfert préparé vers l'HD Centre
<b>Stratégie 4</b> : développer l'HD en UDM de proximité dans les trajectoires des patients + privilégier un transfert préparé vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM. l'UDM de proximité se différenciaient de de l'UDM uniquement par les coûts de transport simulés à la baisse (équivalent aux coûts moyens de transport observés pour l'autodialyse)	<b>S'4</b> : développement de l'HD en UDM de proximité sans transfert préparé vers l'HD Centre
<b>Stratégie 5</b> : stratégie conjointe - développement de la DP non assistée au démarrage et de l'HD en UDM dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD UDM)	
<b>Stratégie 6</b> : stratégie conjointe - développement de la DP non assistée au démarrage et de l'HD en UDM de proximité dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD UDM de proximité) l'UDM de proximité se différenciaient de de l'UDM uniquement par les coûts de transport simulés à la baisse (équivalent aux coûts moyens de transport observés pour l'autodialyse)	

Population : 45-69 diabétiques

Stratégie 7 : développement de la greffe, donneurs décédés

\* Des analyses de sensibilité sur la mortalité ont été conduites pour toutes les stratégies en substituant les taux de transition vers le décès du compartiment d'arrivée par les taux de transition du compartiment HD centre vers décès observé à chaque intervalle de temps

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD centre sur la répartition moyenne du temps passé était de 48,2 % dans les simulations fondées sur les pratiques observées ; elle diminuait dans toutes les stratégies, jusqu'à 36 % dans les stratégies 5 et 6 relatives au développement conjoint de la DP non assistée au démarrage et de l'UDM (ou UDM de proximité).

L'analyse de l'efficacité, comparant toutes les stratégies de façon simultanée, a mis en évidence deux stratégies situées sur la frontière d'efficacité par rapport aux autres stratégies évaluées (cf. figure 25).

- le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés (stratégie 7), qui correspondait à 239 greffes (*versus* 186 dans les pratiques observées) pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois ;
- la stratégie conjointe de développement de la dialyse péritonéale non assistée (DPA et DPCA) au démarrage et de l'UDM de proximité (stratégie 6) qui correspondait à 36 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 48 % dans les pratiques observées) pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois.

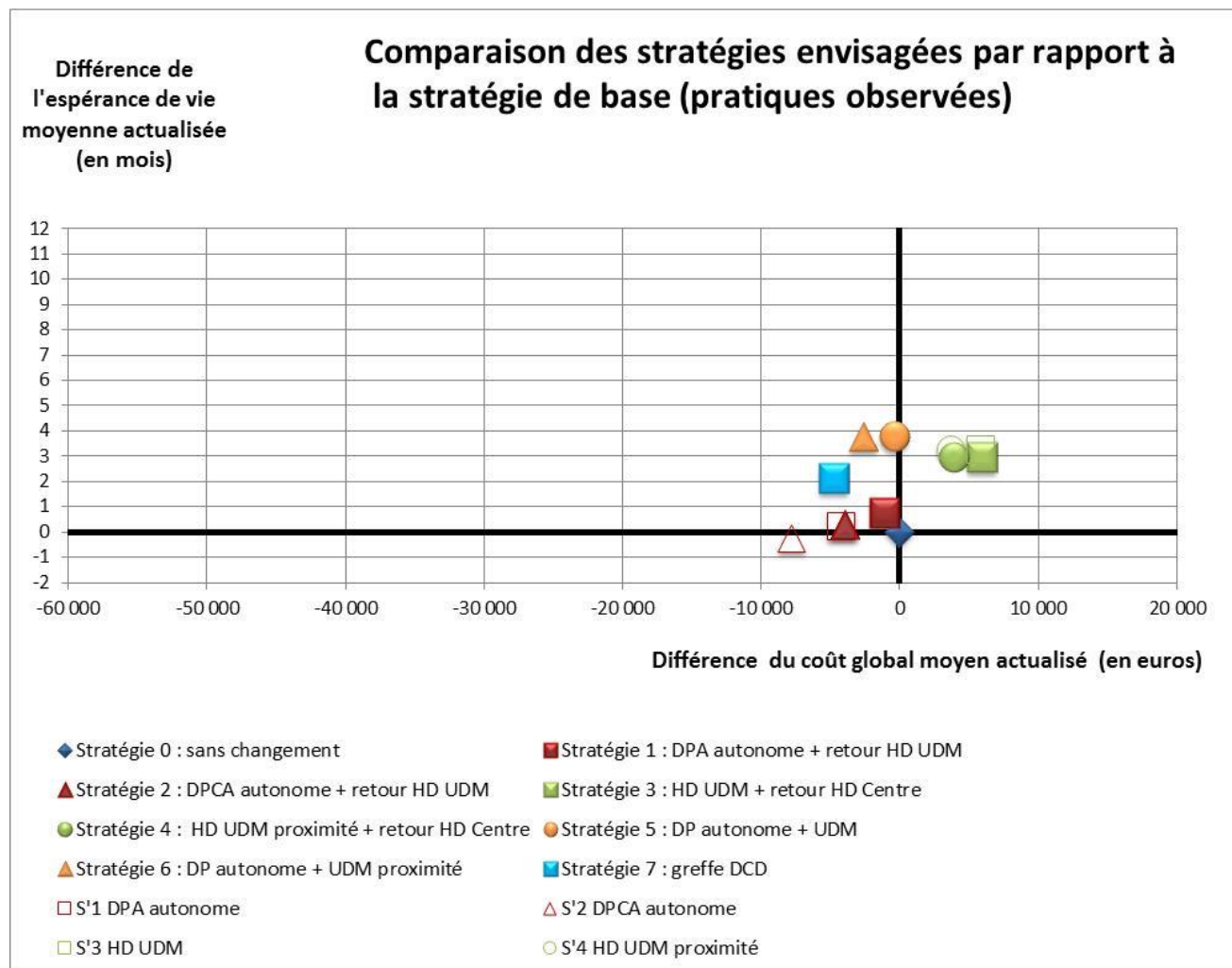
L'analyse de sensibilité en scénario montrait que la stratégie relative au développement de la DPCA non assistée au démarrage (13 % des patients *versus* 4 %), sans transfert préparé en HD UDM après de 2 ans de traitement était également située sur la frontière d'efficacité (stratégie S2').

En dehors des stratégies efficaces, la comparaison en termes d'efficacité et de coût des différentes stratégies évaluées par rapport à la prise en charge actuelle a permis de mettre en évidence les résultats suivants.

L'espérance de vie moyenne tronquée à 180 mois variait de 64,2 mois à 67,6 mois *versus* 63,9 mois dans les pratiques observées (espérance de vie moyenne actualisée). Le différentiel d'espérance de vie sur la période variait ainsi de +0,3 mois à +3,8 mois par rapport à la stratégie actuelle (Figure 37).

Les stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées à l'exception de celles relative au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois allait de -3 944 € à +5 887 € en moyenne par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

Figure 38. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients 45-69 ans, diabétiques



### 5.4.5 Patients âgés de 70 ans et plus, non diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 809 patients parmi les 9 609 adultes incidents (c'est-à-dire 29 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 80,5 ans.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 45,2 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées. Sur cette période, les patients passaient en moyenne 62,3 % de leur temps en hémodialyse en centre.

Le coût global moyen de prise en charge sur cette période était de 283 801 euros.

Sept stratégies d'évolution ont été évaluées dans ce groupe. Elles ont été définies en modifiant la part relative de chaque modalité de traitement dans les trajectoires des patients au cours du temps (cf. Tableau 58, Stratégies évaluées pour les patients de 70 ans et plus, non diabétiques).

**Tableau 58. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de plus de 70 ans non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.**

Population : 70 ou plus, non diabétiques	
STRATEGIES EVALUEES	Analyses de sensibilité en scénario*
<b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD UDM après 2 ans de DPA afin d'éviter un repli en HD centre	<b>S'1</b> : développement de la DPA assistée sans transfert préparé vers l'HD UDM
<b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD UDM après 2 ans de DPCA afin d'éviter un repli en HD centre	<b>S'2</b> : développement de la DPCA assistée sans transfert préparé vers l'HD UDM
<b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en UDM dans les trajectoires des patients + privilégier un transfert préparé vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM	<b>S'3</b> : développement de l'HD en UDM sans transfert préparé vers l'HD Centre
<b>Stratégie 4</b> : développer l'HD en UDM de proximité dans les trajectoires des patients + privilégier un transfert préparé vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM de proximité Les stratégies relatives au développement de l'UDM de proximité se différencient de celles relatives au développement de l'UDM uniquement par les coûts de transport simulés à la baisse l'UDM de proximité se différencient de de l'UDM uniquement par les coûts de transport simulés à la baisse (équivalent aux coûts moyens de transport observés pour l'autodialyse)	<b>S'4</b> : développer l'HD en UDM de proximité sans transfert préparé vers l'HD Centre
<b>Stratégie 5</b> : stratégie conjointe - développement de la DP assistée au démarrage et de l'HD en UDM dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD UDM)	
<b>Stratégie 6</b> : stratégie conjointe - développement de la DP assistée au démarrage et de l'HD en UDM de proximité dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD UDM de	

Population : 70 ou plus, non diabétiques	
proximité) l'UDM de proximité se différenciaient de de l'UDM uniquement par les coûts de transport simulés à la baisse (équivalent aux coûts moyens de transport observés pour l'autodialyse)	
<b>Stratégie 7</b> : développement de la greffe, donneurs décédés « old-for-old » <sup>93</sup> avec machine à perfusion Coût supplémentaire lié à l'utilisation d'une machine à perfusion estimé à 1 700 € pour chaque transition vers transplantation. Pas de modification des taux de transition du compartiment « greffe donneurs décédés » (durée de vie équivalente du greffon).	

\* Des **analyses de sensibilité sur la mortalité** ont été conduites pour toutes les stratégies en substituant les taux de transition vers le décès du compartiment d'arrivée par les taux de transition du compartiment DPCA assistée vers décès observé à chaque intervalle de temps.

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD en centre sur la répartition moyenne du temps passé était de 62,3 % dans les simulations fondées sur les données observées ; elle diminuait dans toutes les stratégies, jusqu'à un minimum de 39,9 % dans les stratégies 5-6 : stratégies de développement conjoint de la DP assistée au démarrage et de l'UDM (ou UDM de proximité).

L'analyse de l'efficacité, comparant toutes les stratégies de façon simultanée, a mis en évidence une stratégie efficace par rapport aux autres stratégies évaluées : la stratégie de développement de la transplantation à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion (stratégie 7, cf. figure 25). Cette stratégie correspondait à 134 greffes *versus* 16 dans les pratiques observées pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois.

L'analyse de sensibilité en scénario montrait que la stratégie relative au développement de la DPCA assistée au démarrage (25 % des patients *versus* 10 %), sans transfert préparé en HD UDM après de 2 ans de traitement (stratégie S2') était également une stratégie efficace.

En dehors des stratégies efficaces, la comparaison en terme d'efficacité et de coût des différentes stratégies évaluées par rapport à la prise en charge actuelle a permis de mettre en évidence les résultats suivants.

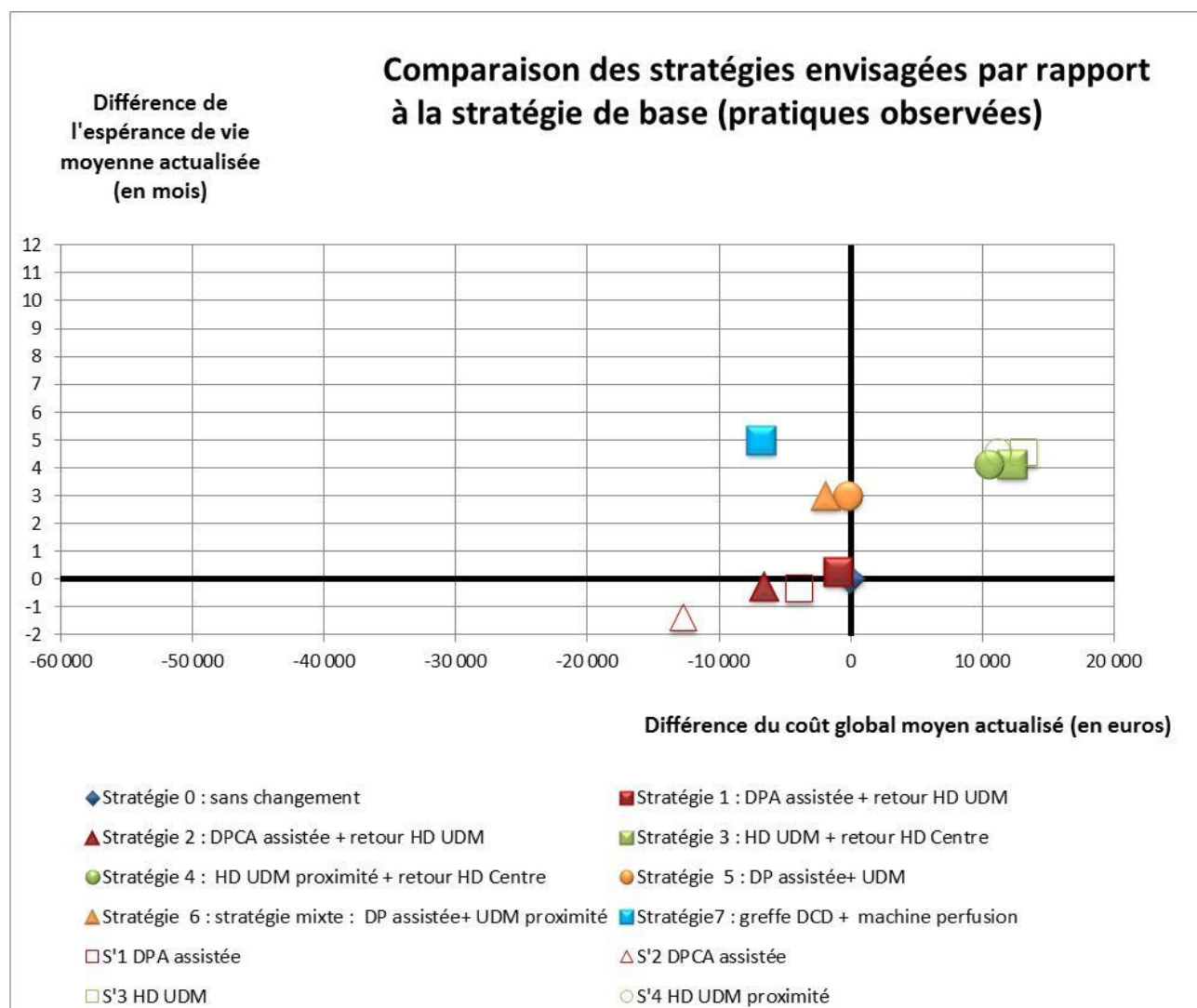
L'espérance de vie moyenne tronquée à 180 mois variait de 40,3 mois à 44,6 mois *versus* 40,5 dans les pratiques observées (espérance de vie moyenne actualisée). Le différentiel d'espérance de vie sur la période variait ainsi de +0,2 mois à +4,1 mois par rapport à la stratégie actuelle (Figure 39).

Les stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées à l'exception de celles relatives au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients. La variation du coût attendue sur une prise en charge à l'horizon de 180 mois dans ces stratégies alternatives allait de -6 536 € à +12 293 € en moyenne par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).

<sup>93</sup> Pour rappel, *old for old* désigne une stratégie de répartition des greffons qui privilégie l'attribution des greffons en fonction de l'âge du donneur et du receveur. Les receveurs les plus âgés ont donc accès à la greffe à partir de greffon prélevé sur des donneurs décédés à un âge proche du leur.



Figure 39. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients de 70 ans et plus, non diabétiques



#### 5.4.6 Patients âgés de 70 ans et plus, diabétiques

Selon les données du registre REIN, ce groupe de patients représentait 2 092 patients parmi les 9 609 patients incidents adultes (21,8 %) ayant démarré un traitement de suppléance (données du registre REIN pour l'année 2011). L'âge médian de ces patients dans cette tranche d'âge était de 78,1 ans.

Dans ce groupe de patients, l'espérance de vie restreinte sur 180 mois de la cohorte de 1000 patients était de 39,6 mois pour la stratégie de base qui correspondait aux simulations fondées sur les pratiques observées. Sur cette période, les patients passaient en moyenne 71,4 % de leur temps en hémodialyse en centre.

Le coût global moyen de prise en charge sur cette période était de 291 684 euros.

Sept stratégies d'évolution ont été évaluées dans ce groupe. Elles ont été définies en modifiant la part relative de chaque modalité de traitement dans les trajectoires des patients au cours du temps (cf. Tableau 59. Stratégies évaluées pour les patients de 70 ans et plus, diabétiques).

**Tableau 59. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions**

Population : 70 ans et plus, diabétiques	
STRATEGIES EVALUEES	Analyse de sensibilité en scénario
<b>Stratégie 1</b> : développement de la DPA assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD UDM après 2 ans de DPA afin d'éviter un repli en HD centre	<b>S'1</b> : développement de la DPA assistée sans transfert préparé vers l'HD UDM
<b>Stratégie 2</b> : développement de la DPCA assistée au démarrage + privilégier un transfert préparé vers l'HD UDM après 2 ans de DPCA afin d'éviter un repli en HD centre	<b>S'2</b> : développement de la DPCA assistée sans transfert préparé vers l'HD UDM
<b>Stratégie 3</b> : développer l'HD en UDM dans les trajectoires des patients + privilégier un transfert préparé vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM	<b>S'3</b> : développement de l'HD en UDM sans transfert préparé vers l'HD Centre
<b>Stratégie 4</b> : développer l'HD en UDM de proximité dans les trajectoires des patients + privilégier un transfert vers l'HD Centre après 5 ans de HD UDM de proximité l'UDM de proximité se différenciaient de de l'UDM uniquement par les coûts de transport simulés à la baisse (équivalent aux coûts moyens de transport observés pour l'autodialyse)	<b>S'4</b> : développement de l'HD en UDM de proximité sans transfert préparé vers l'HD Centre
<b>Stratégie 5</b> : stratégie conjointe : développement de la DP assistée au démarrage et de l'HD en UDM dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD UDM)	
<b>Stratégie 6</b> : stratégie conjointe : développement de la DP assistée au démarrage et de l'HD en UDM de proximité dans les trajectoires des patients (augmentation de la DPA et de la DPCA au démarrage et multiplication des taux de transition vers le compartiment HD UDM de proximité) l'UDM de proximité se différenciaient de de l'UDM uniquement par les coûts de transport simulés à la baisse (équivalent aux coûts moyens de transport observés pour l'autodialyse)	
<b>Stratégie 7</b> : développement de la greffe, donneurs décédés « old-for-old » avec machine à perfusion Coût supplémentaire lié à l'utilisation d'une machine à perfusion estimé à 1700 € pour chaque transition vers transplantation. Pas de modification des taux de transition du compartiment « greffe donneurs décédés » (durée de vie équivalente du greffon).	

\* Des **analyses de sensibilité sur la mortalité** ont été conduites pour toutes les stratégies en substituant les taux de transition vers le décès du compartiment d'arrivée par les taux de transition du compartiment DPCA assistée vers décès observé à chaque intervalle de temps

Dans ce groupe d'âge, la part de l'HD centre sur la répartition moyenne du temps passé était de 71,4 % dans les pratiques observées ; elle diminuait dans toutes les stratégies simulées jusqu'à un

minimum de 50,9 % dans les stratégies 5 et 6 relatives au développement conjoint de la DP assistée au démarrage et de l'UDM (et UDM de proximité).

L'analyse de l'efficacité, comparant toutes les stratégies de façon simultanée, a mis en évidence trois stratégies situées sur la frontière d'efficacité par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées (cf. figure 30) :

- la stratégie conjointe de développement de la dialyse péritonéale assistée (DPA et DPCA) au démarrage et de l'UDM de proximité (stratégie 6), qui correspondait à 51 % du temps moyen passé en HD centre *versus* 71 % dans les pratiques observées pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois ;
- la stratégie de développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion (stratégie 7), qui correspondait à 52 greffes *versus* 5 dans les pratiques observées pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois ;
- la stratégie relative au développement de l'UDM de proximité avec transfert préparé en HD centre au-delà de 5 ans (stratégie 4), qui correspondait à 21 % du temps moyen passé en UDM *versus* 9 % dans les pratiques observées pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois.

Les analyses de sensibilité en scénario ont mis en évidence trois autres stratégies efficaces :

- la stratégie relative au développement de la DPCA assistée au démarrage (26 % des patients *versus* 10 %), sans transfert préparé en HD UDM après de 2 ans de traitement (stratégie S2') qui avait pour conséquence d'aboutir à 61 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 71 % dans les pratiques observées) pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois ;
- la stratégie concernant le développement de l'UDM sans transfert préparé en HD centre simulé après 5 ans de traitement (stratégie S3') qui avait pour conséquence d'aboutir à 59 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 71 % dans les pratiques observées) pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois ;
- la stratégie concernant le développement de l'UDM de proximité sans transfert anticiper en HD centre après 5 ans de traitement (stratégie S4') qui avait pour conséquence d'aboutir à 59 % du temps moyen passé en HD centre (*versus* 71 % dans les pratiques observées) pour une cohorte de 1000 patients incidents suivis pendant 180 mois.

En dehors des stratégies efficaces, la comparaison en terme d'efficacité et de coût des différentes stratégies évaluées par rapport à la prise en charge actuelle a permis de mettre en évidence les résultats suivants.

L'espérance de vie moyenne tronquée à 180 mois variait de 36,1 mois à 38,6 mois *versus* 36,1 mois dans les pratiques observées (espérance de vie moyenne actualisée). Le différentiel d'espérance de vie sur la période variait ainsi de +0 mois à +2,5 mois par rapport à la stratégie actuelle (Figure 40).

Les stratégies évaluées apparaissaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées à l'exception de celles relatives au développement de l'UDM et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients. La variation du coût attendue sur une prise en charge à un horizon de 180 mois dans ces stratégies allait de -8 237 à +7 044 € en moyenne par patient par rapport à la stratégie actuelle (données actualisées).



## 6. Discussion des résultats de l'évaluation médico-économique et conclusions

Le modèle sur lequel se fonde cette évaluation économique a pour principal intérêt d'évaluer, selon un critère d'efficacité, des évolutions dans la prise en charge des patients atteints d'IRCT en France, de discuter de leur faisabilité ainsi que des implications de leur mise en œuvre.

Les stratégies de prise en charge évaluées ont été définies de manière à simuler des changements dans les trajectoires d'un certain volume de patients au cours du temps, dans dix modalités de traitements.

Les modifications de prises en charge simulées sont fondées sur l'hypothèse de l'existence d'un réservoir de patients pris en charge initialement en hémodialyse en centre qui pourraient démarrer leur traitement de suppléance dans d'autres modalités de traitements, ainsi que sur l'hypothèse de transposabilité partielle entre certaines modalités de traitement au sein d'un même groupe de patients (existence d'un pool de patients dont les caractéristiques sont compatibles avec une autre modalité de traitement).

Ces stratégies alternatives ont été définies par groupes d'âge et de statut diabétique afin de tenir compte de la faisabilité de l'évolution des prises en charge, sans entraîner de perte de chance à priori.

L'approche développée sur laquelle repose cette évaluation vise à clarifier les conséquences de modifications de la part relative des différentes modalités de traitement au cours du temps au sein d'une cohorte, et non à simuler l'impact d'une trajectoire à l'échelon individuel ou la réorientation complète d'une cohorte de patients vers une modalité de prise en charge.

Sur ces fondements, les résultats de l'évaluation sont interprétés dans une perspective d'aide à la décision publique au regard de **l'identification d'axes d'évolutions de la prise en charge actuelle des patients en IRCT, d'éléments de discussion sur l'impact des stratégies simulées et sur leur faisabilité.**

## 6.1 Axes d'évolutions de la prise en charge actuelle des patients en IRCT

### *Axes de développement de la transplantation rénale*

Les stratégies relatives au développement de la transplantation rénale ont été construites à partir de simulations fondées sur des données observées (stratégie de base).

Chez les patients jeunes (18-44 ans non diabétiques et diabétiques) et chez les 45-69 ans non diabétiques, un développement conjoint de la greffe à partir de donneurs vivants et de donneurs décédés a été envisagé.

Chez les patients de 45-69 ans diabétiques et les plus de 70 ans (non diabétiques et diabétiques), seul le développement « volontariste » de la transplantation à partir de donneurs décédés a été envisagé. Dans ces sous-groupes, la part de la transplantation à partir de donneurs vivants était très faible dans les simulations fondées sur les données observées ; la stratégie vivant à simuler le développement de la transplantation à partir de donneurs vivants n'a donc pas été retenue dans les scénarios simulés.

L'ensemble des résultats de telles stratégies 'action' ont été résumés dans la figure 41.

Dans ce schéma sont rappelés l'espérance de vie moyenne, le coût global moyen et le coût par moyen mois actualisés de la stratégie de base pour la population ciblée et l'écart obtenu avec la stratégie alternative évaluée (les résultats doivent être interprétés pour un patient). Pour chaque population ciblée, un rappel des points importants de la discussion a été ajouté (« points critiques »).

Chez l'ensemble des 18-44 ans et chez les patients âgés de 45 à 69 ans non diabétiques, les stratégies de développement conjoint de la transplantation rénale à partir de donneurs vivants et de donneurs décédés sont efficaces par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées.

Dans les autres sous-groupes, les stratégies de développement de la transplantation à partir de donneurs décédés sont efficaces par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées.

Sur les fondements des résultats de l'évaluation plusieurs axes de développement de la transplantation rénale peuvent être envisagés. Ils ont été discutés au regard de l'impact clinique et économique des stratégies évaluées et en termes de faisabilité.

Figure 41. Axes de développement de la transplantation rénale (résultats moyens pour un patient)

Action	Points critiques	Stratégie de BASE en moyenne sur 180 mois			Stratégie SIMULEE comparée avec la stratégie de base			
		espérance de vie actualisée (mois)	cout global actualisé (€)	cout par mois actualisé (€)	delta espérance de vie actualisée (mois)	delta cout global actualisé (€)	delta cout par mois actualisé (€)	
Possibilité de donneur vivant ?	Développer simultanément les greffes à partir de donneurs vivants et de donneurs décédés	18-44 non diabétique : tenir compte de la perspective d'un retransplantation	126	345 104	2 736	<b>2,9</b>	<b>-50 508</b>	<b>-454</b>
		18-44 diabétique : envisager une double greffe rein-pancréas	104	463 893	4 453	<b>5,4</b>	<b>-24 178</b>	<b>-441</b>
		45-69 non diabétique : gérer la concurrence avec les jeunes	89	331 543	3 715	<b>5,4</b>	<b>-24 178</b>	<b>-449</b>
	Développer les greffes donneurs décédés	45-69 diabétique : gérer la concurrence avec les jeunes	64	379 716	5 946	<b>2,1</b>	<b>-4 757</b>	<b>-258</b>
		Plus de 70 ans, non diabétique : établir une allocation de greffons avec appariement sur l'âge, utilisation des machines à perfusion	40	243 995	6 028	<b>5,0</b>	<b>-6 788</b>	<b>-813</b>
		Plus de 70 ans, diabétique : établir une allocation de greffons avec appariement sur l'âge, utilisation des machines à perfusion	36	254 502	7 045	<b>1,8</b>	<b>-1 819</b>	<b>-386</b>

## A. La transplantation rénale, stratégie efficiente pour tous les groupes de patients

### A1. Favoriser une stratégie conjointe de développement simultané de la transplantation à partir de donneurs décédés et vivants

#### *Définition des stratégies*

Selon les recommandations de la HAS publiées en 2012, les deux principales possibilités de développement de la transplantation rénale concernaient celles visant à augmenter les prélèvements sur donneurs décédés et celles visant à augmenter les prélèvements sur donneurs vivants qui doivent être mises en œuvre de façon parallèle (3). Dans tous les sous-groupes de patients, des stratégies de développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés ont été simulées. Le développement important de la transplantation rénale à partir de donneurs vivants a été envisagée chez les jeunes (18-44 ans) quel que soit leur statut diabétique et chez les 45-69 ans non diabétiques.

#### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies simulées*

**Pour l'ensemble des 18-44 ans et pour les 45-69 ans non diabétiques, la stratégie fondée sur le développement simultané de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés et vivants était efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées.**

La cible simulée en termes de donneurs décédés et vivants variait selon les groupes d'âge.

Pour les 18-44 ans non diabétiques, selon les prédictions basées sur les données observées, sur 1 000 patients, 874 greffes à partir de donneurs décédés et 99 greffes à partir de donneurs vivants étaient constatées sur les 15 premières années ; la cible simulée était de 132 transplantations à partir de donneurs vivants (+ 31 %) et de 1001 transplantations à partir de donneurs décédés (+ 3 %), soit au total 83 % du temps passé sur cette période avec un greffon fonctionnel *versus* 70 %. Les patients âgés de 18 à 44 ans non diabétiques ont actuellement un accès privilégié à la greffe mais qui pourrait être encore amélioré. En volume, selon les données REIN, ce groupe représente 8,6 % des patients incidents, une année donnée.

Pour les 18-44 ans diabétiques, selon les prédictions basées sur les données observées, sur 1 000 patients, 730 greffes à partir de donneurs décédés et 13 greffes à partir de donneurs vivants étaient constatées sur les 15 premières années ; la cible simulée était de 40 transplantations à partir de donneurs vivants (+ 200 %) et de 829 transplantations à partir de donneurs décédés (+14 %), soit au total 70 % du temps passé sur cette période avec un greffon fonctionnel *versus* 60 %. En volume, ce groupe représente seulement 1,3 % des patients incidents, une année donnée (données REIN).

Pour les 45-69 ans non diabétiques, selon les prédictions basées sur les données observées, sur 1 000 patients, 475 greffes à partir de donneurs décédés et 20 greffes à partir de donneurs vivants étaient constatées sur les 15 premières années ; la cible simulée était de 55 transplantations à partir de donneurs vivants (+ 175 %) et de 558 transplantations à partir de donneurs décédés (+17 %), soit au total 61 % du temps passé sur cette période avec un greffon fonctionnel, *versus* 52 %. A noter qu'en volume, ce groupe représente 23 % des patients incidents, une année donnée (données REIN).

#### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

La DGOS a élaboré des cibles régionales permettant d'atteindre 48.5 % de patients vivants avec un greffon fonctionnel d'ici 2018 (22). Cela implique le développement de toutes les greffes dont celles à partir de vivants. Concernant le don de vivant, l'objectif national est de 600 greffes en 2016 et 750 en 2018. Le nombre de greffes à partir de donneurs décédés doit également progresser pour atteindre les objectifs nationaux.



La stratégie conjointe de développement de la transplantation rénale, conforme aux objectifs du Plan greffe se heurte à la pénurie de greffons au regard des besoins, avec un nombre croissant de patients inscrits sur la liste nationale d'attente<sup>94</sup>.

La montée en charge de la transplantation rénale à partir de donneurs vivants est encore insuffisante. En 2012, les greffons à partir de donneurs vivants représentaient 11.7 % de l'ensemble des donneurs (soit 357 sur 3044 greffes<sup>95</sup>). Par rapport à l'activité constatée dans d'autres pays, on peut considérer qu'il existe une marge de manœuvre. Par exemple, le cas des Pays-Bas où les donneurs vivants représentent 52 % des greffes ou 38 % au Royaume-Uni (38). Les recommandations de la HAS relatives à « *l'analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale en France* » publiées en 2012 précisent les conditions sous lesquelles le recours aux donneurs vivants peut être développé (3).

L'augmentation de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés se heurte à la pénurie de greffons. Selon les recommandations de la HAS, 3 axes de développement doivent être envisagés conjointement dans une stratégie visant à augmenter les prélèvements sur donneurs décédés : améliorer le recensement, diminuer le taux de refus, élargir le pool de donneurs potentiels en augmentant le recours aux donneurs à critères élargis et en développant les prélèvements sur donneurs décédés par arrêt cardiaque et, dans un futur proche<sup>96</sup>, sur les personnes hospitalisées pour lesquelles une décision d'arrêt des traitements est prise en raison de leur pronostic (classe III de la classification de Maastricht) (3). Les recommandations précisent en outre qu'une attention constante doit être portée à l'amélioration de la qualité des greffons afin de favoriser un allongement de leur survie.

Dans certains pays européens, la transplantation rénale est la modalité de traitement prépondérante des patients en IRCT. Ainsi en Norvège, la part de la greffe est de 72 % de l'ensemble des patients en IRCT<sup>97</sup>. Elle est de 85 % chez les 20-44 ans, 80 % chez les 45-64 ans, 69 % chez les 65-74 ans et 37 % chez les patients de plus de 70 ans (38).

Le modèle n'intégrant pas simultanément l'ensemble de la cohorte de patients traités pour IRCT, il ne permet pas de simuler l'impact du développement de la transplantation rénale ciblé dans un groupe de patients sur les autres sous-populations. En condition réelle, la mise en œuvre de stratégies de développement de la transplantation est conditionnée par le nombre de greffons disponibles. La concurrence de ces sous-populations face à une pénurie d'organes et donc pour l'accès aux greffons disponibles n'étant pas intégrée dans le modèle, elle n'est pas prise en compte dans les résultats.

De même, les simulations effectuées portaient sur une cohorte de patients incidents. Dans la pratique réelle, ces patients sont en concurrence avec les patients prévalents déjà inscrits ou en cours d'inscription.

La transplantation rénale est le résultat final d'un processus qui comporte plusieurs étapes :

- le patient et sa famille doivent être informés sur les possibilités de greffe à partir de donneur vivant ou donneur cadavérique ;
- le patient doit être identifié par son médecin comme pouvant bénéficier d'une greffe rénale et être adressé à un centre de transplantation
- le patient doit être volontaire pour être transplanté ;
- la mise en place du bilan pré-transplantation doit être organisée avec le centre de greffe référent ;
- et enfin, le patient doit être inscrit sur liste d'attente.

---

<sup>94</sup> D'après le rapport médical et scientifique du prélèvement et de la greffe en France, Agence de la Biomédecine, 2012 (166) tableau R12.

<sup>95</sup> D'après le rapport médical et scientifique du prélèvement et de la greffe en France, Agence de la Biomédecine, 2012 (166) tableau R2.

<sup>96</sup> Un groupe de travail est actuellement en cours de composition à l'Agence de la Biomédecine [http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/qt\\_maastricht3.pdf](http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/qt_maastricht3.pdf)

<sup>97</sup> Il faut préciser que ce chiffre a été atteint, car la transplantation à partir de donneur vivant est largement privilégiée ; un receveur n'est susceptible de recevoir un greffon de donneur décédé que s'il n'est pas en mesure de trouver un donneur vivant.

A chacune de ces étapes précitées le processus peut s'arrêter pour différentes raisons.

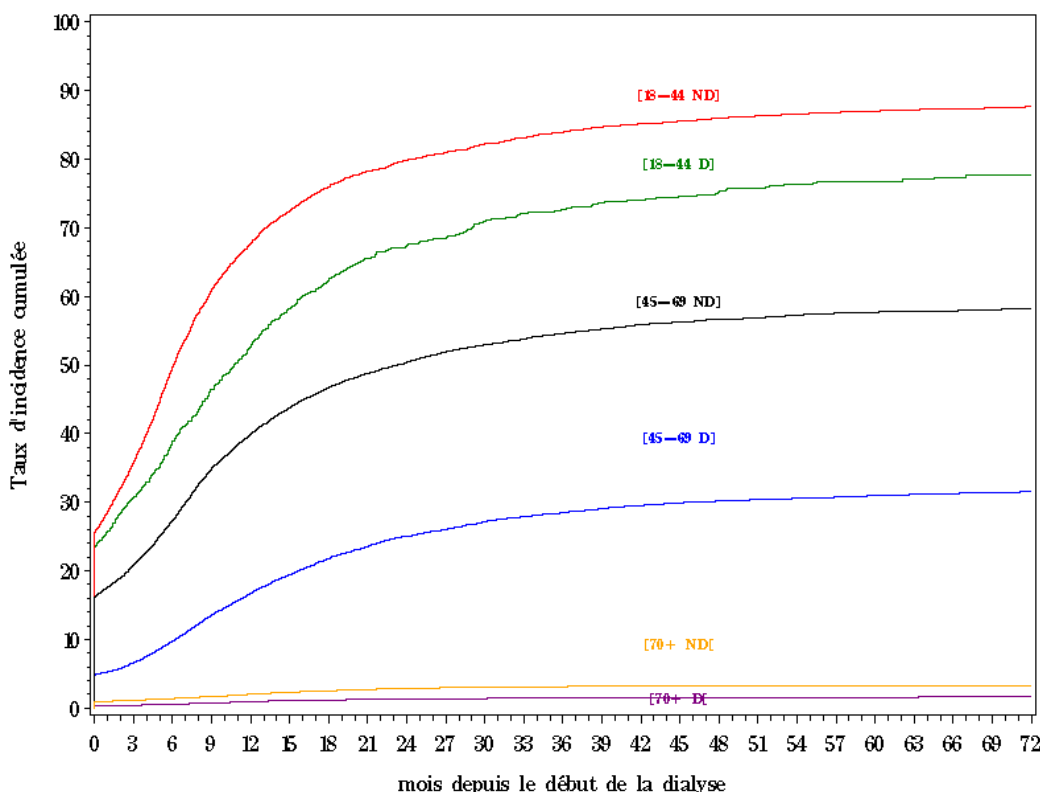
Plusieurs études publiées dont une étude française en cours à partir des données de REIN ont montré des disparités d'accès à la liste qui ne sont pas expliquées par le seul état clinique des patients (167-174).

Selon les profils de patients, par âge et statut diabétique, l'accès à la liste d'attente diffère. Ainsi, la figure 37 illustre l'accès modéré à la liste d'attente des patients âgés de 45 à 69 non diabétiques. Selon les données REIN, sur la cohorte des nouveaux patients dialysés au cours de la période 2002-2012, 5 ans après le démarrage, seuls 58 % des patients sont inscrits alors que dans la tranche d'âge 18-44 ans, non diabétique, ce pourcentage est de 87 % (7). Cette figure doit cependant être interprétée avec prudence car elle ne prend pas en compte les autres comorbidités pouvant expliquer un accès prudent à la liste. Une recommandation de bonne pratique en cours de réalisation à la HAS a pour objectif de définir les critères d'orientation et d'inscription sur la liste d'attente nationale et de contribuer ainsi à la réduction des inégalités d'accès à la transplantation rénale en France (37).

En outre, l'évaluation du bénéfice-risque d'une greffe rénale pour un patient donné doit être l'objet d'une concertation entre les néphrologues des centres de dialyse et de transplantation.

Les Etats généraux du REIN ont confirmé le souhait des patients d'avoir un accès à la greffe avec une information claire sur ses bénéfices et risques. Dans les données du registre REIN, les causes de non inscription en raison d'un refus des patients ne représentent que 3 % des patients présents en dialyse au 31/12/2012 (7).

**Figure 42. Taux d'incidence cumulée pour l'accès à la liste d'attente pour une greffe de rein des nouveaux patients dialysés au cours de la période 2002-2012.**



Les possibilités de développement de la transplantation rénale sur donneurs vivants et décédés soulèvent des difficultés organisationnelles spécifiques concernant l'activité des centres transplantateurs, la disponibilité et la coordination des acteurs, les investissements nécessaires, etc.

Ces difficultés ont été étudiées dans le premier volet « *analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale en France* ».

Le développement de la greffe se heurte en effet au problème de démographie médicale et à la possibilité pour les centres transplantateurs de suivre de façon appropriée la file active des patients porteurs d'un greffon qui ne fait que croître. Au 31/12/2012, le nombre de patients porteurs d'un greffon fonctionnel était estimé à 32 508 avec un accroissement d'environ 4 % par an. Il existe en France 35 centres de greffes adultes qui ne peuvent assurer à eux-seuls le suivi de cette cohorte. Un suivi partagé de ces patients avec les néphrologues exerçant dans les centres de dialyse est plus ou moins organisé. Ce travail en réseau doit s'appuyer sur des formations, des procédures, de l'information partagée (dossier médical commun) et des évaluations régulières.

Le développement important de la transplantation rénale aura également comme répercussions l'augmentation du nombre de transferts de patients en dialyse après greffe. Ces transferts en dialyse n'ont pas été simulés du fait d'une perspective à 15 ans (qui correspond à la médiane de survie des greffons) ; leur impact d'un point de vue organisationnel doit cependant être anticipé.

En fonction du profil des patients défini dans cette évaluation et pour lesquels la transplantation rénale à partir de donneurs décédés et vivants est la stratégie la plus efficace, plusieurs cas particuliers doivent être pris en compte dans l'analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale.

► **Cas particulier des patients âgés de 18 à 44 ans : prendre en compte la perspective d'une retransplantation**

Dans ce groupe de patients jeunes avec une probabilité de survie longue, un certain nombre de patients va être proposé pour une seconde greffe après échec de la première (pour la cohorte de greffe 2001-2005, la survie du greffon était de 92,2 % à 1 an et de 80,7 % à 5 ans, rapport médical et scientifique de l'Agence de la biomédecine, 2012 (175)).

Chez ces patients, les stratégies d'appariement entre donneur et receveur doivent prendre en compte la contrainte immunologique. Dans certains cas, le temps d'attente du premier greffon peut être plus long afin qu'il soit mieux apparié sur le plan HLA et éviter ainsi le risque de production d'anticorps anti-HLA contre un groupe fréquent qui limiterait l'accès à un deuxième greffon. Ces aspects n'ont pas été pris en compte dans le modèle car ils auraient nécessité de réaliser des micro-simulations individuelles et ne faisait pas partie des objectifs de ce travail.

► **Cas particulier des patients âgés de 18 à 44 ans diabétiques de type 1 : double greffe rein-pancréas**

Si la stratégie conjointe de développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés et vivants est efficace pour ce groupe de patients, son développement, relativement limité en volume, se heurte à la pénurie de greffons et aussi à la concurrence avec les patients jeunes non diabétiques. Selon les données REIN, sur la cohorte des patients incidents 2002-2012, le pourcentage de patients greffés à 5 ans était de 75 % chez les jeunes sans diabète et 61 % chez les jeunes avec diabète (données REIN).

Un certain nombre de patients de cette sous-population ayant un diabète de type 1 (63 % des patients incidents en 2011 dans ce groupe) vont être inscrit pour recevoir une double greffe rein + pancréas et ainsi bénéficier d'une priorité<sup>98</sup>. Dans les stratégies simulées, le coût additionnel d'une greffe de pancréas n'a pas été évalué, ne faisant pas l'objet du présent travail.

Dans cette population, la part des donneurs vivants était très faible (4 % sur la cohorte des patients incidents 2002-2012) alors que ce type de donneur représente 21 % des donneurs pour

<sup>98</sup> [http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/procedure\\_application\\_regles\\_repartiton\\_attribution\\_juillet2012.pdf](http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/procedure_application_regles_repartiton_attribution_juillet2012.pdf)

les patients de même âge, sans diabète (7). Les simulations ont donc été volontairement modestes avec une augmentation d'activité de 13 à 40 greffes à partir de donneurs vivants.

► **Cas particulier des patients âgés de 45 à 69 ans non diabétiques : concurrence avec les jeunes pour l'accès aux greffons**

Le développement de la greffe rénale à partir de donneurs décédés, simulé dans cette stratégie (558 greffes chez 1000 patients âgés de 45 à 69 ans diabétiques versus 475 dans la stratégie de base) se heurte à la pénurie de greffons. Un meilleur accès à la greffe dans ce groupe de patients viendrait directement en concurrence avec les patients plus jeunes si un certain appariement en âge n'était pas pris en compte dans les scores de répartition des greffons.

► **Cas particulier des donneurs vivants chez les patients âgés de 45 à 69 ans non diabétiques**

Le développement prudent de la greffe rénale à partir de donneurs vivants, simulé dans cette stratégie (55 greffes chez 1000 patients âgés de 45 à 69 ans non diabétiques versus 20 dans la stratégie de base) se heurte à la montée en charge encore très limitée de cette option thérapeutique pour l'ensemble des candidats à la greffe et plus particulièrement dans ce groupe de patients dont les caractéristiques cliniques sont hétérogènes. Au regard de la place de ce type de donneurs dans l'activité de transplantation dans d'autres pays européens, il semble exister une certaine marge de manœuvre (38).

## **A2. Favoriser le développement de la transplantation à partir de donneurs décédés chez les 45-69 diabétiques**

### *Définition de la stratégie*

L'augmentation de la transplantation rénale à partir de donneurs cadavériques a été envisagée chez les 45-69 ans diabétiques.

### *Éléments de discussion sur l'impact de la stratégie simulée*

La stratégie de développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés était efficace pour les patients âgés de 45 à 69 ans diabétiques par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées.

Dans cette stratégie simulée, le développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés portait le nombre de transplantations à 239 (versus 186 dans les simulations fondées sur les pratiques observées, soit une augmentation d'activité de 28 %).

### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

La faisabilité de cette stratégie est discutée au regard des profils de patients et de la répartition très concurrentielle des organes prélevés sur donneurs décédés. La figure 39 illustre par ailleurs l'accès très modéré à la liste d'attente de ce groupe de patients.

Si cette stratégie est conforme aux objectifs fléchés dans le plan greffe (sans considération d'âge et ni de statut diabétique), elle se heurte à la pénurie de greffons et à l'état clinique de ces patients, potentiellement à haut risque de complications post transplantation. Une évaluation précise de l'état clinique des patients et une décision partagée entre les professionnels, les patients et leur famille évaluant les bénéfices risques d'une telle intervention sont les préalables au déploiement de cette modalité de traitement.

Par ailleurs, dans ce groupe de patients, le développement de la transplantation à partir de donneurs vivants n'a pas été considéré compte tenu des pratiques actuelles (et des volumes très faibles dans la stratégie de base issue des pratiques observées) mais peut être envisagé au cas par cas.

### **A3. Favoriser le développement de la transplantation à partir de greffons « old for old » avec utilisation des machines à perfusion chez les plus de 70 ans**

#### *Définition des stratégies*

L'augmentation de la transplantation rénale à partir de donneurs cadavériques a été envisagée dans les groupes des personnes-âgées (plus de 70 ans) quel que soit leur statut diabétique.

L'attribution de greffons provenant de personnes-âgées aux receveurs âgés « old for old » a été simulée au regard du bénéfice attendu et du déploiement en cours des machines à perfusion (176, 177).

#### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies simulées*

**La stratégie relative au développement de la transplantation rénale à partir de donneurs décédés « old for old » avec utilisation des machines à perfusion était efficace pour les patients de plus de 70 ans (diabétiques et non diabétiques) par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées.**

Chez les patients âgés de plus de 70 ans, les simulations multipliaient par 10 l'activité de transplantation rénale à partir de donneurs décédés, portant ainsi le nombre de transplantations à 134 et 52 versus 16 et 5 dans les simulations fondées sur les pratiques observées chez les non diabétiques et les diabétiques, respectivement.

#### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

Cette stratégie était fondée sur une possibilité de développement de la transplantation à partir de donneurs décédés plus âgés avec une allocation des organes tenant compte de l'âge du receveur et du donneur (« old-for-old ») et de l'utilisation des machines à perfusion pour garantir une bonne fonction du greffon.

Au vu du vieillissement des donneurs potentiels et de l'élargissement possible vers des donneurs âgés, cette stratégie semble réalisable et n'entre pas directement en concurrence avec la greffe chez les jeunes. Le nombre de donneurs âgés de plus de 60 ans a en effet été multiplié par un facteur 10 entre 1998 et 2012 pour représenter 44 % des donneurs alors que le nombre de donneurs âgés de moins de 60 ans est resté stable. En 2012, l'âge moyen des donneurs décédés de mort encéphalique prélevés d'au moins un organe était de 54,5 ans en France<sup>99</sup>. Selon le rapport médical et scientifique de l'Agence de la biomédecine, la part des reins de donneurs à critères élargis perfusés est passée de 5,4 % en 2011 à 12,3 % en 2012 avec 146 reins à critères élargis perfusés et devrait à terme concerner 45 % des greffons de donneurs à critères élargis<sup>100</sup>.

La stratégie du « old for old » fait partie du développement des prélèvements sur donneurs à critères élargis qui a été mise en place de manière explicite dans certains pays comme ceux faisant partie d'EuroTRansplant. Dans le scénario simulé, elle a été définie en se fondant sur l'hypothèse selon laquelle l'utilisation des machines à perfusion pour des greffons à critères élargis apporterait une durée de vie équivalente à celle d'un greffon non limite.

Par ailleurs, cette stratégie n'impose pas de reconsidérer les règles de répartition des greffons pour les autres tranches d'âge ; ces greffons de donneurs âgés sont en effet peu utilisés pour des

<sup>99</sup> <http://www.agence-biomedecine.fr/annexes/bilan2012/donnees/organes/06-rein/synthese.htm>

<sup>100</sup> Depuis 2011, un programme national de mise sous machine à perfusion est développé pour les reins de donneurs à critères élargis définis comme les donneurs âgés de plus de 60 ans ou de 50 à 59 ans avec au moins deux des facteurs de risque suivants : cause de décès vasculaire, antécédent d'hypertension artérielle, créatininémie supérieure à 130 µmol/l.

patients plus jeunes (appariement sur l'âge dans les scores d'attribution) et ne rentrent donc pas en concurrence avec le développement de la transplantation dans les autres tranches d'âge.

Pour les patients âgés de plus de 70 ans non diabétiques, ayant une espérance de vie moyenne de 45 mois, le développement de la transplantation « old for old » est une stratégie efficiente qui peut être favorisée au vu du vieillissement des donneurs potentiels et de l'élargissement possible vers des donneurs à critères élargis mais qui reste limitée par le nombre de greffons disponibles et aussi, par l'état clinique de certains patients contre-indiquant la transplantation. La figure 39 illustre l'accès difficile à la liste d'attente de ce groupe de patients. Sur la cohorte des nouveaux patients dialysés au cours de la période 2002-2012, 5 ans après le démarrage, seuls 3 % des patients sont inscrits (7).

Le scénario simulé correspondait à 134 transplantations chez 1000 patients de 70 ans ou plus, diabétiques, versus 16 dans les simulations fondées sur les données observées (S0) ce qui implique des changements de pratiques importants avec une multiplication par 8 du nombre de patients transplantés.

Pour les patients âgés de plus de 70 ans diabétiques, ayant une espérance de vie moyenne de 40 mois, le développement de la transplantation « old for old » est une stratégie efficiente mais qui est envisageable uniquement chez certains patients très ciblés avec peu de comorbidités chez qui le bénéfice de la greffe a été considéré comme supérieur au risque. Dans le scénario simulé, elle correspondait à 52 transplantations chez 1000 patients de 70 ans ou plus, diabétiques, versus 5 dans les prédictions basées sur les données observées (S0). Sa mise en œuvre implique également des changements de pratiques, en particulier, l'adaptation des protocoles thérapeutiques immunosuppresseives.

Si elle ne rentre pas en concurrence avec le développement de la transplantation dans les autres tranches d'âge, le problème se pose cependant concernant les patients âgés de plus de 70 ans, non diabétiques. La figure 2 illustre l'accès quasi inexistant à la liste d'attente de ce groupe de patient. Sur la cohorte des nouveaux patients dialysés au cours de la période 2002-2012, 5 ans après le démarrage, moins de 1 % des patients sont inscrits (données REIN).

Au regard du risque de décès en dialyse chez ces patients âgés, si la décision de greffer est prise, les délais avant inscription puis d'attente sur la liste doivent être raccourcis au minimum (178, 179).

En outre, la faisabilité de cette stratégie tient non seulement à l'utilisation des machines à perfusion mais également à l'identification des centres qui acceptent a priori ce type de donneurs afin de permettre une allocation rapide et une greffe en moins de 11 heures.

Par ailleurs, dans ces groupes d'âge, le développement de la transplantation à partir de donneurs vivants n'a pas été considéré compte tenu des pratiques actuelles en France mais pourrait être envisagé dans certaines circonstances comme le don entre conjoints de même âge (180).

Enfin, le vieillissement de la population des patients avec IRCT et les nombreuses comorbidités associés doivent cependant rendre prudent un élargissement des indications de transplantation. Une évaluation précise de l'état clinique des patients et une décision partagée entre les professionnels, les patients et leur famille, évaluant les bénéfices et les risques d'une telle intervention sont les préalables au déploiement de cette modalité de traitement.

Au total, pour tous les groupes de patients, les stratégies concernant le développement de la transplantation rénale apparaissaient efficientes par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées, ce que confirment les données de la littérature.

Cependant, la faisabilité d'un tel développement a été discutée au vue de la littérature et des recommandations de la HAS publiées en 2012 relatives à l'analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale en France et par le groupe de travail.

La prise en compte de la disponibilité des greffons et de la concurrence entre les sous-populations de patients impose de s'intéresser également aux stratégies de prise en charge en dialyse.

Ces stratégies de prise en charge, complémentaires à la transplantation rénale, doivent par conséquent s'articuler autour de la probabilité de greffe en fonction des sous-groupes de patients et des délais d'attente plus ou moins longs.

### ***Axes de développement de la dialyse hors centre***

Les stratégies de développement de la dialyse hors centre ont été envisagées selon le choix des patients d'être traités à domicile ou non.

L'ensemble des résultats ont été résumés dans la figure 43 dans laquelle sont rappelés l'espérance de vie moyenne, le coût global moyen et le coût moyen par mois actualisés de la stratégie de base pour la population ciblée et l'écart obtenu avec la stratégie alternative évaluée. La capacité d'autonomie des patients peut être définie comme la capacité à prendre en charge tout ou partie de leur traitement.

Pour chaque stratégie 'action', la trajectoire a été résumée par la mise en exergue des compartiments qui ont fait l'objet d'une modification soit de la répartition initiale des patients (DP ou UDM au démarrage), soit des taux de transitions entrants.

Les simulations de changement ont été faites sur des sous-groupes de patients intitulés « population cible théorique ».

A partir de l'ensemble des stratégies alternatives à l'hémodialyse en centre évaluées, des axes d'évolution de la prise en charge actuelle en dialyse peuvent être envisagés en prenant en compte les choix des patients et leur capacité d'autonomie. Ils ont été discutés au regard de l'impact clinique et économique des stratégies évaluées et en termes de faisabilité.





## **B. Les alternatives à la prise en charge en hémodialyse en centre pour les patients souhaitant être traités à domicile**

### **B1. Les stratégies de prise en charge à domicile pour les patients en capacité de prendre en charge leur traitement**

Pour répondre à l'objectif de développement de prise en charge hors centre des patients et de façon concomitante au développement de la greffe qui reste contrainte par la pénurie de greffons, des stratégies autonomes de prise en charge en dialyse ont été envisagées pour les patients qui ont la possibilité de prendre en charge leur traitement et souhaitent être traités à domicile.

Ces stratégies s'adressaient aux groupes de patients âgés de moins de 69 ans. Ces patients peuvent être en attente de transplantation avec une probabilité de greffe rapide ou avec une attente prévisiblement longue (par exemple, patients hyperimmunisés ou patients ayant une contre-indication temporaire à la transplantation). Pour les patients en contre-indication médicale pour la transplantation, ces stratégies de prise en charge autonomes peuvent être envisagées pendant un certain temps, avant le passage vers une modalité plus médicalisée.

Les axes d'évolution proposés sont discutés à partir des stratégies évaluées, de leur impact et de leur faisabilité.

#### **B.1.1. Proposer la dialyse péritonéale non assistée comme modalité de démarrage avec un transfert préparé en hémodialyse**

##### *Définition des stratégies*

Les stratégies qui portaient sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important en DPA ou DPCA non assistées ont été envisagées pour l'ensemble des patients de moins de 69 ans.

D'après les recommandations de la HAS publiées en 2007, le développement de la dialyse péritonéale autonome comme modalité de démarrage du traitement de suppléance est une trajectoire à prendre en considération pour les raisons suivantes (56) :

- en pont vers la transplantation, elle permet d'éviter la création d'une fistule artérioveineuse pour une période courte d'hémodialyse ;
- avec ou sans perspective de greffe, elle permet au patient de garder son autonomie conciliable avec une activité professionnelle ;
- pour tous, il s'agit d'un traitement à domicile facilement réalisable par un patient formé et motivé.

Le transfert préparé des patients vers une modalité d'hémodialyse a été simulé entre 24 et 60 mois soit vers l'autodialyse (pour les 18-44 ans ou les 45-69 ans non diabétiques) soit vers le domicile (pour les 18-44 ans non diabétiques uniquement), afin de maintenir les patients qui n'auraient pas été transplantés dans un mode de prise en charge autonome. Le transfert préparé en hémodialyse directement dans une structure d'entraînement se différencie du repli en urgence en hospitalisation ou sur des postes de replis en dialyse en centre.

Pour les 45-69 ans diabétiques, le transfert des patients vers une modalité d'hémodialyse a été simulé entre 24 et 60 mois vers l'UDM afin de leur éviter un passage en hémodialyse centre. Le transfert préparé vers une unité de dialyse médicalisée directement se différencie du repli en urgence en hospitalisation ou sur des postes de replis en dialyse en centre.

### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies*

**Par rapport à la transplantation rénale, ces stratégies n'étaient pas efficaces. En revanche, elles étaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques actuelles, pour une efficacité quasi équivalente.**

La dialyse péritonéale autonome au démarrage du traitement de suppléance, très peu développée dans les prédictions basées sur les données observées, a été multipliée par 4 ce qui représente 25 à 30 % de l'ensemble des nouveaux patients dans les scénarios simulés :

- Sur la cohorte de 1000 patients incidents de 18-44 non diabétiques, le nombre global de patients qui va démarrer en DP autonome dans les stratégies simulées est de 284 (S1-S2) et de 287 (S3-S4) pour un volume actuel observé de 130 patients (S0).
- Sur la cohorte de 1000 patients incidents de 18-44 diabétiques, le nombre global de patients qui va démarrer en DP autonome dans les stratégies simulées est de 175 (S1) et de 181 (S2) pour un volume actuel observé de 72 patients (S0).
- Sur la cohorte de 1000 patients incidents de 45-69 non diabétiques, le nombre global de patients qui va démarrer en DP autonome dans les stratégies simulées est de 207 (S1) et de 240 (S2) pour un volume actuel observé de 90 patients (S0).
- Sur la cohorte de 1000 patients incidents de 45-69 diabétiques, le nombre global de patients qui va démarrer en DP autonome dans les stratégies simulées est de 137 (S1) et de 156 (S2) pour un volume actuel observé de 68 patients (S0).

Chez les patients jeunes, l'impact de ces stratégies sur le temps global passé en dialyse est limité dans la mesure où ces patients vivent la majorité du temps avec un greffon rénal fonctionnel. Les transferts en autodialyse ont un impact faible sur le temps global passé en autodialyse car ces patients autonomes en DP ont été essentiellement « détournés » du compartiment HD autodialyse au démarrage et accèdent rapidement à la greffe. Les transferts à domicile, simulés uniquement chez les 18-44 non diabétiques ont un impact très limité compte tenu du faible volume de patients impacté par la stratégie.

Chez les 45-69 ans diabétiques, les résultats des analyses de sensibilité en scénario simulant le développement de la DPCA non assistée au démarrage sans transfert en HD UDM après 2 ans ont montré que cette stratégie était efficace. Cependant, dans cette simulation, le coût lié au repli des patients en urgence vers l'HD centre n'a pas été pris en compte et pourrait avoir un impact sur les conclusions de l'analyse de l'efficacité.

### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

La faisabilité de ces trajectoires fondées sur le développement de la dialyse péritonéale non assistée est conditionnée par la prise en considération d'impacts sur les patients, sur l'organisation de la prise en charge et sur les structures de dialyse (61, 62, 181).

L'information précoce des patients sur les différents traitements de suppléance leur permettant de faire un choix éclairé est primordiale (75, 182, 183).

L'augmentation importante du volume de patients autonomes en DP nécessite la mise en place de structures de formation de ces patients (environ 15 jours de formation sont nécessaires par patients).

Les coûts pris en compte dans cette évaluation n'ont pas permis d'évaluer les conséquences d'une prise en charge à domicile sur les patients et leur entourage. Les conséquences organisationnelles liées au stockage de grandes quantités de consommables et de déchets à domicile doivent également être prises en compte. Dans le cas de logements avec surface

modérée, une organisation avec livraison fréquente doit être envisagée afin de permettre aux patients de choisir cette technique de traitement.

Les conséquences sur l'organisation des soins conditionnent également la faisabilité de ces stratégies : capacité des équipes à suivre une file active à domicile en DP, formation des professionnels de santé, organisation des transferts préparés en hémodialyse et des replis en urgence en hospitalisation ou sur des postes de dialyse en centre, la capacité à développer de nouvelles organisations de la prise en charge par exemple, par télémedecine. Le traitement à domicile nécessite l'organisation d'une assistance afin de répondre à tous les événements intercurrents pouvant compromettre la dialyse et la prise en charge rapide d'une éventuelle complication nécessitant souvent un repli temporaire.

Ces stratégies reposent en outre sur un changement d'organisation concernant la gestion des transferts en hémodialyse fondée sur la préparation du changement de technique au travers d'indicateurs liés à la qualité de l'épuration ou à un changement d'état de santé ou d'autonomie. Le transfert préparé vers une modalité de prise en charge hors centre peut être considéré comme un changement important dans les pratiques<sup>101</sup> dont la faisabilité devra être évaluée, (ces patients étant actuellement repliés de façon très fréquente en hémodialyse en centre dans un premier temps). L'entraînement pour un transfert vers l'HD autodialyse pourrait s'organiser sans passage en HD centre ce qui nécessite cependant des équipes formées aux deux techniques d'épuration afin d'assurer la bonne transition. Les conséquences attendues d'une meilleure anticipation sont une amélioration de la qualité de vie des patients et de la prise en charge hospitalière (programmation de la création de la voie d'abord par exemple).

Enfin, la marge de manœuvre des établissements ou structures de dialyse pour le développement de l'activité en fonction de la file active de patients doit être prise en compte.

Du point de vue des fournisseurs de soins, la rentabilité liée au développement de cette technique de traitement est fortement dépendante de la file active de patients. Si l'évaluation économique mise en œuvre dans cette étude n'a pas montré d'arguments en termes d'efficacité en faveur d'une ou de l'autre technique de DP, les coûts ont été estimés à partir des montants remboursés par l'Assurance maladie et ne prennent pas en compte les coûts d'investissement du point de vue des fournisseurs de soins liés à la mise en œuvre de ces stratégies.

Par ailleurs, les volumes de consommables de DPA sont plus importants et les pratiques commerciales de certains laboratoires pharmaceutiques qui pourraient contraindre les établissements de soins à limiter le développement de la DPCA au démarrage du traitement en faveur de la DPA doivent être prises en considération, de même que les évolutions de l'offre concernant le dialysat permettant de varier la composition et diminuer l'utilisation du glucose (nouveaux composants potentiellement plus coûteux). Les contraintes géographiques doivent également être intégrées dans les possibilités de livraison, de récupération des déchets, de proximité avec des infirmières formées.

### **B.1.2. Proposer l'hémodialyse à domicile et l'hémodialyse quotidienne à domicile**

#### *Définition des stratégies*

L'hémodialyse à domicile faiblement développée dans les données observées, a été favorisée dans un objectif de développement des prises en charge autonomes à domicile. Aucun transfert vers une autre modalité de dialyse n'a été simulé sur les 15 premières années chez ces patients jeunes.

Le développement de l'hémodialyse à domicile (hémodialyse conventionnelle et hémodialyse quotidienne) a été envisagé chez les patients jeunes 18-44 ans non diabétiques. Du fait du coût d'entrée important lié à la période d'entraînement et aux conséquences sur l'habitat et sur l'organisation de la prise en charge, cette stratégie en pont vers la greffe est à considérer pour les

<sup>101</sup> Les taux de transition entre le compartiment DPA autonome et l'HD autodialyse ont été multipliés par 10 000 entre 24 et 60 mois car le retour programmé de ces patients en autodialyse est peu observé, en pratique, ces patients sont très souvent repliés vers l'hémodialyse en centre.

patients hyperimmunisés, en attente longue ou ayant une contre-indication temporaire à la transplantation. Elle peut également être proposée aux patients refusant la greffe.

### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies*

**Par rapport à la transplantation rénale, ces stratégies n'étaient pas efficaces. En revanche, l'hémodialyse à domicile à raison de 3 séances par semaine était moins coûteuse que la stratégie fondée sur les pratiques actuelles, pour une efficacité similaire alors que l'hémodialyse quotidienne s'est révélée plus coûteuse dans les stratégies simulées dans le modèle.**

L'augmentation simulée dans le modèle de la part de l'hémodialyse à domicile correspondait à une multiplication par 3 du nombre de patients concernés. Les effectifs restaient cependant très modestes (96 patients sur 1000). Avec une espérance de vie similaire, l'hémodialyse à domicile à raison de 3 séances par semaine permettait un gain de 2 933 € par rapport à la stratégie basée sur les pratiques observées.

La stratégie relative au développement de l'hémodialyse quotidienne à domicile se différenciait uniquement par les coûts de traitement qui ont été simulés à la hausse<sup>102</sup>. Dans ses conditions, cette stratégie s'est révélée plus coûteuse de 4 810 € en moyenne par rapport à la stratégie fondée sur les pratiques observées.

Ces résultats relatifs au développement de l'hémodialyse quotidienne sont à prendre avec précaution en raison de la forte incertitude sur les coûts et les résultats de ce scénario simulé en l'absence de données précises de coût et d'efficacité.

### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

La faisabilité des stratégies de prise en charge à domicile nécessite de prendre en compte les éléments suivants.

A ce jour, cette modalité de traitement ne s'adresse qu'aux patients autonomes qui doivent prendre en charge leur hémodialyse. La disponibilité d'équipes soignantes formées se déplaçant au domicile, à l'image de ce qui se pratique pour la dialyse péritonéale, pourrait apporter au minimum une assistance à la ponction de la voie d'abord (ce qui n'est pas le cas actuellement).

De même que pour la dialyse péritonéale, il convient de prendre en compte l'impact sur les patients et leur entourage d'un tel choix : modification de l'habitat, coût, temps des aidants, stockage, etc. La disponibilité d'un proche est une condition indispensable lors des séances à domicile.

L'organisation de la formation des patients pour l'hémodialyse à domicile nécessite des infirmières spécifiquement détachées.

La marge de manœuvre des établissements ou des structures de dialyse pour le développement de l'hémodialyse à domicile et de l'hémodialyse quotidienne et l'impact en termes de coûts sur la structure doit être évaluée (coûts d'investissement, notamment des nouveaux équipements, rentabilité liée au développement de l'offre de soins, mise en place de nouvelles formes d'organisation des soins comme l'utilisation de la télémédecine).

L'impact du développement de l'hémodialyse quotidienne à domicile et de la mise au point de générateurs de dialyse de petite taille avec faible débit de dialysat sur la qualité de vie et le devenir des patients (survie, complications, etc.) devra faire l'objet d'une évaluation.

---

<sup>102</sup> Pour approximer un coût de l'HD quotidienne, le coût mensuel en HD domicile a été multiplié par 1,8 : ce qui correspond à un doublement du poste de dépense « dialyse » + doublement du poste de dépense « autonomie » dans le coût mensuel en HD domicile.

## **B2. Les stratégies de prise en charge à domicile pour les patients non capables de prendre en charge leur traitement**

Des stratégies de prise en charge en dialyse à domicile ont été envisagées pour les patients qui n'ont pas la possibilité de prendre en charge leur traitement et qui souhaitent être traités à domicile.

### **B.2.1. Proposer la dialyse péritonéale assistée comme modalité de démarrage du traitement avec un transfert préparé en UDM**

#### *Définition des stratégies*

Les stratégies qui portaient sur une modification de la distribution initiale des modalités de traitement avec un démarrage plus important en DPA ou DPCA assistées ont été envisagées chez les patients âgés de plus de 70 ans, non diabétiques et diabétiques.

Le transfert préparé des patients vers une modalité d'hémodialyse médicalisée a été simulé après 2 ans vers l'UDM afin d'éviter un repli en HD centre.

Ces stratégies permettent de maintenir à domicile des patients avec une assistance par une IDE, la prise en charge du traitement ne pouvant reposer sur le patient ou son conjoint de même âge (67, 184-187).

#### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies*

**Par rapport à la transplantation rénale, ces stratégies n'étaient pas efficaces. En revanche, elles étaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques actuelles, pour une efficacité équivalente.**

Dans les pratiques, la DPCA assistée comme modalité de démarrage, concernait 10 % des patients de plus de 70 ans et la DPA assistée, moins de 2 %. La DPCA assistée a été la modalité de démarrage privilégiée avec un scénario simulé « poussant » jusqu'à 25 % le nombre de patients incidents démarrant dans cette modalité (soit 2,5 fois ce qui est observé actuellement). Au contraire, l'augmentation de la DPA assistée n'a été simulé que jusqu'à 9 %.

Ces patients ont une espérance de vie limitée et leur trajectoire de soins se limite généralement à une modalité de prise en charge. Même si les changements de technique ne sont pas forcément bien vécus par les patients, pour un certain nombre, le transfert vers l'hémodialyse doit être envisagé pour des raisons techniques, médicales ou organisationnelles (par exemple, lié à l'épuisement de l'entourage). Dans la majorité des cas, ce repli se fait en HD centre. Dans la stratégie simulée, un transfert préparé vers l'UDM a été envisagé entre 24 et 60 mois de dialyse péritonéale, afin de maintenir certains patients dans un traitement d'hémodialyse hors centre et si possible, proche de leur domicile, lorsque l'offre de soins existe.

Le développement de la DP assistée avait pour conséquence une diminution du temps moyen passé en hémodialyse en centre (jusqu'à 55 %) qui est le mode de prise en charge prépondérant pour ces patients.

Par rapport à la transplantation rénale, ces stratégies n'étaient pas efficaces dans ce groupe de patients. En revanche, elles avaient des coûts moindres que la stratégie fondée sur les pratiques observées permettant des gains de -907 € à - 6 536 € par patient.

L'analyse de sensibilité en scénario simulant le développement de la DPCA assistée sans transfert vers l'UDM après 2 ans de traitement en DP était cependant une stratégie efficace chez les patients de plus de 70 ans (non diabétiques et diabétiques). Cependant, dans cette simulation, le coût lié au repli des patients en urgence vers l'HD centre n'a pas été pris en compte et pourrait avoir un impact sur les conclusions de l'analyse de l'efficacité.

### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

L'impact du développement de la dialyse péritonéale assistée sur l'organisation de la prise en charge et en termes de faisabilité doit prendre en considération les éléments suivants.

Comme pour la dialyse péritonéale non assistée, une telle stratégie repose sur le choix des patients et la possibilité d'un traitement à domicile et par conséquent la prise en compte de l'impact du traitement à domicile sur les patients et les aidants (modification de l'habitat, coût, temps des aidants, etc.). De même, cette technique impose d'importants stockages de consommables et de déchets qui peuvent limiter son utilisation dans certaines circonstances.

Préparer un traitement de suppléance à domicile doit être anticipé en amont du démarrage. Chez les patients référés tardivement aux néphrologues cette technique peut cependant quand même être envisagée, précédée ou non d'un passage court en hémodialyse si l'état clinique le justifie ou selon la disponibilité rapide d'une équipe chirurgicale pour poser le cathéter (186).

Par rapport à la dialyse péritonéale autonome, le développement de la DP assistée comme première modalité de traitement chez les personnes âgées nécessite l'accompagnement d'infirmières formées pouvant intervenir à domicile plusieurs fois par jour, 7 jours sur 7. Il est par conséquent nécessaire d'organiser la formation des professionnels de santé et la capacité des équipes à suivre une file active à domicile (transferts, replis en urgence, recours à la télémedecine). Cela impose également une assistance par des infirmières spécialisées pouvant répondre aux incidents de parcours et aux replis en cas de complications, et également se déplacer à domicile (188).

Concernant la DPA, cette technique de traitement permet de diminuer le nombre de passages des IDE à domicile et pourrait être une solution dans certaines structures telles que les EHPAD. Le choix de la technique reste dépendant de la décision du patient et du néphrologue

Un tel changement de pratiques doit également prendre en compte la marge de manœuvre des établissements et structures de dialyse pour le développement de l'activité et sa rentabilité en fonction de la file active de patients.

Le développement de ces stratégies se heurte également dans certains cas à la réticence des néphrologues (189).

Enfin, le transfert préparé en UDM au lieu du centre doit être discuté au cas par cas pour ce groupe d'âge à haut risque compte tenu leur mortalité. La création de la voie d'abord pour l'HD après arrêt de la DP devra tenir compte de l'espérance de vie individuelle estimée au moment du transfert vers l'HD.

## **C. Les alternatives à la prise en charge en hémodialyse en centre pour les patients souhaitant être traités hors du domicile**

### **C1. Les stratégies de prise en charge pour les patients en capacité de prendre en charge leur traitement**

Des stratégies autonomes de prise en charge en dialyse ont été envisagées pour les patients qui ont la possibilité de prendre en charge leur traitement mais qui ne souhaitent pas être traités à domicile.

#### **C.1.1. Proposer l'hémodialyse en unité d'autodialyse**

##### *Définition de la stratégie*

L'hémodialyse en unité d'autodialyse est un mode de prise en charge utilisé dans les pratiques actuelles en pont vers la transplantation rénale ou pour les patients autonomes en contre-

indication pour la greffe ou qui ne souhaitent pas être traités à domicile. Deux cas de figure ont été envisagés dans les stratégies évaluées :

- le développement de l'hémodialyse en unité d'autodialyse chez les 18-44 ans avec diabète sans qu'un transfert vers une autre modalité de dialyse n'ait été simulé sur les 15 premières années de leur prise en charge ;
- le développement de l'hémodialyse en unité d'autodialyse dans les trajectoires des 45 à 69 ans non diabétiques, en privilégiant un transfert préparé en UDM après 5 ans (pour les patients non transplantés).

### *Eléments de discussion sur l'impact des stratégies simulées*

**Par rapport à la transplantation rénale, ces stratégies n'étaient pas efficaces. En revanche, elles étaient moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques actuelles, pour une efficacité quasi équivalente.**

Chez les jeunes diabétiques la stratégie simulée (S3) augmentait le temps passé global en autodialyse de 10 % à 16 %, avec un nombre de passages vers l'autodialyse qui serait de 645 *versus* 382 dans la stratégie de base (S0). Chez les 45-69 ans non diabétiques, la stratégie simulée (S3) augmentait le temps passé global en autodialyse de 15 % à 19 %, avec un nombre de passages vers l'autodialyse qui serait de 619 *versus* 433 dans la stratégie de base (S0).

Dans les deux cas de figure envisagés, les résultats du modèle à 180 mois montraient une augmentation marginale de l'espérance de vie par rapport à la stratégie de base, ce qui pourrait s'expliquer par un biais de sélection très probable des patients les moins à risques orientés en autodialyse. Les analyses de sensibilité en mortalité ne modifiaient cependant pas les résultats.

Pour les 18-44 ans diabétiques, le coût global de la stratégie relative au développement de l'autodialyse était inférieur à celui de la stratégie de base ; chez les 45-69 ans non diabétiques, la stratégie de développement de l'autodialyse avec transfert préparé en HD UDM simulé au-delà de 5 ans, avait un coût de prise en charge proche de celui la stratégie de base.

Par rapport à la transplantation rénale, ces stratégies n'étaient pas efficaces dans ces groupes de patients mais elles étaient moins coûteuses que la stratégie basée sur les pratiques observées, permettant des gains de -1 644 à - 6 982 € en moyenne par patient.

### *Eléments de discussion sur la faisabilité*

Le développement de l'autodialyse nécessite de prendre en compte les éléments suivants.

En théorie, les patients d'autodialyse doivent intervenir de façon active dans leur prise en charge. L'autodialyse dite simple, définie à l'article R. 6123-65 du Code de la Santé Publique, ne prend en charge que des patients formés, en mesure d'assurer eux-mêmes tous les gestes nécessaires à leur traitement, notamment la pesée, la surveillance tensionnelle, la préparation du générateur de dialyse, le branchement et le débranchement du circuit de circulation extracorporelle et la mise en route de la désinfection automatisée du générateur en fin de séance. L'autodialyse assistée est offerte à des patients formés à l'hémodialyse mais qui requièrent l'assistance d'un infirmier ou d'une infirmière pour certains gestes. Ce niveau de détail n'a pas été pris en compte dans le modèle du fait des faibles volumes d'autodialyse simple (rapport de 1/20 par rapport à l'autodialyse assistée). La formation de ces patients nécessite du personnel dédié.

Les possibilités d'accès des patients en termes de nombre de structures et de répartition sur le territoire est fortement dépendante du développement ou du maintien des unités d'autodialyse face à la réorganisation de l'offre de soins actuellement en cours, liée au déploiement des UDM (et dans certains cas à la transformation des unités d'autodialyse en UDM de proximité) et aux contraintes réglementaires de fonctionnement. Elle dépend également du développement de la DP non assistée, modalité de traitement « concurrente » qui puise dans les mêmes profils de patients.



L'impact de la gestion de la file active des patients en termes de rentabilité des structures de dialyse doit être évalué. En particulier, un effet « accordéon » peut être observé dans certaines petites unités : évolution très fluctuante du nombre de patients dans ces petites structures avec un transfert fréquent vers la greffe qui peut conduire à la fermeture temporaire de ces unités. Dans certaines structures, ces importantes variations d'activité nécessitent l'ajustement des équipes de soins (sollicitations d'infirmières libérale) entraînant de fait une certaine instabilité du personnel soignant.

Un développement de l'autodialyse nécessite d'anticiper l'impact sur l'organisation des soins, et notamment sur les transferts préparés ou des replis en urgence vers des structures médicalisées (UDM ou HD centre) ainsi que la prise en compte de l'isolement de certaines structures.

Les difficultés de création d'une voie d'abord et la perspective d'un accès rapide à un greffon rénal peuvent limiter le développement d'une telle stratégie qui nécessite une période d'apprentissage non négligeable (2 mois selon les experts) et une fistule artérioveineuse aisément ponctionnable.

## **C2. Les stratégies de prise en charge pour les patients non capables de prendre en charge leur traitement**

Des stratégies de prise en charge en dialyse ont été envisagées pour les patients qui n'ont la possibilité de prendre en charge leur traitement et qui ne souhaitent pas être traités à domicile.

Ces stratégies ont été envisagées chez les patients âgés de plus de 45 ans, non diabétiques et diabétiques ce qui n'empêche pas qu'un certain nombre de ces patients soit pris en charge dans des modalités de traitement autonomes.

### **C.2.1. Proposer l'hémodialyse en UDM comme modalité de démarrage du traitement**

#### *Définition des stratégies*

Cette stratégie fondée sur une orientation des patients directement vers l'UDM a été envisagée chez les patients âgés de 45-69 ans, non diabétiques.

#### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies*

**Par rapport à la transplantation rénale, cette stratégie n'était pas efficiente, elle était également plus coûteuse que la stratégie fondée sur les pratiques actuelles, pour une efficacité équivalente.**

L'UDM au démarrage du traitement de suppléance, très peu développée les données observées, a été multiplié par 3 ce qui ne représente cependant que 81 patients dans la cohorte de 1000 nouveaux patients simulée (*versus* 27 dans la stratégie de base).

Pour ce groupe de patients hétérogènes, le démarrage en UDM sans passage par l'HD centre peut-être intéressante, même si elle semble plus coûteuse. Une stratégie plus ambitieuse en nombre de patients concernés aurait peut-être eu un impact sur les coûts plus important.

#### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

Cette stratégie implique le repérage des patients avec un état clinique permettant directement un traitement hors centre et une meilleure préparation de ces patients en amont du stade de suppléance. Ces patients pourraient dans un second temps être transférés en autodialyse si leur état clinique le permet.

## C.2.2. Proposer l'hémodialyse en UDM ou UDM de proximité

### *Définition des stratégies*

Pour les patients ayant une contre-indication à la dialyse péritonéale ou ne souhaitant une prise en charge à domicile par cette technique de traitement, et pour ceux dont l'état clinique est compatible avec un traitement hors centre, l'UDM peut être considérée comme une alternative à l'hémodialyse en centre, au moins pour les premières années suivant la mise en place du traitement de suppléance.

Cette stratégie a été envisagée pour les patients de 45-69 ans diabétiques et pour les patients de plus de 70 ans diabétiques et non diabétiques. Le vieillissement de cette population et les risques potentiels imposent cependant d'anticiper une aggravation de l'état clinique au bout de quelques années nécessitant un transfert préparé vers l'hémodialyse en centre simulé après 5 ans.

### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies*

**Chez les patients de 70 ans et plus diabétiques, la stratégie de développement de l'UDM de proximité avec transfert préparé en HD centre après 5 ans était une stratégie efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées.**

Les autres stratégies n'étaient pas efficaces ; elles étaient également plus coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques actuelles, pour une efficacité jugée quasiment équivalente. Cependant, rapporté au coût mensuel, toutes ces stratégies étaient moins chères que la stratégie de base. Ce résultat paradoxal est expliqué par un gain en espérance de vie de quelques mois de ces stratégies simulées, ce qui mécaniquement, a augmenté le coût de la prise en charge globale sur la période. En termes de profil de patients, dans les pratiques observées, les patients orientés vers l'UDM ont un peu moins de comorbidités que ceux de l'HD centre ce qui tend à expliquer la légère augmentation de l'espérance de vie (+ 3 mois en moyenne) dans ce modèle dont les simulations sont fondées sur des données observationnelles et l'hypothèse de substituabilité des modalités de traitement.

Les stratégies privilégiant l'UDM de proximité étaient moins coûteuses que l'UDM « traditionnelle ». Dans cette étude, l'UDM de proximité se différenciait de l'UDM uniquement par une baisse simulée des coûts de transport.

Les analyses de sensibilité en scénario simulant le développement de l'UDM et de l'UDM de proximité sans transfert en HD centre après 5 ans de traitement ont cependant montré que ces 2 stratégies étaient efficaces chez les patients de plus de 70 ans diabétiques, principalement, en raison du coût élevé du traitement en centre de dialyse.

### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

Les possibilités de développement de modalités de prise en charge en UDM, alternatives à la prise en charge en centre de patients âgés ou à risques doit tenir compte de l'offre de soins existante et des conséquences sur l'organisation des soins.

La part de l'UDM dans la prise en charge des patients en IRCT est en constante augmentation de 2 % par an depuis 2008 (7). Cependant, le profil des patients n'a pas changé de façon importante. Les facteurs de risque tels que le diabète et l'obésité ont augmenté mais les comorbidités, en dehors de l'insuffisance respiratoire sont stables (Tableau 60). Ces résultats renforcent l'hypothèse d'un « réservoir » de patients qui pourraient bénéficier de cette modalité de traitement.

**Tableau 60. Evolution du profil des patients en UDM dans 20 régions**

	2008	2009	2010	2011	2012
Effectif	3127	4045	4731	5371	5891
<b>Pourcentage</b>					
Age >= 75 ans	32,62	32,95	32,57	33,83	34,43
Diabète	33,28	33,95	34,58	34,78	36,66
IMC >= 30 kg/m <sup>2</sup>	16,59	17,72	19,24	20,43	22,6
I. Coro	24,78	25,93	25,14	25,55	25,48
I. Card	21,3	22,09	21,28	21,22	21,37
AMI	23,16	23,03	23,35	23,99	24,05
AVC AIT	9,38	9,44	9,76	9,97	10,48
I. Resp	9,1	10,86	10,44	11,03	11,86
Cancer	8,48	9,64	9,94	9,09	9,38
Marche non autonome	7,39	7,88	8,08	8,34	8,04
<b>Médiane</b>					
Age (ans)	69,0	68,8	68,2	68,7	68,7
IMC (kg/m <sup>2</sup> )	24,7	24,9	25,0	25,2	25,6

Entre 2009 et 2012, dans 21 régions, le nombre d'UDM est passé de 142 à 245 par contre, la distance au centre le plus proche n'a pas évolué passant de 4.7 km en moyenne à 5.1. Le déploiement des UDM de proximité (non adossées aux centres) sur le territoire soulève à nouveau le problème de la démographie médicale. Le développement des UDM fonctionnant par télé-médecine peut répondre dans une certaine mesure à cette contrainte. Elles doivent respecter les recommandations de la HAS en termes de localisation, d'organisation des soins et d'intervention d'une équipe médicale et de formation des professionnels de santé (20). Cependant, même si cette nouvelle forme d'organisation des soins permet d'optimiser le temps médical (en particulier les temps de transport), elle nécessite l'accès en temps réel à une équipe de médecins néphrologues située à distance qui télésurveille la séance ainsi que l'organisation de la prise en charge des urgences sur le site de l'UDM.

L'état des lieux de l'utilisation de la télé-médecine dans la prise en charge des patients en IRCT montre une forte augmentation des projets de développement d'UDM fonctionnant par télé-médecine dont il faudra évaluer si leur localisation améliore l'accessibilité aux soins en termes d'impact sur la diminution des temps et des coûts de transport.

La capacité des patients âgés à s'adapter à une nouvelle organisation de la prise en charge par télé-médecine (visioconférence pour la téléconsultation) doit également être évaluée de même que l'impact sur la qualité de vie. Un tel changement de pratique nécessite en outre, la formation des professionnels de santé aux dispositifs et supports techniques.

Il convient également de prendre compte, du point de vue des établissements de santé, les investissements nécessaires au développement d'UDM de proximité ainsi que les coûts de fonctionnement en l'absence de financement, au moment de l'écriture de ce rapport, des actes ou organisations des soins par télé-médecine.

Dans la modélisation, seule la proximité au travers de la baisse du coût de transport a été prise en compte en l'absence de données disponibles sur l'impact en termes de coûts et sur l'état de santé des patients pris en charge dans des UDM fonctionnant par télé-médecine. Cette modalité de traitement est actuellement en phase de déploiement et de nouvelles simulations pourront être réalisées afin d'intégrer d'autres paramètres concernant les coûts et l'espérance de vie. Enfin, d'un point de vue organisationnel, le transfert des patients vers l'HD centre doit être préparé : information des patients, coordination entre les équipes, disponibilité de places, etc.

## D. Les stratégies portant sur le développement conjoint de plusieurs modalités de traitement de dialyse hors centre

Pour répondre à l'objectif de la DGOS et de la CNAMTS relatif au développement d'alternatives à l'HD centre, des stratégies conjointes de développement global de la dialyse péritonéale et de l'hémodialyse hors centre ont été envisagées.

Ces deux méthodes présentent chacune des avantages et des inconvénients et relèvent de la décision partagée entre le médecin et le patient selon les contraintes physiologiques, cliniques et d'environnement des patients. Il convient donc de laisser la possibilité d'utiliser ces deux techniques et de limiter les choix contraints par une offre de soins restrictive.

Ces stratégies nécessitent ainsi l'accessibilité à toutes les modalités de prise en charge alors qu'en pratique, il semble que des orientations en faveur d'une technique ou d'une modalité de prise en charge aient été faites au niveau régional ou d'un territoire de santé (cf. les SROS-PRS élaborés au niveau de chaque région).

### D.1. Envisager des stratégies conjointes de développement de la dialyse péritonéale non assistée au démarrage et de l'hémodialyse autonome

#### *Définition de la stratégie*

Les stratégies conjointes de développement de la DP au démarrage (DPA et DPCA) et de l'HD ont permis de simuler par sous-populations, une offre globale privilégiant l'autonomie des patients et leur permettant de choisir la modalité la plus adaptée à leurs contraintes.

Le développement conjoint de la DP au démarrage et de l'HD domicile a été simulé pour les patients âgés de 18 à 44 ans non diabétiques. Pour les groupes 18-44 ans diabétiques et 45-69 ans non diabétiques, ces stratégies conjointes portaient sur le développement de la DP au démarrage et de l'autodialyse.

Elles n'occultent en rien la possibilité d'orienter les patients vers les autres modalités de traitement dans la mesure où les stratégies simulées ne concernent qu'un certain nombre de patients réorientés aux dépens essentiellement de l'HD centre.

#### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies*

**Chez les 45-69 ans non diabétiques, la stratégie de développement conjoint de la DP non assistée au démarrage et de l'HD autodialyse était efficiente, par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées, tout comme la transplantation.**

Ces stratégies n'étaient pas efficaces dans les autres groupes de patients ; elles étaient cependant toujours moins coûteuses que la stratégie fondée sur les pratiques observées.

La stratégie associant le développement conjoint de la dialyse péritonéale non assistée et de l'hémodialyse à domicile dans les trajectoires des patients a été envisagée pour les patients âgés de 18 à 44 ans non diabétiques. L'objectif était de promouvoir un traitement de suppléance à domicile, quelle que soit la technique envisagée. Elle se fondait sur une proportion importante de patients en dialyse péritonéale au démarrage du traitement de suppléance (40 % des patients) et un doublement du temps moyen passé sur la période en hémodialyse à domicile.

La stratégie associant le développement conjoint de la dialyse péritonéale non assistée et de l'hémodialyse en unité d'autodialyse dans les trajectoires des patients a été envisagée pour les 18-44 ans diabétiques et les 45-69 ans non diabétiques afin de proposer un traitement de suppléance à domicile et un traitement autonome dans une structure hors centre. Elle se fondait sur la multiplication par 4 du nombre de patients démarrant en dialyse péritonéale autonome à domicile en respectant la même répartition des patients entre la DPA et la DPCA. Une telle augmentation

équivalait à un démarrage de 38 % des patients en dialyse péritonéale autonome, qui semblait réalisable au regard de ce qui s'observe à l'étranger (Espagne, Pays scandinaves) et au regard des études sur le choix des patients quant à leur orientation (38). L'hémodialyse en autodialyse a également été privilégiée aux dépens du centre sur les 60 premiers mois.

Cette stratégie offre ainsi aux patients le choix, certains préférant ne pas « apporter » la maladie à domicile ; d'autres y voient la possibilité de ne pas surmédicaliser un traitement chronique qu'ils peuvent maîtriser.

#### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

Cette stratégie conjointe fondée à la fois sur le développement de la DP et de l'HD autonome avait un impact important à la baisse sur le temps global passé en HD centre et donc sur le coût global de prise en charge sur 15 ans. Elle impose cependant une réorganisation importante de la prise en charge et un accès des patients à une offre de soins globale sur un territoire. Les contraintes liées au développement conjoint de ces modalités de traitement autonomes ont été discutées dans les axes de développement de la DP autonome (B.1.1) et de l'autodialyse (C.1.1).

## **D.2. Envisager des stratégies conjointes de développement de la dialyse péritonéale non assistée au démarrage et de l'hémodialyse en UDM ou en UDM de proximité**

#### *Définition des stratégies*

Pour les patients âgés de 45 à 69 ans diabétiques, une stratégie conjointe permettant de promouvoir à la fois la dialyse péritonéale autonome à domicile (DPA et DPCA) et l'UDM (et UDM de proximité) comme alternative à l'HD centre permet de répondre au choix des patients en faveur de l'une ou l'autre technique.

#### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies*

**La stratégie conjointe de développement de la DP non assistée au démarrage et de l'UDM de proximité était efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées pour les patients âgés de 45 à 69 ans diabétiques.**

Elle n'était pas efficiente concernant le développement de la DP et de l'UDM.

Ces stratégies étaient fondées sur la multiplication par 4 du nombre de patients démarrant par une DP autonome à domicile, en respectant la même répartition des patients entre la DPA et la DPCA soit 0,5 pour la DPA. Une telle augmentation équivalait à démarrer 26,7 % des patients avec de la DP autonome, ce qui semble réalisable au regard de ce qui s'observe à l'étranger et au regard des études sur le choix des patients quant à leur orientation (38). Afin d'optimiser la trajectoire de prise en charge des patients mis en DP autonome et éviter le passage en HD centre, un transfert préparé en hémodialyse en UDM ou UDM de proximité a été simulé entre 24 et 60 mois. L'hémodialyse en UDM et en UDM de proximité a également été privilégiée aux dépens de l'hémodialyse en centre sur les 60 premiers mois. Globalement, la part du temps moyen total passé en UDM et UDM de proximité sur la période passait de 10 % à 19 %.

#### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

Cette stratégie simulant un développement conjoint de la dialyse péritonéale autonome et de l'UDM ou de l'UDM de proximité impose une réorganisation importante de la prise en charge et un accès à une offre globale de soins. Elle implique le repérage en amont des patients avec un état clinique permettant un démarrage en dialyse péritonéale non assistée ainsi que le déploiement d'UDM de proximité.

Les contraintes liées au développement conjoint de ces modalités sont la somme de toutes les considérations discutées ci-dessus.

### **D.3. Envisager des stratégies conjointes de développement de la dialyse péritonéale assistée au démarrage et de l'hémodialyse en UDM ou en UDM de proximité**

#### *Définition des stratégies*

Ces stratégies conjointes fondée sur le développement à la fois de la dialyse péritonéale assistée au démarrage (DPA et DPCA) et de l'UDM (et UDM de proximité) ont été envisagées chez les patients âgés de plus de 70 ans (non diabétiques et diabétiques) comme alternatives à l'hémodialyse en centre pour répondre au choix des patients. L'objectif était également dans la mesure du possible, de minimiser le passage de ces patients en hémodialyse en centre.

#### *Éléments de discussion sur l'impact des stratégies simulées*

**La stratégie conjointe de développement de la DP assistée au démarrage et de l'UDM de proximité était efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées, pour les patients âgés de plus de 70 ans diabétiques.**

Cette stratégie était fondée sur une importante possibilité de redistribution de l'hémodialyse centre vers la DPCA assistée et la DPA assistée et l'UDM de proximité, sachant que le profil des patients dialysés en centre se situe plus ou moins entre les patients en DPCA assistée (patients les plus « lourds ») et en UDM (patients avec un peu moins de comorbidités). Chez les patients de plus de 70 ans non diabétiques cette stratégie n'était pas efficiente par rapport à la greffe mais moins coûteuse que la stratégie fondée sur les pratiques observées.

#### *Éléments de discussion sur la faisabilité*

Ces stratégies correspondaient à des changements de pratiques importants avec plus de 30 % de patients démarrant en dialyse péritonéale assistée à domicile et un doublement du temps passé en UDM dans les trajectoires de cette cohorte de patients. Sous réserve du déploiement actuellement en cours d'UDM de proximité, elles permettent de maintenir à domicile ceux qui le souhaitent et de proposer une offre de proximité grâce au développement de la télémédecine, tout en s'adaptant aux contraintes de la démographie médicale.

A noter que ces stratégies conjointes n'occulent en rien la possibilité d'orienter les patients vers les autres modalités de traitement. L'autodialyse représente encore 7 à 11 % du temps moyen. Les stratégies simulées ne concernaient qu'un certain nombre de patients réorientés aux dépens essentiellement de l'HD centre (qui ne représente plus que 40 et 50 % du temps passé).

Les contraintes liées au développement conjoint de ces modalités de traitement sont la somme de toutes les considérations discutées ci-dessus.

## 6.2 Perspective sur le développement de la télémédecine dans la définition des stratégies de prise en charge de l'IRCT en France

Depuis plusieurs années se développent en France et à l'étranger, des expérimentations de télémédecine dans l'organisation de la prise en charge des patients traités pour IRCT ou pour des patients en IRC non terminale. En France, la télémédecine bénéficie depuis 2009 d'une reconnaissance légale (loi HPST du 21 juillet 2009) et d'un cadre réglementaire (décret du 19 octobre 2010). La volonté politique de développer la télémédecine s'est concrétisée par l'élaboration d'un Plan national de déploiement de la télémédecine lancé en 2011, dont la prise en charge des maladies chroniques fait partie des cinq chantiers prioritaires.

La télémédecine reconnue comme une nouvelle forme d'organisation des soins et de prise en charge des patients a pour principaux enjeux de faciliter l'accès aux soins, d'améliorer leur qualité, d'optimiser l'utilisation du temps médical et d'adapter la prise en charge aux besoins des patients. Les enjeux de son développement doivent être également considérés d'un point de vue économique, en particulier, pour les patients atteints de pathologies chroniques (190).

Une revue systématique de la littérature médico-économique relative à la télémédecine a été conduite dans le cadre des travaux sur « l'efficacité de la télémédecine : état des lieux de la littérature internationale et cadre d'évaluation » publiés par la HAS en 2013 (191). L'analyse descriptive des évaluations économiques concernant les maladies chroniques, et en particulier l'IRCT, a montré : le nombre très faible d'études et l'absence d'études françaises, leur qualité méthodologique insuffisante et l'importante hétérogénéité dans les caractéristiques des projets évalués qui limitait fortement la transposabilité des conclusions dans le contexte français (modalités de prise en charge, organisation des soins et pratiques de télémédecine, modes de financements.).

Au total, l'analyse de la littérature ne permettait pas de formuler de conclusions sur la question de l'efficacité de cette nouvelle forme d'organisation des soins. Elle mettait en évidence les spécificités propres de la télémédecine : activité à forte composante organisationnelle, largement dépendante du contexte et de la problématique médicale à laquelle elle répond qui conditionnent l'évaluation médico-économique.

Dans le cadre de la présente évaluation, un état des lieux des projets pilotes et expérimentations de télémédecine dans la prise en charge des patients en IRCT (et IRC) en France métropolitaine et dans les DOM-TOM a été réalisé. Il a été mis en œuvre à partir d'enquêtes conduites en plusieurs temps afin de prendre en considération les évolutions sur le terrain liées au Plan national de déploiement de la télémédecine en France (cf. encadré 23).

### **Encadré 23. Modalités de réalisation de l'état des lieux des projets de télémédecine dans la prise en charge des patients en IRCT**

#### **2011**

- Enquête réalisée auprès des ARS (juillet 2011).
- Recueil d'informations complémentaires auprès des Sociétés Savantes, Fédérations hospitalières, professionnels de santé et de l'ANTEL.

#### **2012**

- Nouvelle enquête auprès des ARS suite à la mise en place des SROS-PRS et au lancement des programmes régionaux de télémédecine, PRT (avril 2012).

- Recueil d'informations complémentaires auprès des Sociétés savantes et des Fédérations hospitalières (juillet 2012).

#### 2012- 2013

- Analyse des PRT finalisés pour l'ensemble des régions : identification de nouveaux projets
- Enquête auprès des coordonnateurs régionaux du registre REIN afin d'obtenir des informations relatives aux projets identifiés et à leur état d'avancement.

#### 2014

- Actualisation des données auprès des ARS

Ces dernières années, l'utilisation de la télémédecine dans la prise en charge des patients traités pour IRCT en France était encore émergente même si quelques projets pilotes ont réussi leur développement. Les recommandations de la HAS publiées en 2009 sur les conditions de mise en œuvre de la télémédecine en UDM (20), l'évolution du cadre réglementaire et le Plan national de déploiement ont eu pour conséquence une forte augmentation du nombre de projets en France métropolitaine et dans les DOM-TOM.

Pour les patients en insuffisance rénale chronique au stade terminal (ou en IRC au stade avancé), le déploiement d'organisations fonctionnant par télémédecine sont de nature à :

- faciliter l'accès aux soins en permettant le développement d'une offre de soins de proximité ;
- améliorer la qualité des soins et le suivi des patients dialysés et greffés ;
- satisfaire une demande en soins dans des délais raisonnables en se substituant à d'éventuels déplacements des patients et en optimisant le temps médical dans un contexte de démographie médicale en diminution ;
- avoir un impact sur les recours aux soins (consommations de soins, transports).

Le Tableau 61 (page 272) présente une synthèse des données recueillies par régions, actualisées en juillet 2014.

En France métropolitaine, la majorité des projets identifiés concernait **le développement d'UDM fonctionnant par télémédecine** : 64 projets recensés dans l'ensemble des régions de France métropolitaine dont la plupart était opérationnels.

Ces projets étaient fondés sur l'utilisation de la télémédecine entre un centre de dialyse et une UDM, permettant d'assurer la télésurveillance médicale des séances réalisées sur le site de l'UDM et la réalisation de téléconsultations. Dans certains cas, le système permettait également la télésurveillance médicale des séances d'hémodialyse réalisées en unités d'autodialyse ou même la transformation de certaines unités d'autodialyse en UDM. Ils avaient pour objectifs de faciliter l'accès à l'offre de soins et l'organisation des séances d'hémodialyse et d'améliorer la qualité des soins. Si les données recueillies informaient sur l'opérationnalité du projet, elles ne renseignaient pas toujours sur la localisation des UDM (distance entre le centre de dialyse et l'UDM), sur l'organisation des soins (description de l'organisation par télémédecine et du fonctionnement de l'UDM), ni sur l'activité des UDM (file active de patients et caractéristiques, nombre de postes et de séances par semaine, volumétrie des actes de télémédecine).

Les autres projets identifiés en France métropolitaine étaient les suivants :

- Huit projets de la télésurveillance des séances de dialyse réalisées à domicile, principalement pour la dialyse péritonéale, qui avaient pour objectifs l'amélioration du suivi du traitement des patients et la prévention de complications.



- Quatre projets concernaient les patients transplantés rénaux avec comme objectif principal l'amélioration de la qualité du suivi post-transplantation fondée sur le développement d'applications de téléconsultation et télé-expertise.
- Sept autres projets concernaient la mise en place de téléconsultations de néphrologie (en routine ou à la demande) concernant des patients en traitement de suppléance et des patients en IRC à différents stades de la maladie.

Enfin, le projet **e-chronic/e-Nephro** est une étude multicentrique conduite sur 3 régions - Lorraine, Nord-Pas-de Calais, Aquitaine - dans le cadre de l'appel d'offre Grand Emprunt. L'objectif principal est de démontrer l'efficacité (rapport coût-efficacité) d'un système de télémédecine, comparativement à une prise en charge traditionnelle, dans le cadre de la prise en charge des patients en IRC à différents stades de la maladie :

- Population 1 : chez les patients Insuffisants Rénaux Chroniques modérés à sévères ;
- Population 2 : chez les patients en IRCT traités par Dialyse Hors Centre ;
- Population 3 : chez les patients en IRCT traités par transplantation rénale.

Quatre axes visent à atteindre ces objectifs : la détection et la prévention, la télésurveillance, l'éducation thérapeutique, le suivi de l'observance.

La prise en charge est fondée sur la télésurveillance des patients en IRC utilisant un système d'information qui permet le partage des données entre intervenants auprès du patient et l'analyse des données cliniques et biologiques afin de réaliser les alertes appropriées. L'expérimentation a débuté le 01/03/2013 et la durée de l'étude est de 39 mois.

Dans les DOM-TOM la majorité des projets avaient pour objectifs l'amélioration de l'accès aux soins et de la qualité des prises en charge pour des populations géographiquement isolées. Ils concernaient :

- le développement d'UDM fonctionnant par télémédecine ;
- la mise en place de téléconsultations et de télé-expertises ;
- la télésurveillance médicale des séances d'hémodialyse et de dialyse péritonéale à domicile.

Au total, l'utilisation de la télémédecine dans le domaine de l'IRCT peut concerner toutes les modalités de traitement. Certains projets sont structurés et reposent sur des financements pérennes, alors que d'autres sont encore en phase d'expérimentation. Si plusieurs sources d'informations ont été mobilisées pour élaborer cet état des lieux, il semble cependant difficile de se prononcer sur l'exhaustivité des projets identifiés et sur les données relatives à leur état d'avancement.

A ce jour, très peu de projets a fait l'objet d'une évaluation sur les plans cliniques et économique et en termes de satisfaction des patients et des professionnels de santé.

A terme, la télémédecine devra donc être intégrée à la définition de nouvelles stratégies de prise en charge des patients traités pour IRCT. L'impact médico-économique de cette nouvelle forme d'organisation des soins devra également être évalué.

Tableau 61. Etat des lieux des projets de télémédecine dans la prise en charge des patients en IRCT en juillet 2014

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
Alsace	<b>Un projet concernant la transplantation rénale inscrit dans le SROS-PRS pour 2012-2016 et dans le PRT</b> : organisation d'un réseau de lecture des EEG 24/24 par un neurologue afin de diagnostiquer le passage en mort encéphalique et ainsi augmenter les possibilités de prélèvements.	Projet abandonné.
	Un autre projet identifié relatif au développement de la <b>télésurveillance dans la prise en charge des patients en dialyse péritonéale (AURAL)</b> .	Projet en cours de développement.
Aquitaine	Projets identifiés dans les SROS-PRS et le PRT  <b>2 UDM fonctionnant par télémédecine</b> : télésurveillance par transmission en temps réel de données de la séance de dialyse et téléconsultation <ul style="list-style-type: none"> <li>- Centre d'hémodialyse localisé à Bordeaux (CMTR St Augustin) et une UDM à Arès située à 75km (CMC Wallerstein).</li> <li>- Centre d'hémodialyse localisé à Delay (64) et UDM de Dax (40) - Juillet 2013</li> </ul> <b>Projet de suivi du patient transplanté rénal récent</b> (< 6 mois) au CHU de Bordeaux : téléconsultation par IDE référente (avec protocole de coopération).  <b>Projet e-chronic/e-Nephro<sup>1</sup></b> : étude multicentrique conduite sur 3 régions Lorraine, Nord-Pas-de Calais et Aquitaine	Projet à l'étude  Contrat signé en juillet 2013 – UDMT en fonctionnement  Projet non débuté  Participation au projet E-chronic e-nephro : contractualisation en cours de négociation
Auvergne	<b>2 projets identifiés par l'ARS dans le cadre de l'appel à projets télémédecine lancé en avril 2012</b> Ces projets sont mis en œuvre par AURA AUVERGNE et concernent : <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>L'hémodialyse</b> : téléconsultation et télésurveillance en unité d'autodialyse et requalification de certaines antennes d'autodialyse en UDM fonctionnant par télémédecine</li> <li>▪ <b>La dialyse péritonéale</b> : projet de télésurveillance (service de dialyse péritonéale de Vichy).</li> </ul>	Etat d'avancement en 2014 : <ul style="list-style-type: none"> <li>- Télésurveillance (système de visioconférence) sur l'unité de Courtais pour la phase d'expérimentation par l'antenne de l'Aura au centre hospitalier de Montluçon</li> <li>- En attente de la DMP compatibilité du dossier patient informatisé de dialyse en interface avec le générateur</li> </ul>

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
Basse-Normandie	<p><b>2 projets identifiés par l'ARS en 2012</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>1 UDM fonctionnant par télé-médecine</b> : transformation partielle d'une antenne d'autodialyse en UDMT (Argentan, ANIDER).</li> <li>▪ <b>1 projet de téléconsultation</b> : mise en place d'une consultation avancée de néphrologie par télé-médecine au CH de L'Aigle, qui n'en disposait pas ; la téléconsultation est assurée par une IDE (avec un protocole de coopération) ou par un médecin du CH de L'Aigle non néphrologue, avec un néphrologue situé sur le CHIC d'Alençon-Mamers ou le CH de Lisieux (ou les deux).</li> </ul>	Projets non fonctionnels en cours de développement
Bourgogne	<p><b>2 projets identifiés par l'ARS</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>UDM fonctionnant par télé-médecine</b> : projet concernant le CH d'Auxerre et l'UDM de Clamecy</li> <li>▪ <b>Projets de Télésurveillance</b> des séances d'hémodialyse réalisées en UDM, en unité d'autodialyse et des séances de DPA à domicile (AIDER). Le projet médical est basé sur l'expression des besoins des différents professionnels de santé impliqués dans le projet. Côté expert, (néphrologue du CH), une station de travail à double écrans, permettra de communiquer par vidéoconférence avec les patients dialysés et l'IDE sur le site de l'UDM. Le néphrologue pourra consulter des informations issues du dossier patient informatisé de l'UDM. Il pourra également à terme récupérer les données issues des générateurs de dialyse et des résultats de biologie ou encore d'imagerie médicale. Côté requérant (IDE de l'UDM), l'UDM est équipée d'un chariot (visioconférence) permettant la réalisation de téléconsultations.</li> </ul>	<p>Démarche qui reste à l'état de projet en l'absence d'avancée concrète dans la mise en œuvre de l'UDM de Clamecy.</p> <p>Inscrite dans le PRT (Maladies chroniques), la télésurveillance des séances d'hémodialyse réalisées en UDM a fait l'objet d'une série de travaux en mode projet au cours de 2013 et 2014. Avant la fin 2014, l'UDM de Montceau-les Mines sera reliée au centre de dialyse du CH de Mâcon et à celui du CH de Chalon sur Saône pour la réalisation de téléconsultations lors des séances de dialyse.</p> <p>Le projet organisationnel sera formalisé avant la fin de l'année 2014 à travers la signature des conventions inter-établissements et la signature des contrats de télé-médecine avec les structures impliquées. Basé sur la plateforme régionale de télé-médecine, le projet technique est quasi terminé avec des tests dans les prochaines semaines et une mise en production probable en octobre. Le financement de ce projet a été réalisé sur le Fonds d'Intervention Régional 2014 de Bourgogne.</p> <p>Une deuxième phase consacrée au développement de téléconsultations lors de prise en charge à domicile sera étudiée dès 2015.</p>

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
Bretagne	<p>Projets identifiés par l'ARS, inscrits dans le SROS-PRS et dans le PRT qui concernent le fonctionnement d'UDM par télémedecine et la mise en place de téléconsultations</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>Centre de dialyse du CH de St Brieuc</b> : 3 UDM fonctionnant par télémedecine situées à Lannion, Paimpol (opérationnelles) et Guingamp (prévu pour 2013).</li> <li>▪ <b>Centre de dialyse de Vannes</b> : projet d'UDM fonctionnant par télémedecine située à Tenenio mis en place par l'ECHO (Nantes)</li> <li>▪ <b>Téléconsultations</b> entre le centre de dialyse de Vannes (ECHO) et l'unité d'autodialyse de Belle-Ile</li> <li>▪ <b>Projet piloté par l'AUB de Rennes concernant une UDM située à Redon</b> : UDM existante depuis mi- 2013 et fonctionnement par télémedecine en cours de mise en œuvre.</li> </ul>	<p><b>CH St Brieuc</b> : 3 UDM fonctionnant par télémedecine opérationnelles - pas de nouveau projet</p> <p><b>Centre de dialyse de Vannes (ECHO)</b> : l'UDM (de 8 postes) fonctionnant par télémedecine à Tenenio est opérationnelle. Autre projet d'UDM fonctionnant par télémedecine située à AURAY qui ouvrira fin 2014.</p> <p>Téléconsultations : en fonctionnement</p> <p>Fonctionnement de l'UDM de Redon par télémedecine prévu pour 2014</p>
Centre	<p><b>3 projets identifiés par l'ARS en 2011</b></p> <p><b>1/ Télé-expertise</b> : suivi des patients transplantés rénaux de la Région Centre</p> <p>Projet pilote qui a débuté sous la forme d'un système de visioconférence entre le CHU de Tours et le CHR d'Orléans. Il permet d'analyser les dossiers médicaux de patients transplantés rénaux greffés à Tours, suivis conjointement par les médecins néphrologues du CHU de Tours et du CHR d'Orléans et dont l'état de santé pose problème. Dans un second temps, l'objectif est d'élargir ce dispositif de téléexpertise à l'ensemble des patients suivis dans la Région Centre.</p> <p>Le dispositif de téléexpertise se fonde sur un système de téléconférence organisé une fois par semaine avec le CHU de Tours pour le suivi des patients transplantés entre le CHR d'Orléans (45) et le CHU de Tours, centre de greffe</p>	<p>L'ensemble des installations sur lesquelles se fondent ces projets doit être finalisé d'ici la fin de l'année 2014</p>

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
	<p>(37).</p> <p><b>2/ UDM fonctionnant par télémedecine</b> : UDM de Châteaudun (28) et UDM Nogent Le Rotrou (28) (AIRPB) - UDM Les montées, Orleans (ATIRRO), UDM de Loches, (ARAUCO), UDM de Chinon (ARAUCO), UDM Oreliance, Orléans. UDM fonctionnant par <b>télésurveillance médicale</b> (accès sécurisé au dossier du patient par l'intermédiaire du portail « Santé-Centre » pour les Néphrologues habilités quelque soit leur localisation géographique) et organisation de <b>téléconsultations</b> (visioconférence par l'intermédiaire d'un prestataire -en attendant l'accès à une plateforme régionale).</p> <p><b>3/ Projet de développement d'une UDM fonctionnant par télémedecine</b> à Amilly (attente d'autorisation) dans l'objectif de transférer les patients en centre qui le peuvent et/ou veulent vers une prise en charge de proximité.</p>	<p>Le projet d'UDM fonctionnant par télémedecine située à Amilly est toujours en attente.</p>
<p><b>Champagne Ardenne</b></p>	<p>Pas de projet identifié dans le SROS-PRS ni dans le PRT</p> <p><b>Un projet d'UDM fonctionnant par télémedecine</b> identifié par la FEHAP en 2011.</p> <p>Ce projet qui concerne l'UDM de St Dizier (ARPDD) a été effectivement lancé dans le cadre de l'appel à projets 2012 financés par l'ARS : organisation de la télésurveillance des séances et de téléconsultations par les néphrologues de l'ARPDD localisés à Reims. L'organisation de télémedecine se fonde sur de la visioconférence et un dossier patient dialysé au niveau régional (hémodialyse).</p>	<p>Télésurveillance médicale des séances de dialyse effective en 2013 pour l'UDM de St Dizier (ARPDD)</p> <p>En 2014, <b>3 projets d'UDM fonctionnant par télémedecine</b> étaient en cours de déploiement dans les Ardennes, UDM de Bazeilles et UDM de Rosières et dans l'Aube, UDM de Romilly</p>

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
Corse	<p>Axes identifiés dans le PRT : mise en place d'un suivi médical à distance des séances de dialyse avec 6 services de dialyse à équiper et un service déjà équipé.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>1 projet de télésurveillance médicale et de téléconsultations</b> entre un centre de dialyse situé à Marseille (EJ) et l'unité d'autodialyse d'Aléria (Corse)</li> <li>▪ <b>1 projet d'UDM fonctionnant par télé médecine à Aléria (Corse)</b> (transformation d'une unité d'autodialyse en UDMT) organisée avec un centre de dialyse à Marseille (EJ)</li> <li>▪ <b>1 projet de télésurveillance médicale et de téléconsultations</b> entre la Polyclinique du Sud de la Corse (EJ) et un deuxième site géographique autorisé pour la modalité UDM à installer sur le CH de Sartène</li> </ul>	<p>Projet en fonctionnement</p> <p>Projet en fonctionnement</p> <p>Projet en cours de mise en place</p>
Franche-Comté	<p><b>3 projets identifiés portés par la fondation transplantation sur la région :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>2 UDM qui fonctionnent par télé médecine :</b> Lons le Saunier et Pontarlier à partir de sites distants (Dôle et Besançon)</li> <li>▪ 1 projet de <b>télésurveillance</b> des patients dialysés à domicile</li> <li>▪ 1 projet de <b>téléassistance</b> des infirmiers libéraux pour la prise en charge des patients dialysés à domicile</li> </ul>	<p>Les projets n'ont pas démarré.</p>
Haute Normandie	<p>1 projet entre l'UDM de la Clinique d'Yvetot et la Clinique de l'Europe : Télésurveillance et téléconsultation des patients de l'UDM en complément d'une surveillance et de consultations en présentiel.</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Projet inscrit dans l'autorisation de l'UDM</li> <li>- Investissement aidé par le FIR 2013</li> <li>- Démarrage prévu fin 2014</li> </ul>
Île-de-France	<p>Pas de projets identifiés dans le PRT Enquête FEHAP : l'AURA n'a pas identifié de projet ; de même pour la clinique Edouard Rist</p>	<p>Pas de projet : information confirmée par l'ARS</p>
Languedoc-Roussillon	<p><b>Projets conduits par l'AIDER :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>UDM fonctionnant par télé médecine (télésurveillance médicale et téléconsultations) en Aveyron :</b> entre l'UDM de Millau et le site superviseur</li> </ul>	<p>Long processus de conventionnement avec les établissements de recours en cas d'urgence lors de la dialyse en UDM qui s'est achevé en mars 2014. Reprise du processus d'instruction en vue de la</p>



Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
	<ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Ouverture d'une téléconsultation en UDM à Bar le Duc en mars 2013</li> <li>▪ Mise en place d'une téléconsultation sur le site de l'UDM de Thionville utilisée en l'absence du médecin néphrologue depuis juillet 2013</li> <li>▪ Projet de téléconsultation pour l'UDM de Sarreguemines et Saint Dié (mi-2014)</li> </ul> <p><b>3/ Projet de Télésurveillance des patients transplantés rénaux</b> Déploiement de la télésurveillance des patients transplantés rénaux en 2013, opérationnel à partir du 28/05/2013</p> <p><b>4/ Autre projet identifié par la FEHAP : Télésurveillance, téléconsultation et téléassistance en UDM et unité d'autodialyse assistée - (Metz, association St Anolué)</b></p> <p><b>Projet e-chronic/e-Nephro<sup>1</sup></b> : étude multicentrique conduite sur 3 régions Lorraine, Nord-Pas-de Calais et Aquitaine.</p>	<p>Opérationnel</p> <p>Pas d'informations précises sur l'état d'avancement des projets en 2014</p>
<b>Midi-Pyrénées</b>	<p>Pas de projet identifié dans le SROS-PRS et le PRT</p> <p>1 projet de <b>téléconsultation des patients dialysés sur une UDM</b> de 18 postes mixtes (9 privés, 9 associatifs) située à Saint-Gaudens.</p>	<p>Projet d'extension de cette activité à d'autres UDM de la région</p> <p>Réflexion autour de la mise en place d'un dispositif de télésurveillance des patients pris en charge en dialyse péritonéale.</p>
<b>Nord-Pas-de-Calais</b>	<p>Pas de projet précis identifié dans le PRT, en dehors de l'axe relatif à la poursuite du développement de la télé médecine pour les pathologies chroniques dont l'IRCT</p> <p><b>1 projet d'UDM fonctionnant par télé médecine</b> identifié par la FEHAP : à l'origine unité d'autodialyse, l'UDM de Coquelles fonctionne par télé médecine avec le CH de Boulogne sur Mer (Santélyls).</p> <p>1 projet de <b>téléconsultation et de télésurveillance des séances de dialyse</b> dans certaines structures de l'ADH (association pour le développement de l'hémodialyse) du bassin de Lens-Liévin</p>	<p>Le fonctionnement d'UDM par télé médecine est en cours d'extension dans d'autres UDM (Santelys) de la région du Nord-Pas-de-Calais et en Picardie.</p> <p>En cours</p>



Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
	<p><b>Projet e-chronic/e-Nephro<sup>1</sup></b> : étude multicentrique conduite sur 3 régions</p>	
<b>Pays de la Loire</b>	<p><b>Informations sur les axes de développement de la télémédecine en IRCT dans le PRT :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- Favoriser une prise en charge hors centre (en UDM) en développant la télédialyse : développer un projet pilote sur Trélazé (association ECHO)</li> <li>- Optimiser le suivi des patients greffés rénaux et insuffisants rénaux (Protocole Hospitalier de Recherche Clinique (2011) pour le développement du suivi des patients greffés par télémédecine.</li> <li>- Accompagner les acteurs dans l'usage de la télémédecine pour le suivi de l'IRC</li> <li>- Renforcer l'appui au 1er recours et son accès à l'expertise néphrologique</li> <li>- Suivi des patients IRC (pas de projet fléché)</li> </ul> <p><b>4 UDM fonctionnant par télémédecine</b> depuis le centre de dialyse de la Roche/Yon : UDM de La Roche/Yon, Challans, Fontenay Le Comte, Ile d'yeu (pour ce dernier, démarrage en novembre 2013)</p> <p><b>3 UDM fonctionnant par télémédecine :</b> UDM de Trelazé - ECHO Anger, UDM de La Baule - CH St Nazaire, A Nantes l'UDM de l'ECHO (site du Confluent) -</p> <p><b>Télesurveillance des séances de dialyse</b> de l'UDM de St Pierre et Miquelon assurée par l'ECHO du Mans (Pôle santé Sud)</p>	Projets en fonctionnement
<b>Picardie</b>	<p>Pas de projet identifié dans le SROS-PRS et PRT</p> <p><b>Projets d'UDM qui fonctionnent par télémédecine :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ UDM de Senlis (Santelys) et le centre de dialyse de Creil (GHPSO)</li> <li>▪ UDM de Saint Quentin (Santelys) et UDM de Chauny (Santelys)</li> <li>▪ UDM de Guise (Santelys) et le centre de dialyse de Saint Quentin (CH Saint</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>- Echéance de démarrage prévue début 2015</li> <li>- Echéance de démarrage prévue début 2015</li> <li>- Echéance : 2016 (délai lié à la construction de l'UDM)</li> </ul>

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
	Quentin)	
Poitou- Charentes	<p><b>Eléments fournis par l'ARS en 2012</b></p> <p>La prise en charge des patients traités par dialyse ou greffe rénale concerne les ESPIC (AURA Poitou-Charentes et ADA 17) ainsi que les centres hospitaliers des 5 territoires de santé (CHU de Poitiers et les CH d'Angoulême, La Rochelle, Niort, Saintes). Bien qu'il y ait un consensus en faveur de la télémedecine pour répondre à des problématiques de démographie médicale, d'éloignement géographique, de maîtrise des dépenses, aucun projet n'était formalisé en 2012</p> <p>En 2013, <b>projet de téléconsultation en UDM</b> en cours d'élaboration à l'AURA PC avec l'aide du GCS e-sante : actuellement, 2 départements sont concernés (Charente et Vienne). Le projet médical est finalisé, le projet de service est quasiment terminé :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ UDM de Châteaubernard (AURA PC) et le CH d'Angoulême</li> <li>▪ UDM de Châtelleraut (AURA PC) et l'UDM de Saint-Benoît (AURA PC)</li> </ul> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ UDM-unité d'autodialyse (Parthenay et Bressuire de l'AURA PC) et l'UDM de Niort (AURA PC)</li> <li>▪ l'UDM de La Couronne (AURA PC) et le CH d'Angoulême</li> </ul>	<p>Projet lancé depuis 2013 et opérationnel à partir de septembre 2014</p> <p>Prévisions 2015 - 2016</p>

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
PACA	<p>Eléments identifiés en 2011-2012 dans le PRT et par la FEHAP ; actualisation par l'ARS</p> <p><b>Mise en place de plusieurs UDM fonctionnant par télémedecine (télésurveillance médicale et téléconsultation) ou télésurveillance des séances de dialyse en UDM :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ UDM du Centre d'hémodialyse des Alpes sites de Manosque, Digne, Sisteron</li> <li>▪ UDM (AVODD) située à Brignoles : en cours de mise en place</li> <li>▪ UDM Marignane et Salon de Provence (Diaverum) (en projet)</li> <li>▪ UDM de Cavaillon et unité d'autodialyse d'Apt (Ch Avignon)</li> <li>▪ UDM située en Corse : télésurveillance de la séance et téléconsultation en l'absence de médecin néphrologue sur le site (ATUP-C)</li> </ul> <p><b>Télésurveillance des patients traités par DP à domicile :</b></p> <p>Par ailleurs, 1 projet de <b>télésurveillance en DP</b> (ADPC)-</p>	<p>UDM de Digne et Sisteron. Dispositif opérationnel. Contrat télémedecine signé.</p> <p>Dispositif opérationnel. Contrat télémedecine signé</p> <p>Dispositif opérationnel. Contrat télémedecine signé</p> <p>Dispositif en cours de mise en œuvre. Contrat télémedecine en cours</p> <p>Contrat télémedecine signé</p> <p>A priori en fonctionnement ; pas de dossier déposé à l'ARS PACA par l'ADPC</p>
Rhône-Alpes	<p><b>Projets identifiés par l'ARS et la FEHAP</b></p> <p><b>3 UDM fonctionnant par télémedecine :</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ Sites de Vienne/Lyon/Vénissieux - Calydial : en fonctionnement</li> <li>▪ Site de Oyonnax (Ain) – AURA Lyon</li> <li>▪ En Isère – AGDUC</li> </ul> <p><b>1 projet de télésurveillance des patients en DP :</b> sites de Lyon-Vienne organisé par Calydial et fondé sur le système du stylo intelligent permettant la transmission des données de surveillance</p> <p>1 projet complémentaire identifié dans le cadre de projets innovants de</p>	<p>UDM fonctionnant par télémedecine : en fonctionnement</p> <p>En fonctionnement</p> <p>Expérimentation en cours qui porte sur le télésuivi à domicile de patients insuffisants rénaux chroniques de stade 3 ou 4 à haut risque cardio-vasculaire (étude PREQHOS - projet SANTELME).</p>

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
	télesurveillance à domicile pour améliorer le suivi des patients atteints d'insuffisance rénale chronique (non terminale). CHU Grenoble, AGDUC, CALYDIAL	
<b>Guadeloupe</b>	<p><b>Informations sur les axes de développement de la télémédecine en IRCT.</b> L'objectif est l'amélioration de l'accessibilité aux soins et de la qualité des prises en charge des populations géographiquement isolées : déploiement de la télémédecine par l'établissement sanitaire de référence (CHU de Pointe à Pitre), auprès des territoires les plus isolés (Iles de Saint Martin, de Saint Barthélémy et de Marie Galante).</p> <p>Autre projet identifié par la FEHAP : UDM St Martin, AUDRA</p>	<p>La télémédecine est opérationnelle à Saint-Martin mais n'est pas utilisée par les médecins de l'association. L'antenne de Saint Barthélémy est fermée. La télémédecine sera déployée dans les autres unités en 2014 et 2015 (respectivement Marie Galante, Capesterre puis Le Moule). Son déploiement sera favorisé par la mise en œuvre d'un système d'information sur l'ensemble du territoire.</p>
<b>Martinique</b>	<p>L'objectif de déploiement de la télémédecine dans le cadre de la prise en charge des patients en IRCT est fléché dans le PRT mais aucun projet n'a été identifié. Par ailleurs, un projet sur le site de Trinité porté par l'Atir est en cours de mise en œuvre</p>	<p>Aucun projet déposé à l'ARS</p> <p>Projet non finalisé</p>
<b>Guyane</b>	Projet d'installation d'une UDM fonctionnant par télémédecine à Saint-Laurent du Maroni, par l'ATIRG : télésurveillance, téléconsultation et télé-expertise par le médecin néphrologue de l'ATIRG situé à Cayenne	Installation du système de télédialyse prévu courant 2ème semestre 2012 : Cayenne- Saint-Laurent du Maroni (Guyane Française)

Régions	Projets ou expérimentations identifiées	Etat d'avancement en 2014
Océan Indien - (La réunion + Mayotte)	<p>2 projets pilotés par l'AURAR</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>Hémodialyse</b> : téléconsultation et télésurveillance des patients en UDM, en autodialyse et en hémodialyse à domicile : mise en place d'une interface entre le générateur et le dossier du patient informatisé permettant d'intégrer l'ensemble des données en cours de séance + système expert intégré+ système de visioconférence</li> <li>▪ <b>-Dialyse péritonéale</b> : projet de télésurveillance à domicile intégré (récupération des données du cycleur+données de surveillance + gestion des stocks+messagerie sécurisée)</li> </ul> <p>2 autres projets pilotés par l'ASDR :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ <b>Téléconsultation</b> : permettre aux néphrologues de réaliser des téléconsultations sur les centres distants (St Leu, La Possession), depuis Ste Clotilde, interconnectés via le R2S (projet inscrit au CPOM 2012 – 2017)</li> <li>▪ <b>Télésurveillance des patients dialysés à domicile</b> : expérimentation de télésurveillance d'un patient dialysé à domicile</li> </ul>	
Polynésie Française - Outre mer	<p>2 projets d'UDM fonctionnant par télémedecine identifiés par la FEHAP :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>▪ UDM Raiatea (APURAD) : île située à 200 km de Tahiti</li> <li>▪ UDM Papeete ou périphérie (APURAD)</li> </ul>	Pas d'informations précises sur l'état d'avancement des projets en 2014
Nouvelle Calédonie		Aucune information

## **7. Avis du groupe de travail et conclusions de la HAS**

### **7.1 Avis du groupe de travail**

#### **► Revue de la littérature sur l'évaluation médico-économique de la prise en charge des patients en IRCT**

Le groupe de travail approuve les conclusions qui ont été tirées de l'analyse de la littérature.

Il s'accorde sur le fait que la revue de la littérature montre l'intérêt médico-économique de développer la transplantation rénale. Le groupe de travail précise, qu'en l'état actuel, le développement de la transplantation repose sur l'augmentation du nombre de donneurs décédés et vivants. Il souligne que ces questions devaient être abordées dans une perspective intégrant une dimension éthique.

Considérant la faible qualité méthodologique des études, l'hétérogénéité des techniques et/ou modalités de prise en charge comparées, le groupe de travail s'accorde sur le fait que les résultats de la revue de la littérature ne permettent pas de conclure de façon globale concernant l'efficacité d'une technique d'épuration extra-rénale par rapport à une autre (hémodialyse et dialyse péritonéale). Il souligne en outre, que les études cliniques ne permettent pas clairement de trancher sur la question de l'efficacité entre les deux techniques d'épuration extra-rénale.

Le groupe de travail reconnaît la non pertinence de préconiser la mise en place d'études économiques de bonne qualité méthodologique dans la mesure où la principale difficulté provient de l'absence d'études cliniques de niveau de preuve élevé. De telles études ne peuvent pas aisément être mises en œuvre compte tenu des déterminants à prendre en compte dans le choix du mode de traitement.

S'il n'y a pas de consensus sur la « meilleure modalité » de traitement, en dehors de la transplantation rénale, et que les modalités de traitement ne sont pas toujours en concurrence pour un patient donné, le groupe de travail s'accorde pour reconnaître que les différentes techniques et/ou modalités sont, le plus souvent, complémentaires.

Dans la mesure où les techniques et méthodes de traitement ne sont pas complètement substituables, le groupe de travail s'accorde sur le fait qu'explorer les séquences de traitement (trajectoires) et ne pas procéder par analyse comparative entre différentes techniques et modalités de prise en charge constitue une approche novatrice par rapport à ce qui a pu être identifié jusqu'à présent dans la littérature. Cependant, les membres du groupe de travail soulignent que cette approche relève d'une recherche exploratoire à part entière dont, par définition, la pertinence des résultats n'est pas garantie a priori.

Il souligne que les enjeux éthiques soulevés par le traitement en dialyse mériteraient d'être pris en considération, au même titre que ceux liés au développement de la transplantation rénale.

► **Etude du coût de la prise en charge des patients en IRCT selon la modalité de traitement**

Le groupe de travail souligne l'importance de cette étude qui analyse le coût de prise en charge des patients en IRCT, dans le contexte organisationnel français, selon 9 modalités de traitement et non uniquement selon la technique. Il souligne également que les résultats confirment la nécessité d'étudier les facteurs de variation du coût de traitement : caractéristiques cliniques des patients (âge et comorbidités), leur statut (incident, prévalent) ou leur état (transplanté, décédé) sur la période de l'étude.

Cette étude, fondée sur les données exhaustives du SNIIRAM-DCIR chaînées aux données du PMSI pour l'année 2009 a permis de mettre en évidence la richesse des informations mais aussi, leur complexité et les limites d'utilisation de ces données de facturation dans le cadre d'une évaluation médico-économique.

Le groupe de travail attire particulièrement l'attention sur les différences de financement des soins entre les établissements publics et privés qui sont à prendre en considération dans l'interprétation de la répartition des coûts par postes, sachant que dans le public (ex-dotation globale), le GHS prend en compte à la fois la séance de dialyse, les honoraires du médecin qui surveille la dialyse, la pharmacie, la biologie alors que dans le privé, la tarification de la séance de dialyse est faite par la facturation d'un forfait payé à l'établissement et la facturation d'un acte pour le médecin qui surveille la séance de dialyse et de toutes les autres consommations de soins.

L'étude a été conduite du point de vue de l'Assurance maladie ; le groupe relève cependant l'absence de prise en compte des arrêts de travail. Il reconnaît toutefois que leur impact en termes de coûts peut être jugé faible compte tenu de l'âge moyen de patients en traitement de suppléance.

D'un point de vue méthodologique, cette étude met en évidence l'importance de prendre en compte le temps passé dans les modalités de traitement sur la période de l'étude et de distinguer les coûts de prise en charge, des coûts additionnels liés aux changements dans la trajectoire de soins des patients (démarrage du traitement par dialyse, transplantation, décès).

En particulier, les résultats de l'étude montrent la nécessité d'évaluer le coût de la dialyse péritonéale en fonction de la technique (DPA et DPCA) mais aussi de l'organisation de la prise en charge (assistance ou non d'une infirmière) comme cela est habituellement fait pour les traitements en hémodialyse. Ce constat permet de souligner à nouveau la difficulté de transposer les résultats des études de coûts étrangères dans le contexte français.

Pour la transplantation rénale, il regrette que les caractéristiques des données n'aient pas permis de distinguer le coût d'une greffe à partir d'un donneur décédé et à partir d'un donneur vivant.

Concernant les résultats de l'étude et le classement des modalités de traitement, certains experts remettent en cause la couverture des coûts réels par les tarifs de dialyse péritonéale qu'ils estiment trop faibles ce qui entraîne artificiellement un coût moindre pour les patients traités par cette technique.

Il est également souligné que cette étude de coûts, fondée sur la prise en charge globale d'un patient ne distinguant pas ce qui revient directement au traitement de l'IRCT, de ce qui revient aux comorbidités associées ou aux événements intercurrents,

n'a pas pu rendre compte de la prise en charge pluridisciplinaire, par exemple chez certains patients âgés en traitement de suppléance.

Le groupe de travail a discuté des évolutions potentielles ayant pu intervenir depuis 2009 concernant les coûts et les caractéristiques des patients qui pourraient affecter la transposabilité dans le temps de l'estimation du coût de prise en charge par modalité de traitement :

- variation des coûts : par exemples, l'évolution des forfaits et le coût des nouveaux traitements immunosuppresseurs ;
- évolution de l'âge moyen des patients et de leurs comorbidités qui pourraient avoir un impact à la hausse sur les coûts de prise en charge.

Dans cette optique, le groupe de travail a souligné l'importance de la mise en place d'un entrepôt de données regroupant des données médico-économiques relatives à la prise en charge de l'IRCT qui pourront être actualisées chaque année.

## ► **Evaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'IRCT en France**

### **Méthodologie**

Le groupe de travail s'accorde sur le caractère innovant d'une approche par trajectoires des patients prenant en compte le temps passé dans différentes modalités de traitement pour évaluer les stratégies de prise en charge des patients en IRCT en tenant compte des dimensions cliniques et économiques, plutôt qu'une analyse comparative des modalités de traitement deux à deux.

Il souligne l'intérêt du développement d'un outil permettant de modéliser l'impact médico-économique sur 15 ans, de modifications dans les stratégies de prise en charge portant sur la trajectoire d'un certain volume de patients dans dix modalités de traitement.

Le groupe de travail reconnaît qu'en l'absence d'essai randomisé comparant l'ensemble des modalités de traitement, les données du registre REIN utilisées dans le modèle pour mesurer les états de santé sont les meilleures données disponibles. Tout en rappelant les limites d'interprétation de résultats fondés sur des données observationnelles, il souligne que la prise en compte de l'âge et du statut diabétique a permis d'intégrer les principaux déterminants de l'espérance de vie dans ces populations.

Pour le groupe de travail, la visualisation graphique de l'évolution de la part relative des différentes modalités de traitement au cours du temps renforce le côté didactique du modèle. Le choix de travailler avec dix modalités de traitement a permis d'affiner les stratégies simulées et leur impact organisationnel, au plus proche de la réalité de terrain. En outre, le groupe de travail a apprécié la souplesse du modèle permettant de simuler un nombre important de stratégies, de moduler l'horizon temporel, d'intégrer la simulation de transferts anticipés, de mettre en œuvre des analyses de sensibilité en scénario ou sur la mortalité.

Les stratégies ont été définies par sous-populations afin de tenir compte des caractéristiques principales des patients. Le groupe de travail s'accorde sur le choix de définir des stratégies pertinentes, potentiellement différentes, en fonction de six sous-



populations ; cela renforce l'hypothèse de substituabilité des modalités de traitement entre elles. Il souligne en outre, que les axes d'évolution de la prise en charge actuelle ont été déterminés en tenant compte de niveaux de modifications « raisonnables », sans entraîner de perte de chance *a priori*.

Bien que la définition des stratégies évaluées dans cette modélisation résulte d'un consensus avec les experts du groupe, ces derniers ont souhaité mettre en avant certains points :

- Tous les scénarios n'ont pas été modélisés ; selon certains la part de l'autodialyse aurait pu être encore plus augmentée.
- Il n'y avait pas réellement de consensus du groupe de travail sur le développement de la transplantation rénale chez les patients âgés de 45 à 69 ans à partir de donneurs vivants et chez les patients de plus de 70 ans, à partir de donneurs décédés et de donneurs vivants, en raison de l'incertitude importante avancée par certains experts sur le bénéfice réel et la durée de vie post greffe, ainsi que sur les questions éthiques que cette problématique soulève. A noter, un avis minoritaire en faveur de la transplantation à partir de donneurs vivants dans ces groupes d'âge.
- Pour les patients diabétiques du groupe 18-44 ans les stratégies n'ont pas pris en compte le cas d'une double greffe rein-pancréas, traitement de choix pour certains de ces patients, le coût additionnel d'une greffe de pancréas n'ayant pas été évalué car en dehors du périmètre de l'étude.
- Seule l'utilisation des machines à perfusion chez les personnes-âgées dans le cadre du développement d'un programme « old-for-old » a été pris en compte dans la présente étude alors que les perspectives tendent plutôt à un déploiement large de ces machines dans toutes les tranches d'âge afin de tenir compte de l'état des donneurs disponibles.
- La stratégie relative au développement de l'hémodialyse quotidienne ne rend pas compte de l'impact sur les résultats de santé et sur les coûts de l'utilisation des nouveaux générateurs de dialyse (petite taille avec faible débit de dialysat) en l'absence de données existantes. Le développement de ces nouvelles machines pourrait relancer l'orientation des patients vers le domicile, ce qui n'est peut-être pas suffisamment intégré dans les stratégies modélisées où seul un faible volume de patients est concerné.
- La définition des stratégies relatives au développement de l'UDM de proximité ne prend pas en compte l'impact du déploiement des UDM depuis 2009, l'évolution de leur localisation (adossées aux centres de dialyse ou pas) et leur mode de fonctionnement, en particulier, l'utilisation de la télémédecine ; seule une diminution des coûts de transport a été simulée.

Les principales limites méthodologiques du modèle mises en évidence par le groupe de travail concernaient :

- La durée d'observation sur 15 ans et son impact sur les résultats du modèle a été largement débattue par les experts du groupe, soulignant qu'un horizon temporel

long favorise toujours la greffe dont le coût est moindre après la première année. Afin de mieux évaluer l'impact des stratégies de démarrage en dialyse péritonéale, des scénarios ont été construits sur une période de 3 ans chez les patients jeunes.

- L'absence de données d'utilité pour les dix modalités de traitement a empêché la mise en œuvre d'une évaluation prenant en compte l'impact des stratégies sur la qualité de vie.
- Le constat selon lequel 50 % des patients ont plus de 70 ans aurait pu justifier la segmentation en deux groupes des patients âgés de plus de 70 ans.
- Le déplacement d'un certain volume de patients vers un nouveau compartiment (définition d'une stratégie) n'induit pas de changement de ce compartiment d'arrivée. Cela est lié à l'effet mécanique du modèle selon lequel, par construction, tous les patients d'un même compartiment ont les mêmes caractéristiques et les mêmes taux de transition. Par cet effet mécanique du modèle, les patients vont avoir la même espérance de vie et les mêmes coûts de prise en charge que ceux du compartiment d'arrivée, indépendamment de leurs caractéristiques (hypothèse d'un « réservoir de patients » transférable). De ce fait, dans la simulation, pour chaque sous-groupe de patients, l'espérance de vie estimée est essentiellement liée à celle observée dans chaque modalité de traitement, indépendamment du profil des patients.
- L'accès à la liste d'attente de greffe n'a pas été pris en compte dans la modélisation.
- L'utilisation de la télémédecine dans la prise en charge des patients en UDM ou traités par dialyse péritonéale (en particulier, télésurveillance des séances et téléconsultations) n'a pas pu être modélisée en raison de l'absence de données disponibles.

### Résultats de l'évaluation médico-économique

Le groupe de travail exprime tout d'abord son avis sur les différentiels d'espérance de vie entre les stratégies évaluées. Il estime que, d'un point de vue clinique, ce différentiel est non interprétable. Compte tenu des biais liés aux données observationnelles prises en compte dans le modèle, aucune relation de causalité ne peut être établie entre les stratégies et l'espérance de vie. Il rappelle également que par construction, les stratégies alternatives en dialyse ont été définies pour maintenir une espérance de vie comparable. En effet, la stratification par âge et statut diabétique et l'hypothèse de marge de manœuvre ont conduit à définir des stratégies alternatives faisables sans perte de chance.

Le groupe de travail considère que l'impact sur les coûts de prise en charge à 15 ans entre les différentes stratégies simulées, en dehors de la greffe, est relativement faible. Les experts observent cependant que les différentiels de coûts correspondent à un coût global moyen par patient sur 15 ans et qu'il faudrait simuler l'impact global sur une période en fonction d'une population cible potentielle ou d'un volume de patients cumulé chaque année.

Concernant les données utilisées dans le modèle et la transposabilité des résultats dans le temps, le groupe de travail souligne l'évolution :

- de l'âge moyen des patients et de leurs caractéristiques cliniques ;
- de la répartition des patients entre les modalités de traitement depuis 2009, en particulier concernant la DPA et les UDM ;
- du profil des patients par modalités de traitement lié aux stratégies « volontaristes », et potentiellement la sélection moins stricte des patients vers la dialyse hors centre ou la transplantation.

Il estime que ces évolutions auront potentiellement un impact sur le coût global de prise en charge et également sur les différentiels de coûts entre les stratégies évaluées.

### **Faisabilité des changements envisagés dans les stratégies de prise en charge évaluées**

Le groupe de travail met tout d'abord en avant que la mise en œuvre de ces stratégies est conditionnée par la disponibilité de greffons rénaux (dont les possibilités de développement ont été étudiées dans le premier volet de cette étude) et par la disponibilité et l'accessibilité à une offre de soins complète des modalités de traitement en dialyse.

Il attire également l'attention sur le vieillissement des patients et l'évolution de leur profil en termes de comorbidités qui pourraient limiter l'application de certaines stratégies.

Il précise également que les stratégies de développement conjoint de la dialyse péritonéale et de l'hémodialyse hors centre, en particulier le développement de la dialyse péritonéale au démarrage avec un transfert préparé en hémodialyse à domicile, imposent que les mêmes équipes de prise en charge soient formées à la fois la dialyse péritonéale et à l'hémodialyse. La stabilité des équipes est en effet jugée comme primordiale dans la continuité d'une prise en charge à domicile et dans le transfert préparé des patients. Il précise également que le « transfert préparé » des patients (de la dialyse péritonéale vers l'hémodialyse mais aussi entre modalités de traitement en hémodialyse) repose essentiellement sur des critères cliniques, mais doit être anticipé d'un point de vue organisationnel afin de limiter les replis en urgence.

D'un point de vue plus général, selon le groupe de travail, la complémentarité des modalités de traitement doit faire l'objet d'une réflexion qui pourrait aboutir à un assouplissement de la réglementation concernant les conditions techniques de fonctionnement afin qu'une même structure de soins, qui dispose des autorisations d'activités, puisse proposer plusieurs modalités de traitement à un même patient selon l'évolution de sa condition clinique.

Le groupe de travail signale que l'impact des changements simulés dans les stratégies évaluées sur la rentabilité des structures de soins, en particulier, l'augmentation de l'activité de dialyse péritonéale, impulse d'envisager une révision éventuelle des forfaits et tarifs de dialyse.

Il met en évidence l'absence de prise en compte, du point de vue des fournisseurs de soins, des coûts d'investissement en termes organisationnel et structurel, nécessaires à la mise en œuvre des changements de prise en charge simulés.

Il remarque que les stratégies de développement de l'UDM de proximité simulées dans cette étude confirment que le coût de transport est une variable d'ajustement déterminante du coût global de traitement. Il estime qu'une réflexion globale sur les coûts de transport, et plus formellement sur l'incitation à la dialyse de proximité ou à domicile, permettrait de diminuer le coût global de traitement des patients en IRCT.

Enfin, le groupe de travail rappelle que la plupart des stratégies simulées sont conditionnées par une bonne information des patients et une prise en charge organisée en amont des traitements de suppléance. Compte tenu des coûts des traitements de l'insuffisance rénale terminale, toute intervention de prévention en amont du stade terminal permettant de stabiliser voire réduire le nombre de patient traités devrait s'avérer une stratégie efficiente.

## **Conclusion**

En conclusion, le groupe de travail souligne que ce travail a le mérite de rendre compte de la complexité de la prise en charge des patients traités pour IRCT.

Le groupe de travail préconise une utilisation prudente des résultats de cette évaluation à des fins de planification ou de surveillance des pratiques. Il rappelle l'importance de tenir compte du choix des patients, de leurs caractéristiques cliniques, des compétences disponibles et de la faisabilité d'un changement important dans les pratiques de prise en charge.

Il rappelle que l'approche développée sur laquelle se fonde cette évaluation vise à évaluer les conséquences de modifications de la part relative des différentes modalités de traitement au cours du temps au sein d'une cohorte, et non à simuler l'impact d'une trajectoire à l'échelon individuel ou la réorientation complète d'une cohorte de patients vers une modalité de traitement. L'objectif n'était donc pas d'évaluer si le patient était pris en charge dans la « bonne » modalité de traitement ou d'aboutir à une typologie permettant d'orienter de façon « automatique » un patient vers une trajectoire prédéfinie.

Pour le groupe de travail, c'est un travail essentiel permettant de nourrir la réflexion sur l'évolution des stratégies de prise en charge des patients traités pour IRCT qui pourra servir de socle à des études plus fines conduites au niveau régional prenant en compte les contraintes d'offre de soins.

## 7.2 Conclusions de la HAS

Vu la saisine de la Caisse nationale d'Assurance Maladie des Travailleurs Salariés (CNAMTS) et de la Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS) qui ont souhaité que la HAS évalue l'efficacité de différentes stratégies de prise en charge de l'IRCT fondées sur les trajectoires des patients entre les modalités de traitement, en tenant compte des possibilités d'évolution par rapport à la situation actuelle, en particulier, le développement de la transplantation rénale, les alternatives à l'hémodialyse en centre, et la prise en charge à domicile,

Vu les analyses présentées dans l'argumentaire intitulé « *Evaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France* », dont le modèle économique qui documente directement l'efficacité des stratégies de prise en charge, en tenant compte de leur efficacité et du coût global de prise en charge, à partir des données du registre REIN et de celles de l'Assurance maladie,

Vu la conclusion proposée par le groupe de travail et les commentaires du groupe de lecture,

Vu le premier volet de ce rapport consacré spécifiquement à l'analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale, publié en 2012,

La Haute Autorité de Santé adopte les conclusions ci-dessous, sur proposition de la Commission d'Evaluation Economique et de Santé Publique. Ces conclusions ont pour objectif de documenter le coût de la prise en charge de l'IRCT selon les différentes modalités de traitement disponibles en France et l'efficacité de scénarios d'évolution dans la prise en charge des patients traités pour IRCT, à destination des pouvoirs publics, des professionnels de santé et des usagers.

S'appuyant sur une méthodologie d'évaluation médico-économique, ces conclusions tiennent compte des connaissances cliniques et économiques disponibles.

### **Premièrement,**

Considérant l'hétérogénéité des caractéristiques des études publiées et leur faible qualité méthodologique, et dès lors l'impossibilité à partir de la littérature de conclure quant à l'efficacité d'une technique de traitement par rapport à une autre,

Considérant la nécessité de prendre en compte dans l'évaluation médico-économique les possibilités pour les patients de changements de modalités de traitement au cours du temps et donc d'envisager l'ensemble des modalités de traitement de l'IRCT comme des alternatives en partie complémentaires dans le temps,

Considérant l'étude du coût de la prise en charge des patients en IRCT qui a montré l'importance de prendre en compte les modalités de traitement (notamment, le lieu de prise en charge et l'environnement médical et paramédical et non uniquement la

technique de traitement), et d'analyser les facteurs de variation du coût en fonction des caractéristiques cliniques des patients et de leur position dans la trajectoire de soins (démarrage du traitement, changement de traitement, décès),

La Haute Autorité de Santé conclut que l'outil de modélisation développé :

- a permis de prendre en compte, selon le profil des patients, les changements de modalités de traitement au cours du temps et les variations de coûts, et de simuler des modifications dans les stratégies de prise en charge portant sur la trajectoire d'un certain volume de patients dans les dix modalités de traitement, ce qui constitue une approche novatrice dans le domaine de la néphrologie ;
- a permis, à partir de données populationnelles, d'évaluer l'efficacité sur 15 ans de la stratégie fondée sur les pratiques actuelles et celle de stratégies alternatives simulées sans remettre en cause la liberté de choix des patients de leur modalité de traitement ;
- a permis de montrer la complexité de la prise en charge de patients atteints d'une maladie chronique dont l'état de santé et les choix peuvent évoluer dans le temps et l'intérêt d'une approche par trajectoire ; cette complexité se traduit par des résultats moins contrastés que ceux des études comparant des modalités en considérant les traitements comme parfaitement substituables.

## **Deuxièmement,**

Considérant que le modèle permet d'évaluer le coût global et l'espérance de vie restreinte sur 15 ans de stratégies fondées sur les pratiques observées entre 2002 et 2010 pour 6 groupes de patients,

Considérant que cet outil a permis d'évaluer l'efficacité de stratégies alternatives définies sur 15 ans à partir de modifications de la distribution initiale observée des patients dans les différentes modalités de traitement (démarrage du traitement) et/ou de modifications des taux de transition entre les modalités de traitement, sur des intervalles de temps donnés (modification dans les trajectoires de soins),

Considérant l'hypothèse de l'existence d'un réservoir de patients pris en charge initialement en hémodialyse en centre qui pourraient démarrer leur traitement de suppléance dans d'autres modalités de traitement et l'hypothèse de transposabilité partielle entre certaines modalités de traitement au sein d'un même groupe de patients,

Considérant que les stratégies alternatives ont été définies en fonction de quatre axes majeurs d'évolution de la prise en charge aux dépens de l'hémodialyse en centre : développement de la transplantation rénale ; développement de l'hémodialyse hors centre ; préférence des patients pour des prises en charge qui favorisent leur autonomie et le traitement à domicile ; développement de la dialyse péritonéale et prise en compte dans les stratégies simulées de transferts préparés vers une autre modalité de traitement,

Considérant que les axes d'évolution de la prise en charge actuelle ont été déterminés en tenant compte de niveaux de modification « raisonnables », sans entraîner de perte de chance a priori,

Considérant qu'il existe une incertitude liée à l'utilisation de données observationnelles sur les résultats de santé et de coûts, en raison des biais d'indication liés au choix des traitements en fonction des profils de patients,

La Haute Autorité de Santé conclut :

- qu'en accord avec le groupe de travail, les résultats du modèle concernant les différentiels d'espérance de vie très faibles entre les stratégies comparées sur 15 ans doivent être interprétés avec précaution, d'autant que par construction, les stratégies alternatives ont été définies pour maintenir une espérance de vie comparable,
- que le développement de la transplantation rénale est une stratégie efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées dans toutes les sous-populations de patients :
  - parmi les différentes stratégies évaluées développant la transplantation chez les jeunes et les patients d'âge intermédiaire non diabétiques, le rapport coût-efficacité est le plus favorable pour une stratégie conjointe de développement du donneur décédé et du donneur vivant ;
  - que chez les receveurs de plus de 70 ans la stratégie fondée sur l'utilisation de machines à perfusion dans le cadre du développement de la transplantation à partir de greffons appariés sur l'âge est efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies de dialyse évaluées ;
  - que le développement des stratégies fondées sur la transplantation est limité par le nombre de greffons disponibles et doit tenir compte de la concurrence entre les sous-populations de patients ;
- que les stratégies fondées sur le développement conjoint de l'hémodialyse hors centre et de la dialyse péritonéale sont également efficaces par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées. Ces stratégies concernent plus particulièrement :
  - le développement conjoint au démarrage de la dialyse péritonéale non assistée et de l'autodialyse dans les trajectoires des patients âgés de 45 à 69 ans non diabétiques ;
  - le développement conjoint au démarrage de la dialyse péritonéale non assistée et de l'UDM de proximité<sup>103</sup> dans les trajectoires des patients âgés de 45 à 69 ans diabétiques ;
  - le développement conjoint au démarrage de la dialyse péritonéale assistée et de l'UDM de proximité dans les trajectoires des patients âgés plus de 70 ans diabétiques ;

---

<sup>103</sup> Dans les stratégies simulées, l'UDM de proximité est caractérisé par un coût de transport identique à celui observé pour l'autodialyse.

- que le développement de l'UDM de proximité avec un transfert préparé vers l'hémodialyse en centre simulé après 5 ans chez les patients de plus de 70 ans diabétiques, s'avère également être une stratégie efficiente par rapport à l'ensemble des stratégies évaluées dans ce groupe de patients,
- que le développement de ces stratégies fondées sur le développement conjoint de l'hémodialyse hors centre et de la dialyse péritonéale est conditionné par la faisabilité en termes de disponibilité et d'accessibilité de l'offre de soins en dialyse et de possibilités de réorientation forte des patients,
- que d'autres stratégies alternatives à la prise en charge actuelle privilégiant la dialyse hors centre méritent d'être considérées, car elles sont aussi efficaces et moins coûteuses que les pratiques observées, bien qu'elles soient non efficientes par rapport aux stratégies fondées sur le développement de la transplantation rénale. Il s'agit en particulier :
  - des stratégies fondées sur les modalités de dialyse de proximité permettant notamment une diminution des coûts de transport (autodialyse, UDM de proximité, domicile),
  - des stratégies fondées sur la dialyse péritonéale à domicile, que les patients soient autonomes ou non (nécessité d'assistance par une infirmière), avec préparation du passage à l'hémodialyse au-delà de 2 ans,
  - des stratégies fondées sur l'autonomie des patients qui ne souhaitent pas être traités à domicile (autodialyse),
  - des stratégies de prise en charge en UDM des patients qui ne souhaitent pas être traités à domicile et qui ne nécessitent pas une présence médicale constante ;
- que certaines stratégies envisagées comme le développement de l'hémodialyse conventionnelle à domicile pour les jeunes ou le démarrage direct en UDM pour les âges intermédiaires, présentent des coûts identiques à la prise en charge actuelle mais qui pourraient varier en fonction de l'évolution des techniques et des lieux d'implantation des UDM ;
- que des stratégies novatrices comme l'hémodialyse quotidienne à domicile avec utilisation de nouvelles machines à bas débit de dialysat ou le recours à la télémédecine doivent être considérées, car elles privilégient le maintien à domicile et/ou l'autonomie et/ou la proximité de la prise charge, mais dont l'efficacité et le coût devront cependant être évalués de façon plus précise lorsque des données seront disponibles ;
- enfin, que les choix des patients et l'évolution de leur état clinique sont déterminants dans les possibilités de mise en œuvre d'une stratégie de prise en charge, égale-



ment conditionnée par : l'offre de soins en dialyse et ses possibilités d'évolution, au regard des spécificités territoriales et les potentialités de développement de la transplantation rénale au regard de la pénurie actuelle et des aspects éthiques que cette technique soulève.

### **Troisièmement**

Considérant les limites du modèle qui n'a pu intégrer des données d'utilité,

Considérant l'ancienneté des données utilisées liée à l'accessibilité des bases et au temps nécessaire pour les différentes analyses,

Considérant l'importance de disposer d'un outil de pilotage de la décision en Santé publique,

Considérant l'importance d'informer les patients pour les aider dans le choix d'une stratégie de prise en charge la mieux adaptée à leurs besoins,

Considérant les évolutions technologiques et organisationnelles à venir dans ce champ de la santé,

La Haute Autorité de Santé conclut sur la nécessité :

- de développer, en complémentarité du registre REIN, un entrepôt de données ou « Datamart » regroupant des données médico-économiques relatives à la prise en charge de l'IRCT alimenté régulièrement par le SNIIRAM ;
- de poursuivre le travail, en dehors du cadre de cette évaluation, afin de mettre à jour régulièrement les coûts et les paramètres du modèle sur des données plus récentes et d'y intégrer des mesures d'utilités ;
- de compléter le modèle afin d'évaluer dans le futur d'autres stratégies, notamment celles liées au déploiement de la télémédecine ;
- de faire évoluer l'outil dans un objectif d'aide au pilotage de l'offre de soins en prenant en compte les caractéristiques des patients, l'offre de soins existante, la démographie médicale et les contraintes géographiques.

## Annexes

Les Annexes relatives à ce rapport sont regroupées dans un document intitulé

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

Elles sont téléchargeables sur le site internet de la HAS et disponible vers ce lien :

▶ [Annexes](#)

## Liste des Tableaux et Figures

Tableau 1. Les principales étapes de réalisation du rapport d'évaluation .....	16
Tableau 2. Les caractéristiques des patients en dialyse selon le mode de traitement de suppléance (données REIN au 31/12/2011) .....	24
Tableau 3. Les techniques .....	36
Tableau 4. La dialyse péritonéale.....	36
Tableau 5. La transplantation rénale.....	36
Tableau 6. L'hémodialyse.....	37
Tableau 7. Synthèse des résultats des études de coût concernant la comparaison des techniques .....	50
Tableau 8. Synthèse des résultats des études de coût concernant la comparaison des modalités d'hémodialyse .....	51
Tableau 9. Synthèse des résultats des études de coût concernant la comparaison des modalités de dialyse péritonéale .....	52
Tableau 10. Synthèse des principales limites .....	56
Tableau 11. Synthèses des résultats des ACE comparant les techniques.....	69
Tableau 12. Synthèses des résultats des ACU comparant les techniques .....	70
Tableau 13. Coût-utilité et hémodialyse .....	71
Tableau 14. Principales limites (non spécifiques aux études de coût-résultat) .....	72
Tableau 15. Scores d'utilité – source : De Wit <i>et al.</i> (1998) (159).....	81
Tableau 16. Scores d'utilité (autre).....	81
Tableau 17. Répartition (% colonne) des patients par statut, selon leur âge et la présence de diabète.....	95
Tableau 18. Répartition des 58 646 patients stables par modalité de traitement.....	96
Tableau 19. Répartition des 4751 patients mixtes par modalités de traitement .....	97
<b>Tableau 20.</b> Distribution des coûts mensuels par modalité de traitement.....	100
Tableau 21. Coût moyen mensuel en euros (réajusté pour les petits effectifs) par modalité de traitement selon l'âge et la présence de diabète, pour les 47 862 patients prévalents stables .....	101
Tableau 22. Coût moyen mensuel d'un patient prévalent stable par poste de coûts et part du coût de chacun de ces postes dans le coût total moyen mensuel (% colonne).....	103
Tableau 23. Nombre de séjours d'hospitalisation et de patients concernés, par modalité de traitement.....	104

Tableau 24. Répartition des séjours (% ligne) par causes d'hospitalisation, par modalité de traitement.....	105
Tableau 25. Coût mensuel le mois de la transplantation et les mois suivants.....	107
Tableau 26. Coût mensuel le mois de la greffe et les 6 mois suivants, pour les patients avec une greffe préemptive.....	108
Tableau 27. Coût du 1er mois de traitement des patients incidents selon l'âge, la présence de diabète et la technique de traitement DP et HD.....	109
Tableau 28. Coût moyen du dernier mois de traitement selon les modalités de traitement.....	110
Tableau 29. Distribution des coûts mensuels selon les prises en charge mixtes.....	111
Tableau 30. Coût moyen mensuel en euros par modalité de traitement selon l'âge et la présence de diabète, pour les patients prévalents stables.....	133
Tableau 31. Coût additionnel moyen au démarrage en dialyse, par technique de traitement selon l'âge et la présence de diabète.....	134
Tableau 32. Coûts moyens d'une transition vers le décès, selon la modalité de traitement.....	134
Tableau 33. Coûts moyens d'une transition vers la greffe rénale, selon le type de donneur et de patients.....	135
Tableau 34. Stratégies évaluées pour les patients de 18-44 ans, non diabétiques.....	142
Tableau 35. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 18-44 ans non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.....	147
Tableau 36. Impact des stratégies évaluées pour les 18-44 ans non diabétiques en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros).....	147
Tableau 37. Impact des stratégies évaluées pour les 18-44 ans non diabétiques en termes d'espérance de vie et de coût de prise en charge (euros) sur 36 mois.....	148
Tableau 38. Stratégies évaluées pour les patients de 18-44 ans, diabétiques.....	155
Tableau 39. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 18-44 ans diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.....	158
Tableau 40. Impact des stratégies évaluées pour les 18-44 diabétiques en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros).....	159
Tableau 41. Impact des stratégies évaluées pour les 18-44 diabétiques en termes d'espérance de vie et de coût de prise en charge (euros) sur 36 mois.....	160
Tableau 42. Stratégies évaluées pour les patients de 45-69 ans, non diabétiques.....	166
Tableau 43. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 45-69 ans non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions.....	169
Tableau 44. Impact des stratégies en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) chez les patients de 45-69 ans non diabétiques.....	171

Tableau 45. Stratégies évaluées pour les patients de 45-69 ans, diabétiques.....	178
Tableau 46. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 45-69 ans diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions .....	181
Tableau 47. Impact des stratégies évaluées pour les 45-69 diabétiques en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) chez les patients de 45-69 ans diabétiques.....	182
Tableau 48. Stratégies évaluées pour les patients de 70 ans et plus, non diabétiques .....	191
Tableau 49. Impact des stratégies en termes de répartition des patients âgés de plus de 70 ans et non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions .....	194
Tableau 50. Impact des stratégies en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) chez les patients âgés de plus de 70 ans non diabétiques. ....	195
Tableau 51. Stratégies évaluées pour les patients de 70 ans et plus, diabétiques .....	203
Tableau 52. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions. ....	206
Tableau 53. Impact des stratégies en termes d'espérance de vie restreinte sur 180 mois et de coût de prise en charge (euros) chez les patients de 70 ans et plus diabétiques .....	207
Tableau 54. Stratégies évaluées pour les patients de 18-44 ans, non diabétiques.....	225
Tableau 55. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 18-44 ans diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions. ....	228
Tableau 56. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 45-69 ans non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions. ....	231
Tableau 57. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 45-69 ans diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions. ....	234
Tableau 58. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de plus de 70 ans non diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions. ....	237
Tableau 59. Impact des stratégies en termes de répartition des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les différentes modalités de traitement et de nombre de transitions .....	240
Tableau 60. Evolution du profil des patients en UDM dans 20 régions .....	265
Tableau 61. Etat des lieux des projets de télémédecine dans la prise en charge des patients en IRCT en juillet 2014 .....	272
Figure 1. Epidémiologie de l'insuffisance rénale chronique terminale en France en 2012.....	20

Figure 2. Répartition des patients dialysés au 31/12 de chaque année dans 20 régions (registre REIN).....	22
Figure 3. Coût moyen mensuel par modalité de traitement pour un patient prévalent stable .....	99
Figure 4. Coût moyen du dernier mois de traitement selon l'âge et le statut diabétique .....	110
Figure 5. Répartition au cours du temps d'une cohorte de patients incidents à partir de la date du premier traitement de suppléance.....	121
Figure 6. Illustration de la structure d'un modèle à 4 compartiments.....	124
Figure 7. Exemple illustrant un changement de distribution initiale et une modification des taux de transition chez les patients de 45-69 ans, non diabétiques.....	126
Figure 8. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 18-44 ans non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	144
Figure 9. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficience des stratégies évaluées chez les 18-44 ans, non diabétiques .....	150
Figure 10. Stratégie 10 - transplantation à partir de donneurs décédés et vivant : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 18-44 ans non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	152
Figure 11. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 18-44 ans diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	157
Figure 12. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficience des stratégies évaluées chez les 18-44 ans, diabétiques.....	162
Figure 13. Stratégie 7 – transplantation : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 18-44 ans diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.....	163
Figure 14. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 45-69 ans non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	168
Figure 15. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficience des stratégies évaluées chez les patients de 45-69 ans, non diabétiques.....	172
Figure 16. Scénario 7 – Transplantation : Evolution de la répartition par modalité de traitement des patients de 45-69 ans non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	174
Figure 17. Scénario 4 – DP autonome et autodialyse : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients 45-69 non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.....	175

Figure 18. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 45-69 ans diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance .....	180
Figure 19. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficience des stratégies évaluées chez les patients de 45-69 ans, diabétiques .....	184
Figure 20. Scénario 7 – transplantation : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 45-69 ans diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.....	186
Figure 21. Scénario 6 – DP non assistée et UDM proximité : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients 45-69 diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.....	187
Figure 22. Stratégie 2 – DPCA non assistée avec un transfert programmé en UDM pour les 45-69 ans diabétiques .....	188
Figure 23. Stratégie 2' – DPCA non assistée sans un transfert programmé en UDM pour les 45-69 ans diabétiques .....	188
Figure 24. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	193
Figure 25. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficience des stratégies évaluées chez les patients de 70 ans et plus, non diabétiques .....	196
Figure 26. Stratégie S7 – transplantation : évolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus non diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance.....	198
Figure 27. Stratégie 2 – DPCA assistée avec un transfert programmé en UDM pour les 70 ans et plus non diabétiques.....	200
Figure 28. Stratégie 2' – DPCA assistée sans un transfert programmé en UDM pour les 70 ans et plus non diabétiques.....	200
Figure 29. Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	205
Figure 30. Graphique coût-efficacité et frontière d'efficience des stratégies évaluées chez les patients de 70 ans et plus diabétiques .....	209
Figure 31. Stratégie 6 : Evolution de la répartition par modalité de traitement des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	212

Figure 32. Stratégie 7 : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance. ....	213
Figure 33. Stratégie 4 : Evolution de la répartition par modalité de traitement de la cohorte des patients de 70 ans et plus diabétiques dans les 180 mois qui suivent le démarrage d'un traitement de suppléance .....	214
Figure 34. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients de 18-44 ans, non diabétiques .....	227
Figure 35. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients de 18-44 ans diabétiques .....	230
Figure 36. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients de 45-69 ans, non diabétiques .....	233
L'espérance de vie moyenne tronquée à 180 mois variait de 64,2 mois à 67,6 mois <i>versus</i> 63,9 mois dans les pratiques observées (espérance de vie moyenne actualisée). Le différentiel d'espérance de vie sur la période variait ainsi de +0,3 mois à +3,8 mois par rapport à la stratégie actuelle (Figure 37). ....	235
Figure 38. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients 45-69 ans, diabétiques .....	236
Figure 39. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les patients de 70 ans et plus, non diabétiques .....	239
Figure 40. Résultats de l'ensemble des stratégies évaluées dans le modèle à 180 mois pour les plus patients de 70 ans et plus, diabétiques .....	242
Figure 41. Axes de développement de la transplantation rénale (résultats moyens pour un patient) .....	245
Figure 42. Taux d'incidence cumulée pour l'accès à la liste d'attente pour une greffe de rein des nouveaux patients dialysés au cours de la période 2002-2012. ....	248
Figure 43. Stratégies de développement de la dialyse alternatives à la prise en charge en hémodialyse en centre .....	255



## Références

1. Caisse nationale de l'assurance maladie des travailleurs salariés. L'insuffisance rénale chronique : situation actuelle et enjeux. Point d'information [En ligne] 2010.  
[http://www.ameli.fr/fileadmin/user\\_upload/documents/DP\\_Insuffisance\\_renale\\_chronique.pdf](http://www.ameli.fr/fileadmin/user_upload/documents/DP_Insuffisance_renale_chronique.pdf)
2. Institut de veille sanitaire. L'insuffisance rénale chronique terminale en France. Numéro thématique. Bull Epidemiol Hebdo 2010;9-10.
3. Haute Autorité de Santé. Évaluation médico-économique des stratégies de prise en charge de l'insuffisance rénale chronique terminale en France  
Volet : analyse des possibilités de développement de la transplantation rénale en France. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2012.  
[http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c\\_1291640/evaluation-medico-economique-des-strategies-de-prise-en-charge-de-linsuffisance-renale-chronique-terminale-en-france-volet-analyse-des-possibilites-de-developpement-de-la-transplantation-renale-en-france?xtmc](http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1291640/evaluation-medico-economique-des-strategies-de-prise-en-charge-de-linsuffisance-renale-chronique-terminale-en-france-volet-analyse-des-possibilites-de-developpement-de-la-transplantation-renale-en-france?xtmc)
4. Haute Autorité de Santé. Choix méthodologiques pour l'évaluation économique à la HAS. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2011.  
[http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2011-11/guide\\_methodo\\_vf.pdf](http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2011-11/guide_methodo_vf.pdf)
5. Levey AS, Eckardt KU, Tsukamoto Y, Levin A, Coresh J, Rossert J, *et al.* Definition and classification of chronic kidney disease: a position statement from Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO). *Kidney Int* 2005;67(6):2089-100.
6. Haute Autorité de Santé. Evaluation du débit de filtration glomérulaire, et du dosage de la créatininémie dans le diagnostic de la maladie rénale chronique chez l'adulte - Rapport d'évaluation. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2011.  
[http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c\\_1064297/evaluation-du-debit-de-filtration-glomerulaire-et-du-dosage-de-la-creatininemie-dans-le-diagnostic-de-la-maladie-renale-chronique-chez-ladulte-rapport-d-evaluation?xtmc=&xtcr=13](http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1064297/evaluation-du-debit-de-filtration-glomerulaire-et-du-dosage-de-la-creatininemie-dans-le-diagnostic-de-la-maladie-renale-chronique-chez-ladulte-rapport-d-evaluation?xtmc=&xtcr=13)
7. Agence de la Biomédecine. Rapport annuel 2012. Réseau épidémiologie et information en néphrologie - REIN. Registre français des traitements de suppléance de l'insuffisance rénale chronique. Saint-Denis La Plaine: Agence de la Biomédecine; 2013.  
[http://www.sfdial.org/html/pdf/rapports/rapport\\_rein\\_2012.pdf](http://www.sfdial.org/html/pdf/rapports/rapport_rein_2012.pdf)
8. United States Renal Data System. International comparison. Dans: Annual Data Report 2013. Volume 2 : Atlas of end-stage renal disease (ESRD). Ann Arbor: USRDS; 2014.  
[http://www.usrds.org/2013/view/v2\\_12.aspx](http://www.usrds.org/2013/view/v2_12.aspx)
9. van de Luijngaarden MW, Noordzij M, Van Biesen W, Couchoud C, Cancarini G, Bos WJ, *et al.* Conservative care in Europe--nephrologists' experience with the decision not to start renal replacement therapy. *Nephrol Dial Transplant* 2013;28(10):2604-12.
10. Carson RC, Juszczak M, Davenport A, Burns A. Is maximum conservative management an equivalent treatment option to dialysis for elderly patients with significant comorbid disease? *Clin J Am Soc Nephrol* 2009;4(10):1611-9.
11. Seow YY, Cheung YB, Qu LM, Yee AC. Trajectory of quality of life for poor prognosis stage 5D chronic kidney disease with and without dialysis. *Am J Nephrol* 2013;37(3):231-8.

12. Agence de la Biomédecine. Rapport annuel 2007. Réseau épidémiologie et information en néphrologie - REIN. Saint-Denis La Plaine: Agence de la Biomédecine; 2007.

<http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/rapport-annuel-rein-2007.pdf>

13. Direction de la recherche des études de l'évaluation et des statistiques. Insuffisance rénale chronique et qualité de vie. Dans: L'état de santé de la population en France - Suivi des objectifs annexés à la loi de santé publique - Rapport 2009-2010. Paris: DREES; 2010. p. 284-5.

14. Couchoud C, Verger C, Dervaux T, Ryckelynck JP, Frimat L, Groupe de travail R.E.I.N. Les patients traités par dialyse péritonéale : un groupe hétérogène de patients. Profils des patients en DP. Nephrol Ther 2011;7(4):225-8.

15. Loi n° 2011-814 du 7 juillet 2011 relative à la bioéthique. Journal Officiel 2011;8 juillet(0157).

16. Ministère de la santé et des solidarités. Décret n°2006-73 du 24 janvier 2006 relatif aux activités de soins faisant l'objet d'un schéma interrégional d'organisation sanitaire prévu à l'article L. 6121-4 du code de la santé publique. Journal Officiel 2006;26 janvier(22).

17. Décret n° 2002-1197 du 23 septembre 2002 relatif à l'activité de traitement de l'insuffisance rénale chronique par la pratique de l'épuration extra-rénale et modifiant le code de la santé publique (deuxième partie : Décrets en Conseil d'Etat). Journal Officiel 2002;25 septembre(224).

18. Décret n° 2002-1198 du 23 septembre 2002 relatif aux conditions techniques de fonctionnement des établissements de santé qui exercent l'activité de traitement de l'insuffisance rénale chronique par la pratique de l'épuration

extra-rénale et modifiant le code de la santé publique (troisième partie : Décrets). Journal Officiel 2002;25 septembre(224).

19. Direction générale de l'offre de soins. Guide méthodologique pour l'élaboration du SROS - PRS. Version 2. Paris: DGOS; 2011.

[http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/Guide\\_SROS.pdf](http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/Guide_SROS.pdf)

20. Haute Autorité de Santé. Les conditions de mise en œuvre de la télémédecine en unité de dialyse médicalisée. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2009.

[http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c\\_913583/les-conditions-de-mise-en-uvre-de-la-telemedecine-en-unite-de-dialyse-medicalisee](http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_913583/les-conditions-de-mise-en-uvre-de-la-telemedecine-en-unite-de-dialyse-medicalisee)

21. Agence de la Biomédecine. Plan greffe 2012-2016. Saint-Denis La Plaine: ABM; 2012.

[http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/2012\\_plan\\_greffe\\_vdef2.pdf](http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/2012_plan_greffe_vdef2.pdf)

22. Ministère du travail de l'emploi et de la santé Dgdlods, Direction de la sécurité sociale,,. Instruction n° DGOS/R3/DSS/ MCGR/ 2012/52 du 27 janvier 2012 relative au programme de gestion du risque sur l'insuffisance rénale chronique terminale (GDR-IRCT). Bulletin Officiel 2012;3(15 avril).

23. Conseil National de l'Ordre des Médecins, Legmann M. Atlas de la démographie médicale en France. Situation au 1er janvier 2013. Paris: CNOM; 2013.

[http://www.conseil-national.medecin.fr/sites/default/files/atlas\\_national\\_2013.pdf](http://www.conseil-national.medecin.fr/sites/default/files/atlas_national_2013.pdf)

24. Observatoire national de la démographie des professions de santé. Compte-rendu de l'Audition

des Néphrologues du 6 janvier 2010. Paris: Ministère de la santé et des sports; 2010.

[http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/Compte\\_rendu\\_de\\_l\\_audition\\_des\\_Nephrologues.pdf](http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/Compte_rendu_de_l_audition_des_Nephrologues.pdf)

25. Dor A, Pauly MV, Eichleay MA, Held PJ. End-stage renal disease and economic incentives: the International Study of Health Care Organization and Financing (ISHCOF). *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(2-3):73-111.

26. Sullivan JD. Making peritoneal dialysis and home hemodialysis more economically viable. *Nephrol News Issues* 2006;20(8):54-8.

27. Hirth RA. The organization and financing of kidney dialysis and transplant care in the United States of America. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(4):301-18.

28. De Lissovoy G, Zelmer JL. The economic burden of end-stage renal disease in Canada. *Commentary. Kidney international* 2007;72(9):1045-7, 122-129.

29. Manns BJ, Mendelssohn DC, Taub KJ. The economics of end-stage renal disease care in Canada: incentives and impact on delivery of care. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(2):149-69.

30. Kaitelidou D, Ziroyanis PN, Maniadakis N, Liaropoulos LL. Economic evaluation of hemodialysis: implications for technology assessment in Greece. *Int J Technol Assess Health Care* 2005;21(1):40-6.

31. Ashton T, Marshall MR. The organization and financing of dialysis and kidney transplantation services in New Zealand. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(4):233-52.

32. Pontoriero G, Pozzoni P, Vecchio LD, Locatelli F. International Study of Health Care Organization and Financing for renal replacement therapy in Italy: an evolving reality. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(2-3):201-15.

33. Luño J. The organization and financing of end-stage renal disease in Spain. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(4):253-67.

34. Van Biesen W, Lameire N, Peeters P, Vanholder R. Belgium's mixed private/public health care system and its impact on the cost of end-stage renal disease. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(2-3):133-48.

35. 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.

36. Agence de la Biomédecine. Un nouvel élan pour la greffe. Le prélèvement et la greffe d'organes, de tissus et de cellules souche hématopoïétiques en France. Bilan des années 2000-2010 et propositions d'axes stratégiques pour l'avenir. Saint-Denis La Plaine: Agence de la Biomédecine; 2011.

37. Haute Autorité de Santé. Transplantation rénale. Accès à la liste d'attente nationale. Note de cadrage. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2014.

[http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2014-07/note\\_cadrage\\_greffe\\_renale\\_mel.pdf](http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2014-07/note_cadrage_greffe_renale_mel.pdf)

38. European Renal Association, European Dialysis and transplant Association. ERA-EDTA registry. Annual report 2012. Amsterdam: Academic Medical Center, Department of Medical Informatics; 2014.

<http://www.era-edta-reg.org/files/annualreports/pdf/AnnRep2012.pdf>

39. Conseil de l'Europe. International figures on donation and transplantation - 2010. Newsletter Transplant 2011;16(1).
40. Caskey FJ, Stel VS, Elliott RF, Jager KJ, Covic A, Cusumano A, *et al.* The EVEREST study : an international collaboration. Nephrol Dial Transplant 2010;3:28-36.
41. Wikström B, Fored M, Eichleay MA, Jacobson SH. The financing and organization of medical care for patients with end-stage renal disease in Sweden. Int J Health Care Finance Econ 2007;7(4):269-81.
42. Rayner HC, Pisoni RL, Bommer J, Canaud B, Hecking E, Locatelli F, *et al.* Mortality and hospitalization in haemodialysis patients in five European countries: results from the Dialysis Outcomes and Practice Patterns Study (DOPPS). Nephrol Dial Transplant 2004;19(1):108-20.
43. European Renal Association (ERA). When to start dialysis: updated guidance following publication of the Initiating Dialysis Early and Late (IDEAL) study. Nephrol Dial Transplant 2011;26(7):2082-6.
44. MacGregor MS, Agar JW, Blagg CR. Home haemodialysis-international trends and variation. Nephrol Dial Transplant 2006;21(7):1934-45.
45. Neil N, Guest S, Wong L, Inglese G, Bhattacharyya SK, Gehr T, *et al.* The financial implications for Medicare of greater use of peritoneal dialysis. Clin Ther 2009;31(4):880-8.
46. Finkelstein FO. Structural requirements for a successful chronic peritoneal dialysis program. Kidney Int Suppl 2006(103):S118-S21.
47. Nicholson T, Roderick P. International Study of Health Care Organization and Financing of renal services in England and Wales. Int J Health Care Finance Econ 2007;7(4):283-99.
48. Roderick P, Armitage A, Nicholson T, Mehta R, Gerard K, Mullee M, *et al.* A clinical and cost evaluation of hemodialysis in renal satellite units in England and Wales. Am J Kidney Dis 2004;44(1):121-31.
49. Berger A, Edelsberg J, Inglese GW, Bhattacharyya SK, Oster G. Cost comparison of peritoneal dialysis versus hemodialysis in end-stage renal disease. Am J Manag Care. 2009;15(8):509-18.
50. Marrisal JP, Sally JC. Eléments de problématique économique dans le domaine de l'épuration extra-rénale. Sante Publ 2002;14(2):107-19.
51. 2ème journées de la dialyse à domicile, symposium Baxter, 14 decembre 2006. Nephrol Ther 2007;3(HS):43 p.
52. Brown EA. Peritoneal dialysis in the elderly. Contrib Nephrol 2009;163:264-9.
53. Goodkin DA, Bragg-Gresham JL, Koenig KG, Wolfe RA, Akiba T, Andreucci VE, *et al.* Association of comorbid conditions and mortality in hemodialysis patients in Europe, Japan, and the United States: the Dialysis Outcomes and Practice Patterns Study (DOPPS). J Am Soc Nephrol 2003;14(12):3270-7.
54. Fukuhara S, Lopes AA, Bragg-Gresham JL, Kurokawa K, Mapes DL, Akizawa T, *et al.* Health-related quality of life among dialysis patients on three continents: the dialysis outcomes and practice patterns study. Kidney Int 2003;64(5):1903-10.

55. Young EW, Goodkin DA, Mapes DL, Port FK, Keen ML, Chen K, *et al.* The Dialysis Outcomes and Practice Patterns Study (DOPPS) : An international hemodialysis study. *Kidney Int Suppl* 2000;57(74):S74-S81.
56. Haute Autorité de Santé. Indications et non-indications de la dialyse péritonéale chronique chez l'adulte. Recommandations professionnelles. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2007.
- [http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c\\_702927/indications-et-non-indications-de-la-dialyse-peritoneale-chronique-chez-ladulte](http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_702927/indications-et-non-indications-de-la-dialyse-peritoneale-chronique-chez-ladulte)
57. Couchoud C, Savoye E, Frimat L, Ryckelynck JP, Chalem Y, Verger C. Variability in case mix and peritoneal dialysis selection in fifty-nine French districts. *Perit Dial Int* 2008;28(5):509-17.
58. Durand-Zaleski I, Combe C, Lang P. International study of health care organization and financing for end-stage renal disease in France. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(2-3):171-83.
59. Direction de la recherche des études de l'évaluation et des statistiques. Incidence de l'insuffisance rénale chronique terminale. Dans: L'état de santé de la population en France - Suivi des objectifs annexés à la loi de santé publique - Rapport 2009-2010. Paris: DREES; 2010. p. 284-5.
- [http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/80\\_incidence\\_de\\_l'insuffisance\\_renale\\_chronique\\_terminale.pdf](http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/80_incidence_de_l'insuffisance_renale_chronique_terminale.pdf)
60. Lorcy N, Turmel V, Le Pogamp P, Couchoud C, Vigneau C. Si vous étiez insuffisant rénal chronique (SiVoIR) - enquête à destination des néphrologues francophones et équipes paramédicales de néphrologie, dialyse, transplantation. *Nephrol Ther* 2010;6(5):420-21.
61. Chanliau J, Kessler M. La dialyse péritonéale dans le parcours de soins de l'insuffisant rénal : aspects financiers. *Nephrol Ther* 2011;7:32-7.
62. Chanliau J, Kessler M. Les freins financiers à la dialyse péritonéale. *Nephrol Ther* 2009;5(Suppl 4):S290-S2.
63. Direction de la recherche des études de l'évaluation et des statistiques, Cash E, Cash R, Dupilet C. Etude sur la réactivité des établissements de santé aux incitations tarifaires. Rapport final n° 106. Paris: DREES; 2011.
- <http://www.drees.sante.gouv.fr/etude-sur-la-reactivite-des-etablissements-de-sante-aux-incitations-tarifaires,9123.html>
64. Direction de la recherche des études de l'évaluation et des statistiques. Incidence de l'insuffisance rénale chronique terminale. Dans: L'état de santé de la population en France - Indicateurs associés à la loi relative à la politique de santé publique - Rapport 2008. Paris: DREES; 2009. p. 248-9.
65. Jung B, Blake PG, Mehta RL, Mendelssohn DC. Attitudes of Canadian nephrologists toward dialysis modality selection. *Perit Dial Int* 1999;19(3):263-8.
66. Mendelssohn DC, Mullaney SR, Jung B, Blake PG, Mehta RL. What do american nephrologists think about dialysis modality selection? *Am J Kidney Dis* 2001;37(1):22-9.
67. Dimkovic N, Oreopoulos DG. Assisted peritoneal dialysis as a method of choice for elderly with end-stage renal disease. *Int Urol Nephrol* 2008;40(4):1143-50.
68. Dimkovic N, Aggarwal V, Khan S, Chu M, Bargman J, Oreopoulos DG. Assisted peritoneal

- dialysis: what is it and who does it involve? *Adv Perit Dial* 2009;25:165-70.
69. Dimkovic N, Majster Z, Davidovic Z, Dimkovic S. CAPD assisted by family member - a single-center experience. *Perit Dial Int* 2009;29(2):238-9.
70. Jager KJ, Korevaar JC, Dekker FW, Krediet RT, Boeschoten EW, Netherlands Cooperative Study on the Adequacy of Dialysis (NECOSAD) Study Group. The effect of contraindications and patient preference on dialysis modality selection in ESRD patients in The Netherlands. *Am J Kidney Dis* 2004;43(5):891-9.
71. Xue JL, Chen SC, Ebben JP, Constantini EG, Everson SE, Frazier ET, *et al.* Peritoneal and hemodialysis: I. Differences in patient characteristics at initiation. *Kidney Int* 2002;61(2):734-40.
72. Stack AG. Determinants of modality selection among incident US dialysis patients: results from a national study. *J Am Soc Nephrol* 2002;13(5):1279-87.
73. McLaughlin K, Manns B, Mortis G, Hons R, Taub K. Why patients with ESRD do not select self-care dialysis as a treatment option. *Am J Kidney Dis* 2003;41(2):380-5.
74. Guillon D. Avantages et contraintes de la dialyse péritonéale à domicile. *Revue de l'infirmière* 2009(150):26-7.
75. Maaroufi A, Fafin C, Mougél S, Favre G, Seitz-Polski B, Jeribi A, *et al.* Patients' preferences regarding choice of end-stage renal disease treatment options. *Am J Nephrol* 2013;37(4):359-69.
76. Casteigt B, Favre G, Mougél S, Fafin C, Esnault V, Moranne O. Etude du choix des patients et de leur devenir après information éclairée sur les prises en charge de l'insuffisance rénale terminale. *Nephrol Ther* 2010;6:393.
77. Couchoud C. Aspect épidémiologique et coût de la dialyse péritonéale dans l'insuffisance rénale terminale. *Rev Prat* 2010;60(9):1194-6.
78. Mendelssohn DC, Malmberg C, Hamandi B. An integrated review of "unplanned" dialysis initiation: reframing the terminology to "suboptimal" initiation. *BMC nephrol* 2009;10:22.
79. Goovaerts T, Jadoul M, Goffin E. Influence of a pre-dialysis education programme (PDEP) on the mode of renal replacement therapy. *Nephrol Dial Transplant* 2005;20(9):1842-7.
80. Klarenbach S, Manns B. Economic evaluation of dialysis therapies. *Semin Nephrol* 2009;29(5):524-32.
81. Bhat JG, Bhat P. The 2009 proposed rule for prospective ESRD payment: perspectives from a for-profit small dialysis organization. *Am J Kidney Dis* 2010;55(2):231-3.
82. Kleophas W, Reichel H. International study of health care organization and financing: development of renal replacement therapy in Germany. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(2-3):185-200.
83. Fukuhara S, Yamazaki C, Hayashino Y, Higashi T, Eichleay MA, Akiba T, *et al.* The organization and financing of end-stage renal disease treatment in Japan. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(2-3):217-31.
84. Caisse nationale de l'assurance maladie des travailleurs salariés, Direction des risques maladie. Enquête schéma régional d'organisation sanitaire de l'insuffisance rénale chronique terminale (SROS/IRCT) - Juin 2003. Volet

structure. Paris: Ministère de la santé et des solidarités; 2005.

[http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/volet\\_structures.pdf](http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/volet_structures.pdf)

85. Caisse nationale de l'assurance maladie des travailleurs salariés, Direction du service médical, Mission hospitalisation et secteur médico-social. Enquête nationale schéma régional d'organisation sanitaire de l'insuffisance rénale chronique terminale (SROS/IRCT) - juin 2003. Volet patient. Paris: Ministère de la santé et des solidarités; 2005.

[http://www.sante-sports.gouv.fr/IMG/pdf/volet\\_patients.pdf](http://www.sante-sports.gouv.fr/IMG/pdf/volet_patients.pdf)

86. Caisse nationale de l'assurance maladie des travailleurs salariés, Direction des risques maladie. Enquête nationale schéma régional d'organisation sanitaire de l'insuffisance rénale chronique terminale (SROS / IRCT) Volet dépenses. Paris: Ministère de la santé et des solidarités; 2005.

[http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/volet\\_depenses.pdf](http://www.sante.gouv.fr/IMG/pdf/volet_depenses.pdf)

87. Macron-Noguès F, Vernay M, Ekong E, Thiard B, Salanave B, Fender P, *et al.* Les disparités régionales de prise en charge des patients dialysés en France en 2003. *Nephrol Ther* 2005;1(6):335-44.

88. Loubeau PR, Loubeau JM, Jantzen R. The economics of kidney transplantation versus hemodialysis. *Prog Transplant* 2001;11(4):291-7.

89. Kaminota M. Cost-effectiveness analysis of dialysis and kidney transplants in Japan. *Keio J Med* 2001;50(2):100-8.

90. Ploth DW, Shepp PH, Counts C, Hutchison F. Prospective analysis of global costs for maintenance of patients with ESRD. *Am J Kidney Dis* 2003;42(1):12-21.

91. Centre fédéral d'expertise des soins de santé. Organisation et financement de la dialyse chronique en Belgique. Bruxelles: KCE; 2010.

92. Just PM, Riella MC, Tschosik EA, Noe LL, Bhattacharyya SK, de CF. Economic evaluations of dialysis treatment modalities. *Health Policy* 2008;86(2-3):163-80.

93. Peeters P, Rublee D, Just PM, Joseph A. Analysis and interpretation of cost data in dialysis: review of Western European literature. *Health Policy* 2000;54(3):209-27.

94. McFarlane PA. Reducing hemodialysis costs: conventional and quotidian home hemodialysis in Canada. *Semin Dial* 2004;17(2):118-24.

95. Benain J, Faller B, Briat C, Jacquelinet C, Bami M, Aoustin M, *et al.* Coût de la prise en charge de la dialyse en France. *Néphrologie Ther* 2007;3(3):96-106.

96. 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.

97. 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.

98. 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.

99. 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.
100. McFarlane PA, Pierratos A, Redelmeier DA. Cost savings of home nocturnal versus conventional in-center hemodialysis. *Kidney Int* 2002;62(6):2216-22.
101. Soroka SD, Kiberd BA, Jacobs P. The marginal cost of satellite versus in-center hemodialysis. *Hemodial Int* 2005;9(2):196-201.
102. 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.
103. 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.
104. 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.
105. 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.
106. 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.
107. 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.
108. 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.
109. 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.
110. 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.
111. 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.
112. 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.
113. 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.
114. 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.
115. Komenda P, Copland M, Makwana J, Djurdjev O, Sood MM, Levin A. The cost of



- starting and maintaining a large home hemodialysis program. *Kidney Int* 2010;77(11):1039-45.
116. McFarlane P, Komenda P. Economic considerations in frequent home hemodialysis. *Semin Dial* 2011;24(6):678-83.
117. National Institute for Health and Clinical Excellence. Peritoneal dialysis. Peritoneal dialysis in the treatment of stage 5 chronic kidney disease. London: NHS; 2011.  
<http://www.nice.org.uk/nicemedia/live/13524/55517/55517.pdf>
118. Icks A, Haastert B, Gandjour A, Chernyak N, Rathmann W, Giani G, *et al.* Costs of dialysis--a regional population-based analysis. *Nephrol Dial Transplant* 2010;25(5):1647-52.
119. 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.
120. 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.
121. Gerard K, Roderick P. Comparison of apparent efficiency of haemodialysis satellite units in England and Wales using data envelopment analysis. *Int J Technol Assess Health Care* 2003;19(3):533-9.
122. Dratwa M. Costs of home assistance for peritoneal dialysis: results of a european survey. *Kidney Int Suppl* 2008(108):S72-S5.
123. Department of Health. The evidence base for the National service framework for renal services. Modules one and two: dialysis and transplantation. Washington: DH; 2006.  
[http://webarchive.nationalarchives.gov.uk/20130107105354/http://www.dh.gov.uk/prod\\_consum\\_dh/groups/dh\\_digitalassets/@dh/@en/documents/digitalasset/dh\\_4132107.pdf](http://webarchive.nationalarchives.gov.uk/20130107105354/http://www.dh.gov.uk/prod_consum_dh/groups/dh_digitalassets/@dh/@en/documents/digitalasset/dh_4132107.pdf)
124. Harris A. The organization and funding of the treatment of end-stage renal disease in Australia. *Int J Health Care Finance Econ* 2007;7(2-3):113-32.
125. Verger C. French peritoneal dialysis registry (RDPLF). *Kidney Int* 2006;70:S12-S20.
126. Agence de la Biomédecine. Rapport annuel 2008. Réseau épidémiologie et information en Néphrologie - REIN. Saint-Denis La Plaine: Agence de la Biomédecine; 2010.  
<http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/rapport-annuel-rein-2008.pdf>
127. Couchoud C. La population des insuffisants rénaux : évolution et caractéristiques des patients actuels. *Nephrol Ther* 2007;3:10-4.
128. McDonald SP, Marshall MR, Johnson DW, Polkinghorne KR. Relationship between dialysis modality and mortality. *J Am Soc Nephrol* 2009;20(1):155-63.
129. 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.
130. MacLeod A, Grant A, Donaldson C, Khan I, Campbell M, Daly C, *et al.* Effectiveness and efficiency of methods of dialysis therapy for end-

stage renal disease: systematic reviews. *Health Technol Assess* 1998;2(5):1-166.

131. 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.

132. Winkelmayr WC, Weinstein MC, Mittleman MA, Glynn RJ, Pliskin JS. Health economic evaluations: the special case of end-stage renal disease treatment. *Med Decis Making* 2002;22(5):417-30.

133. 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.

134. 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.

135. 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.

136. 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.

137. 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.

138. Rodina-Theocharaki A, Bliznakova K, Pallikarakis N. Markov Chain Monte Carlo simulation for projection of end stage renal disease patients in Greece. *Comput Methods Programs Biomed* 2012;107(1):90-6.

139. 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.

140. Sennfält K, Magnusson M, Carlsson P. Comparison of hemodialysis and peritoneal dialysis—a cost-utility analysis. *Perit Dial Int* 2002;22(1):39-47.

141. 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.

142. 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.

143. 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.

144. 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.

145. 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.

146. Murtagh FE, Marsh JE, Donohoe P, Ekbal NJ, Sheerin NS, Harris FE. Dialysis or not? A comparative survival study of patients over 75 years with chronic kidney disease stage 5. Nephrol Dial Transplant 2007;22(7):1955-62.

147. Jassal SV, Kelman EE, Watson D. Non-dialysis care: an important component of care for elderly individuals with advanced stages of chronic kidney disease. Nephron Clin Pract 2011;119(Suppl 1):c5-c9.

148. Quinn RR, Laupacis A, Hux JE, Oliver MJ, Austin PC. Predicting the risk of 1-year mortality in incident dialysis patients: accounting for case-mix severity in studies using administrative data. Med Care 2011;49(3):257-66.

149. Vale L, Cody J, Wallace S, Daly C, Campbell M, Grant A, *et al.* Continuous ambulatory peritoneal dialysis (CAPD) versus hospital or home haemodialysis for end-stage renal disease in adults. The Cochrane databases of systematic Reviews 2003; Issue 1(CD003963).

150. Korevaar JC, Feith GW, Dekker FW, van Manen JG, Boeschoten EW, Bossuyt PM, *et al.* Effect of starting with hemodialysis compared with peritoneal dialysis in patients new on dialysis treatment: a randomized controlled trial. Kidney Int 2003;64(6):2222-8.

151. Rabindranath KS, Adams J, Ali TZ, MacLeod AM, Vale L, Cody J, *et al.* Continuous ambulatory peritoneal dialysis versus automated peritoneal dialysis for end-stage renal disease. The Cochrane databases of systematic Reviews 2007; Issue 2(CD006515).

152. Cooper BA, Branley P, Bulfone L, Collins JF, Craig JC, Dempster J, *et al.* The Initiating Dialysis Early and Late (IDEAL) study: study

rationale and design. Perit Dial Int 2004;24(2):176-81.

153. Agence de la Biomédecine. Rapport annuel 2011. Réseau épidémiologie et information en néphrologie - REIN. Saint-Denis La Plaine: Agence de la Biomédecine; 2012.

[http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/rapport\\_reinvdef.pdf](http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/rapport_reinvdef.pdf)

154. Institut de veille sanitaire, Agence de la Biomédecine, Service d'épidémiologie et évaluation cliniques Nancy, Boini S, Bloch J, Briançon S. Surveillance de la qualité de vie des sujets atteints d'insuffisance rénale chronique terminale. Rapport qualité de vie - REIN. Volet dialyse 2005. Saint-Maurice: INVS; 2008.

<http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/rapport-qualite-dyalise-2005.pdf>

155. Liem YS, Bosch JL, Arends LR, Heijnenbroek-Kal MH, Hunink MGM. Quality of life assessed with the medical outcomes study short form 36-Item health survey of patients on renal replacement therapy: a systematic review and meta-analysis. Value Health 2007;10(5):390-7.

156. Liem YS, Bosch JL, Hunink MGM. Preference-based quality of life of patients on renal replacement therapy: a systematic review and meta-analysis. Value Health 2008;11(4):733-41.

157. Wyld M, Morton RL, Hayen A, Howard K, Webster AC. A systematic review and meta-analysis of utility-based quality of life in chronic kidney disease treatments. PLoS Med 2012;9(9):e1001307.

158. Laupacis A, Keown P, Pus N, Krueger H, Ferguson B, Wong C, *et al.* A study of the quality of life and cost-utility of renal transplantation. Kidney Int 1996;50(1):235-42.

159. de Wit GA, Ramsteijn PG, de Charro FT. Economic evaluation of end stage renal disease treatment. *Health Policy* 1998;44(3):215-32.
160. Haute Autorité de Santé. Maladie rénale chronique de l'adulte. Guide du parcours de soins. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2012.  
[http://has-sante.fr/portail/jcms/c\\_1241102/parcours-de-soins-de-la-maladie-renale-chronique-de-l-adulte](http://has-sante.fr/portail/jcms/c_1241102/parcours-de-soins-de-la-maladie-renale-chronique-de-l-adulte)
161. Couchoud C, Dantony E, Elsensohn MH, Villar E, Ecochard R, Registry REIN. Modelling treatment trajectories to optimize the organization of renal replacement therapy and public health decision-making. *Nephrol Dial Transplant* 2013;28(9):2372-82.
162. Moranne O, Couchoud C, Kolko-Labadens A, Allot V, Fafin C, Vigneau C. Description des caractéristiques, des projets de soins et du devenir des patients de plus 75 ans présentant une insuffisance rénale sévère (DFGe $\leq$ 20mL/min/1,73m<sup>2</sup>) : phase pilote du projet PSPA. *Nephrol Ther* 2012;8(7):516-20.
163. Sainsaulieu Y, Sambuc C, Logerot H, Bongiovanni I, Couchoud C. Coût d'un greffon rénal : calcul médico-économique des montants remboursés par l'Assurance maladie pour financer les étapes préalables et périphériques à la transplantation rénale. *Nephrol Ther* 2014;10(4):228-35.
164. Décret n° 2012-202 du 10 février 2012 modifiant les conditions techniques de fonctionnement des établissements de santé qui exercent l'activité de traitement de l'insuffisance rénale chronique par la pratique de l'épuration extra-rénale. *Journal Officiel* 2012;12 février(0037).
165. Agence de la Biomédecine, Institut de veille sanitaire, Centre hospitalier universitaire Nancy, Assistance publique hôpitaux de Marseille. Rapport Qualité de vie - REIN volet greffe 2007. Surveillance de la qualité de vie des sujets atteints d'insuffisance rénale chronique terminale. Saint-Denis La Plaine: Agence de la Biomédecine; 2007.  
[http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/rapport\\_qv\\_greffe\\_v1.18\\_16122009.pdf](http://www.agence-biomedecine.fr/IMG/pdf/rapport_qv_greffe_v1.18_16122009.pdf)
166. Agence de la Biomédecine. Greffe rénale. Organes. Dans: Le rapport médical et scientifique du prélèvement et de la greffe en France. Saint-Denis La Plaine: ABM; 2012.  
<http://www.agence-biomedecine.fr/annexes/bilan2012/donnees/organes/06-rein/synthese.htm>
167. Couchoud C, Bayat S, Villar E, Jacquelinet C, Ecochard R, Registry REIN. A new approach for measuring gender disparity in access to renal transplantation waiting lists. *Transplantation* 2012;94(5):513-9.
168. Goldfarb-Rumyantzev AS, Sandhu GS, Baird BC, Khattak M, Barenbaum A, Hanto DW. Social adaptability index predicts access to kidney transplantation. *Clin Transplant* 2011;25(6):834-42.
169. Patzer RE, Amaral S, Wasse H, Volkova N, Kleinbaum D, McClellan WM. Neighborhood poverty and racial disparities in kidney transplant waitlisting. *J Am Soc Nephrol* 2009;20(6):1333-40.
170. Segev DL. Evaluating options for utility-based kidney allocation. *Am J Transplant* 2009;9(7):1513-8.
171. Segev DL, Kucirka LM, Oberai PC, Parekh RS, Boulware LE, Powe NR, *et al.* Age and comorbidities are effect modifiers of gender disparities in renal transplantation. *J Am Soc Nephrol* 2009;20(3):621-8.

172. Dudley CR, Johnson RJ, Thomas HL, Ramanan R, Ansell D. Factors that influence access to the national renal transplant waiting list. *Transplantation* 2009;88(1):96-102.
173. Ramanan R, Udayaraj U, Ansell D, Collett D, Johnson R, O'Neill J, *et al.* Variation between centres in access to renal transplantation in UK: longitudinal cohort study. *BMJ* 2010;341:c3451.
174. Bayat S, Frimat L, Thilly N, Loos C, Briancon S, Kessler M. Medical and non-medical determinants of access to renal transplant waiting list in a French community-based network of care. *Nephrol Dial Transplant* 2006;21(10):2900-7.
175. Agence de la Biomédecine. Le rapport médical et scientifique du prélèvement et de la greffe en France. Saint-Denis La Plaine: ABM; 2012.  
<http://www.agence-biomedecine.fr/annexes/bilan2012/accueil.htm>
176. Gill J, Bunnapradist S, Danovitch GM, Gjertson D, Gill JS, Cecka M. Outcomes of kidney transplantation from older living donors to older recipients. *Am J Kidney Dis* 2008;52(3):541-52.
177. Knoll GA. Kidney transplantation in the older adult. *Am J Kidney Dis* 2013;61(5):790-7.
178. Villar E, Rabilloud M, Berthoux F, Vialtel P, Labeeuw M, Pouteil-Noble C. A multicentre study of registration on renal transplantation waiting list of the elderly and patients with type 2 diabetes. *Nephrol Dial Transplant* 2004;19(1):207-14.
179. Bouaoun L, Villar E, Ecochard R, Couchoud C. Excess risk of death increases with time from first dialysis for patients on the waiting list: implications for renal allograft allocation policy. *Nephron Clin Pract* 2013;124(1-2):99-105.
180. Balachandran VP, Aull MJ, Charlton M, Afaneh C, Serur D, Leeser DB, *et al.* Kidneys from older living donors provide excellent intermediate-term outcomes after transplantation. *Transplantation* 2012;94(5):499-505.
181. Chanliau J, Simon P. Apports de la télémédecine dans la gradation des soins. Dossier. *Telemedecine, l'heure "H" ? Rev Hosp France* 2010;532(25):8.
182. Mehrotra R, Marsh D, Vonesh E, Peters V, Nissenson A. Patient education and access of ESRD patients to renal replacement therapies beyond in-center hemodialysis. *Kidney Int* 2005;68(1):378-90.
183. Chanouzas D, Ng KP, Fallouh B, Baharani J. What influences patient choice of treatment modality at the pre-dialysis stage? *Nephrol Dial Transplant* 2012;27(4):1542-7.
184. Castrale C, Evans D, Verger C, Fabre E, Aguilera D, Ryckelynck JP, *et al.* Peritoneal dialysis in elderly patients: report from the French Peritoneal Dialysis Registry (RDPLF). *Nephrol Dial Transplant* 2010;25(1):255-62.
185. Selgas R, Cirugeda A, Fernandez-Perpen A, Sánchez-Tomero JA, Barril G, Alvarez V, *et al.* Comparisons of hemodialysis and CAPD in patients over 65 years of age: a meta-analysis. *Int Urol Nephrol* 2001;33(2):259-64.
186. Lobbedez T, Lecouf A, Ficheux M, Henri P, Hurault de LB, Ryckelynck JP. Is rapid initiation of peritoneal dialysis feasible in unplanned dialysis patients? A single-centre experience. *Nephrol Dial Transplant* 2008;23(10):3290-4.

187. Lobbedez T, Verger C, Ryckelynck JP, Fabre E, Evans D. Is assisted peritoneal dialysis associated with technique survival when competing events are considered? Clin J Am Soc Nephrol 2012;7(4):612-8.

188. Verger C, Duman M, Durand PY, Veniez G, Fabre E, Ryckelynck JP. Influence of autonomy and type of home assistance on the prevention of peritonitis in assisted automated peritoneal dialysis patients. An analysis of data from the French Language Peritoneal Dialysis Registry. Nephrol Dial Transplant 2007;22(4):1218-23.

189. Bouvier N, Durand P, Testa A, Albert C, Planquois V, Ryckelynck J, *et al.* Regional discrepancies in peritoneal dialysis utilization in

France: the role of the nephrologist's opinion about peritoneal dialysis. Nephrol Dial Transplant 2009;24(4):1293-7.

190. Simon P. Télémedecine : l'heure H [dossier]. Rev Hosp France 2010;532:10-34.

191. Haute Autorité de Santé. Efficience de la télémedecine : état des lieux de la littérature internationale et cadre d'évaluation. Saint-Denis La Plaine: HAS; 2013.

[http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c\\_1622477/fr/efficience-de-la-telemedecine-etat-des-lieux-de-la-litterature-internationale-et-cadre-devaluation](http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1622477/fr/efficience-de-la-telemedecine-etat-des-lieux-de-la-litterature-internationale-et-cadre-devaluation)

## Participants

### ► Groupe de travail

Le groupe de travail était composé des professionnels suivants qui ont participé à l'intégralité du projet

D<sup>r</sup> Bruno Aublet-Cuvelier, épidémiologie, Clermont-Ferrand ; M<sup>me</sup> Bénédicte Devictor, économie de la santé, Marseille ;

P<sup>r</sup> Lionel Badet, urologie, Lyon ;

P<sup>r</sup> Thierry Hannedouche, néphrologie, Strasbourg ;

D<sup>r</sup> Jean-Baptiste Beuscart, néphrologie, Lille ;

Mr Jean-Pierre Lacroix, Fédération nationale d'Aide aux insuffisants rénaux – FNAIR, Lyon ;

M<sup>me</sup> Danielle Bougeard, cadre de santé, Saint-Brieuc ;

P<sup>r</sup> Maurice Laville, néphrologue, Lyon ;

D<sup>r</sup> José Brasseur, néphrologie, Rouvroy ;

D<sup>r</sup> Sylvie Mercier, association Renaloo, Paris ;

M<sup>me</sup> Valérie Buthion, docteur en sciences de Gestion, Lyon ;

P<sup>r</sup> Marie-Noëlle Péraldi, néphrologue, Paris ;

D<sup>r</sup> Agnès Caillette-Beaudoin, néphrologie, Vienne ;

M<sup>me</sup> Stéphanie Rousval, Fédération des établissements hospitaliers et d'aide à la personne – FEHAP, Paris ;

D<sup>r</sup> Jacques Chanliau, néphrologie, Nancy ;

D<sup>r</sup> Pierre Simon, Président de l'Association nationale de télémédecine – Antel, Paris ;

D<sup>r</sup> Alain Debure, néphrologie, Pantin ;

D<sup>r</sup> Christian Verger, néphrologie, Auvers-sur-Oise.

Les professionnels suivants ont également participé au groupe de travail, mais de façon ponctuelle (déclaration d'intérêts mise à jour jusqu'à leur dernière participation).

M. Bernard Bensadoun, association ECHO, Nantes ; P<sup>r</sup> Jean Ribstein, médecine interne, Montpellier ;

M<sup>me</sup> Aline Cusson, ATIH, Paris ;

D<sup>r</sup> Bénédicte Stengel, Inserm, Villejuif et Agence de la biomédecine ;

M<sup>me</sup> Claude Deniel, directeur d'hôpital, Meaux ;

D<sup>r</sup> Isabelle Vernier, néphrologue, Narbonne ;

P<sup>r</sup> Claude Jacob, néphrologue, Paris ;

P<sup>r</sup> Éric Thervet, néphrologue, Paris ;

D<sup>r</sup> Antoine Lafuma, consultant, Bourg-la-Reine ;

M<sup>me</sup> Adeline Townsed, ATIH, Paris ;

D<sup>r</sup> Man Nguyen Khoa, néphrologue, Paris ;

P<sup>r</sup> Philippe Zaoui, néphrologue, Grenoble.

► **Groupe de lecture**

D <sup>r</sup> Walid Arkouche, néphrologue, association AURA, Lyon ;	P <sup>r</sup> Samy Hadjadj, néphrologue, Poitiers ;
D <sup>r</sup> Pierre Bataille, néphrologue, Boulogne-sur-Mer ;	P <sup>r</sup> Maryvonne Hourmant, Association Renaloo, Paris ;
M <sup>me</sup> Dominique Baubeau, Santé publique, Paris ;	D <sup>r</sup> Olivier Imhoff, néphrologue, Strasbourg ;
D <sup>r</sup> Bernard Bayle, néphrologue, association AURA Auvergne, Gerzat ;	D <sup>r</sup> Gérard Janin, néphrologue, Mâcon ;
M. Bernard Bensadoun, association ECHO, Nantes ;	P <sup>r</sup> Robert Launois, économiste de la santé, Paris ;
D <sup>r</sup> Eric Boulanger, gériatre, Lille ;	P <sup>r</sup> Michel Labeeuw, Néphrologie, Lyon ;
M. Alain Bravo, FNAIR, Guadeloupe ;	P <sup>r</sup> Thierry Lobbedez, néphrologue, Caen ;
M <sup>me</sup> Yvanie Caillé, Association Renaloo, Paris ;	M <sup>me</sup> Laïla Loste, FNAIR, Paris ;
M <sup>me</sup> Élisabeth Caniot, néphrologue association ATIR, Avignon ;	D <sup>r</sup> Hervé Maheut, néphrologue, Reims ;
D <sup>r</sup> Roland Cash, économiste de la santé, Paris ;	D <sup>r</sup> Victorio Menoyo, néphrologue ECHO, Paris ;
D <sup>r</sup> Christophe Charasse, néphrologue, Saint-Brieuc ;	P <sup>r</sup> Laurent Molinier, Santé publique, Toulouse ;
D <sup>r</sup> Maxime Cauterman, Fédération hospitalière de France, Paris ;	D <sup>r</sup> Olivier Moranne, néphrologue, Nice ;
D <sup>r</sup> Charles Chazot, néphrologue, Tassin ;	P <sup>r</sup> Muriel Rainfray, néphrologue Association nationale de télémédecine (ANTEL), Bordeaux ;
D <sup>r</sup> Yves Dimitrov, néphrologue, Haguenau ;	M <sup>me</sup> Nadine Ribet-Reinhart, MSA, Bagnolet
D <sup>r</sup> Pierre Ducimetière, épidémiologiste, Villejuif ;	D <sup>r</sup> Gilles Schutz, Fédération de l'hospitalisation privée, dialyse, Paris ;
D <sup>r</sup> Pierre-Yves Durand, néphrologue, Quimper ;	P <sup>r</sup> Éric Thervet, néphrologue, Paris ;
M <sup>me</sup> Catherine Fournier, Association française des infirmières de dialyse, transplantation et néphrologie, AFIDTN, Paris ;	D <sup>r</sup> Xavier Tillou, urologue, Caen ;
M. Jérôme Foucaud, Paris ;	P <sup>r</sup> Mondher Toumi, Santé Publique, Paris
P <sup>r</sup> Luc Frimat, Néphrologie, Nancy ;	D <sup>r</sup> Béatrice Van Osst, médecine générale, Lyon ;
P <sup>r</sup> Armelle Gentric, Gériatrie, Brest ;	D <sup>r</sup> Emmanuel Villar, néphrologue, Lyon ;
	M. Sebastien Woynar, Orkyn, France.



► **Les Collèges professionnels et associations professionnelles suivantes ont été sollicités pour l'élaboration de cette évaluation**

- Association française d'urologie ;
- Association nationale de télémédecine ;
- Association Renaloo ;
- Association Trans-forme ;
- Fédération nationale d'aide aux insuffisants rénaux ;
- Ligue REIN et SANTÉ-REIN échos ;
- Société de néphrologie ;
- Société française en économie de la santé ;
- Société française de santé publique ;
- Société française de gériatrie et gérontologie ;
- Société française de cardiologie ;
- Société francophone de dialyse ;
- Société francophone de transplantation ;
- Société francophone du diabète.

► **L'équipe**

**Haute Autorité de Santé, service évaluation économique et santé publique**

M<sup>me</sup> Isabelle BONGIOVANNI-DELAROZIERE, chef de projet ;

M<sup>me</sup> Anne-Line COUILLEROT-PEYRONDET, chef de projet ;

M<sup>me</sup> Cléa SAMBUC, chef de projet ;

M<sup>me</sup> Catherine RUMEAU-PICHON, chef du service et adjoint au directeur Évaluation médicale, économique et santé publique ;

D<sup>r</sup> Olivier SCEMAMA, adjoint au chef de service.

**Agence de la Biomédecine, Direction médicale et scientifique**

D<sup>r</sup> Cécile COUCHOUD, néphrologue-épidémiologiste, Coordination nationale de REIN, pôle REIN simulation ;

M. Yoël SAINSAULIEU, chargé d'études médico-économiques, pôle organisation et financement des activités de soin ;s

D<sup>r</sup> Hélène LOGEROT, chef du pôle organisation et financement des activités de soins ;

D<sup>r</sup> Christian JACQUELINET, conseiller scientifique après du directeur adjoint médical et scientifique et chef du pôle REIN simulation.

**Service de biostatistique des hospices civils de Lyon et Laboratoire biostatistique Santé de l'université Claude Bernard, Lyon I UMR CNRS 5558**

M<sup>me</sup> Emmanuelle DANTONY, biostatisticienne ;

M<sup>me</sup> Mad-Hélénie GUERRIN, biostatisticienne ;

P<sup>r</sup> René ECOCHARD, épidémiologiste, chef de service.

**Service documentation**

M<sup>me</sup> Mireille CECCHIN, documentaliste ;

M<sup>me</sup> Maud LEFEVRE, assistante documentaliste.

**Organisation des réunions de travail et secrétariat**

M<sup>me</sup> Aurore HERNIE, assistante, service évaluation économique et santé publique.

## Remerciements

La HAS tient à remercier l'équipe du P<sup>r</sup> Ecochard, les professionnels participants au registre REIN, les interlocuteurs des Agences régionales de Santé, les Fédérations hospitalières ainsi que tous les professionnels ayant participé à ce projet de 2011 à 2014.

~



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