EPICLIN 2019, 26èmes Journées des Statisticiens des CLCC
Faculté de Médecine Purpan, Toulouse, 15-17 mai

EQ-5D, bien-être subjectif ou capabilités

Quelle mesure de la qualité de vie faut-il employer pour estimer les QALYs ?

Philippe Tessier

SPHERE (UMR INSERM 1246), Universités de Nantes & Tours

Cellule Innovation, CHU de Nantes

SPHERE
methodS in
Patient-centered outcomes
& HEalth ResEarch

UNIVERSITÉ DE NANTES

Introduction

Poids de qualité de vie pour estimer les QALYs

- Utilisation répandue de l'EQ-5D et des poids (« utilités ») associés
- EQ-5D en cours d'évolution : du 3L au 5L

Guide HAS (2011) sur l'évaluation économique

- « Les systèmes de classification d'états de santé avec scores de préférence, validés en France, sont recommandés »
- « La question de savoir si la valeur des états de santé doit être recueillie auprès de la population générale fait débat. Certains préconisent d'interroger les patients ou les anciens patients qui ont, eux, fait l'expérience de ces états de santé. La HAS reconnaît tout l'intérêt de ce débat… »

Que doit représenter le 'Q' des QALYs (Dolan, 2008) ?

- Comment passer de la mesure de qualité de vie à un index de valeur ?
- Les préférences ? De qui ? D'autres formes de valorisation ?

Pourquoi l'EQ-5D ?

Richard Smith (The Triumph of NICE, BMJ 2004;329:0)

- "NICE may prove to be one of Britain's greatest cultural exports, along with Shakespeare, Newtonian physics, the Beatles, Harry Potter, and the Teletubbies"

Richard Smith (BMJ Blog, 2013)

- "I was wrong about the Teletubbies, but right about NICE."

Attraits de l'EQ-5D et des préférences du public

- Générique, validé en France, bref, utilisé dans de nombreux pays (comparabilité)
- Les préférences du public
  - « [La HAS] adopte une position conservatrice qui vise l'opérationnalité et qui est conforme à la préconisation des guides méthodologiques étrangers sur ce point » (HAS, 2011)

Approche économique : mesure

EQ-5D is a instrument for measuring and valuing HRQol

Les patients en répondant décrivent leur état de santé

- Ils sont les mieux placés pour le faire

Mobilité
Je n'ai aucun problème pour me déplacer à pied ☐
J'ai des problèmes pour me déplacer à pied ☒
Je suis obligé(e) de rester alité(e) ☐

Autonomie de la personne
Je n'ai aucun problème pour prendre soin de moi ☒
J'ai des problèmes pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e) ☐
Je suis incapable de me laver ou de m'habiller tout(e) seul(e) ☐

Activités courantes (*exemples : travail, études, travaux domestiques, activités familiales ou loisirs*)
Je n'ai aucun problème pour accomplir mes activités courantes ☐
J'ai des problèmes pour accomplir mes activités courantes ☒
Je suis incapable d'accomplir mes activités courantes ☐

Douleurs/gêne
Je n'ai ni douleurs ni gêne ☒
J'ai des douleurs ou une gêne modérée(s) ☐
J'ai des douleurs ou une gêne extrême(s) ☐

Anxiété/Dépression
Je ne suis ni anxieux(se) ni déprimé(e) ☒
Je suis modérément anxieux(se) ou déprimé(e) ☐
Je suis extrêmement anxieux(se) ou déprimé(e) ☐

Etat 21211

Approche économique : valorisation

EQ-5D is a instrument for measuring and valuing HRQol

Les valeurs (poids) proviennent d'un échantillon de la population

- Qui est légitime, ou pertinent, pour déterminer la valeur ?

■ **Matrice de pondération**

U(21211) = 0,69 sur échelle 0-1 (mort – parfaite santé)

Dimension	Niveau de réponse	Score de préférence	
Mobilité	1	u1	0
	2		0,15
	3		0,37
Autonomie de la personne	1	u2	0
	2		0,21
	3		0,32
Activités courantes	1	u3	0
	2		0,16
	3		0,19
Douleurs / gênes	1	u4	0
	2		0,11
	3		0,26
Anxiété / dépression	1	u5	0
	2		0,09
	3		0,20
Constante	Si au moins une dimension est au niveau 3	N3	0,17

Source : Chevalier 2010

■ **Fonction de scorage**

U(E) = 1 – u1 - u2 - u3 - u4 - u5 – N3

Problématique : quelle source de valeur ?

Quelle pertinence des scores d'utilité de l'EQ-5D ?

Pourquoi et quelles préférences ?

- Préférences du public (G.-B., France), des patients (Suède)?

L'apport de l'expérience : le bien-être subjectif

La mise en avant de l'autonomie : les capabilités

Un questionnement d'actualité

- Brazier et al. (2019), Future Directions in Valuing Benefits for Estimating QALYs: Is Time Up for the EQ-5D?, Value in health

Pourquoi les préférences de la population ?

Pour respecter l'autonomie des personnes

- Si l'adaptation n'est pas anticipée : préférences non informées
- Donne une valeur instrumentale à l'autonomie (Tessier, 2009)

Pour la perspective sociétale

- "At most, it suggests that preferences of, and effects in, others than patients matter too". (Versteegh & Brouwer, 2016)

Pour la fiction du voile d'ignorance

- Impartialité des préférences ne s'oppose pas à leur caractère informé

Pour le principe de l'assurance et le financement public

- La population générale représente le financeur

Versteegh & Brouwer (2016)

- "Although the properties of both the public and the patient preference perspectives have been extensively discussed in the literature, there does not seem to be any conclusive or theoretically sound justification for disregarding either perspective"
- Pourquoi ne pas considerer les deux types de préférences ?

La question de l'adaptation

Les préférences des patients et de la population pour des états de santé divergent

- Les patients donnent une plus grande valeur (utilité) à leur état de santé (Peeters & Stiggelbout, 2010; van Dongen et al., 2017)
- Les personnes en bonne santé ne semblent pas anticiper la capacité d'adaptation des patients (Riis et al., 2005)
- Peut-on parler de préférences informées pour la population générale (Dolan et Kahneman, 2008) ?

Pourquoi ne pas utiliser les préférences des patients ?

- On ne peut pas les comparer entre elles (Gold et al., 1996)
- Elles seraient biaisées (Dolan et Kahneman, 2008)
  - e.g. illusion de focus : rien n'est jamais aussi important qu'à partir du moment où on se demande à quel point c'est important

Abandonner les préférences comme source de valeur ?

Le recours au bien-être subjectif (BES)

Methods that really do value the 'Q' in the QALY (Dolan, 2008)

Le bien-être subjectif (BES)

- "how people experience and evaluate their lives and specific domains and activities in their lives" (NAS 2014)
- Visions de la « bonne vie » par les personnes concernées
  - Les aspects importants de la vie et leur pondération

Le BES est multiforme : 3 aspects

- Satisfaction face à la vie
- Affects positifs et négatifs
- Eudémonique
  - « people's perceptions of the meaningfulness (or pointlessness), sense of purpose, and value of their life" (NAS, 2014)

Satisfaction With Life Scale (Diener et al., 1985)

Nous présentons ci-dessous cinq énoncés avec lesquels vous pouvez être en accord ou désaccord. À l'aide de l'échelle de 1 à 7 ci-dessous, indiquez votre degré d'accord ou de désaccord avec chacun des énoncés en encerclant le chiffre approprié à la droite des énoncés. Nous vous prions d'être ouvert et honnête dans vos réponses. L'échelle de sept points s'interprète comme suit :

1 – Fortement en désaccord
2 – En désaccord
3 – Légèrement en désaccord
4 – Ni en désaccord ni en accord
5 – Légèrement en accord
6 – En accord
7 – Fortement en accord

1. En général, ma vie correspond de près à mes idéaux.
2. Mes conditions de vie sont excellentes. ____
3. Je suis satisfait(e) de ma vie. ____
4. Jusqu'à maintenant, j'ai obtenu les choses importantes que je voulais de la vie.
5. Si je pouvais recommencer ma vie, je n'y changerais presque rien. ____

Affects positifs et négatifs (SPANE)

Below is a list of a dozen different feelings. Please think about what has been happening over the past four weeks (or other agreed time period) and then tick whichever of the five columns to the right of each listed feeling that indicates how frequently you have been experiencing this emotion.

please use the 1 to 5 scale on the right – the numbers indicate how frequently you have experienced the feelings listed below		**1**	**2**	**3**	**4**	**5**
		very rarely or never	*rarely*	*some-times*	*often*	*very often or always*
a	positive					
b	negative					
c	good					
d	bad					
e	pleasant					
f	unpleasant					
g	happy					
h	sad					
i	afraid					
j	joyful					
k	angry					
l	contented					

Diener et al. (2009)

Quelle différence avec les préférences ?

Fujiwara & Dolan, 2014

Valuing mental health:

how a subjective wellbeing approach can show just how much it matters

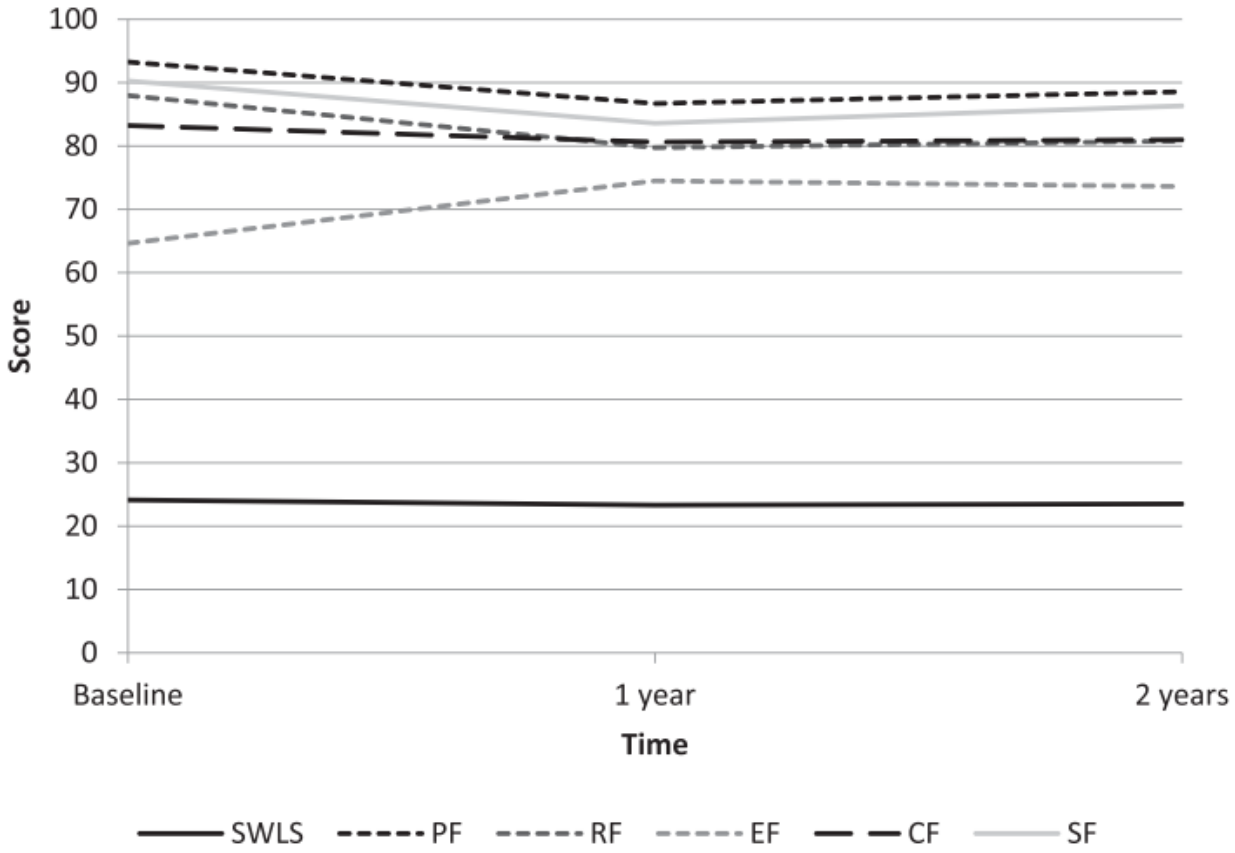
The impact of the EQ-5D on TTO and SWB in the USA

Health problem	TTO values	Life satisfaction	Daily mood
Some problems walking about	-0.146	-0.011	0.022
Confined to bed	-0.558	0.149	-0.048
Some problems washing or dressing	-0.175	-0.014	-0.026
Unable to wash or dress	-0.471	-0.165	0.059
Some problems performing usual activities	-0.14	-0.023*	-0.026
Unable to perform usual activities	-0.374	-0.323*	-0.07
Moderate pain or discomfort	-0.173	-0.010*	-0.041*
Extreme pain or discomfort	-0.537	-0.129*	-0.145*
Moderately anxious or depressed	-0.156	-0.151*	-0.218*
Extremely anxious or depressed	-0.45	-0.350*	-0.454*
Sample	3,773	1,169	1,166

Le changement dans la stabilité

Tessier, Blanchin et Sébille, 2017, Social Science & Medicine

- La structure interne du BES peut ne pas être stable
- Poids de SF change à 2 ans d'un diagnostic de cancer



La disposition à payer un QALYs

Social Science & Medicine 211 (2018) 131–136

Contents lists available at ScienceDirect

Social Science & Medicine

journal homepage: www.elsevier.com/locate/socscimed

Life satisfaction, QALYs, and the monetary value of health

Li Huang[a,*], Paul Frijters[b], Kim Dalziel[a], Philip Clarke[a]

[a] Centre for Health Policy, Melbourne School of Population and Global Health, The University of Melbourne, Melbourne, Australia
[b] Centre for Economic Performance, London School of Economics, London, United Kingdom

Régression de mesures du BES sur la santé et le revenu

Pour en déduire la disposition à payer (DAP) un QALY

- Entre 42000 et 47000 dollars australiens
- Mais 112000 dollars pour une année de « parfait » BES

Obtiennent une DAP pour éviter une maladie chronique même en contrôlant de la santé (SF-6D)

The Well-Being QALY (WELBY)

Pondérer les années par le BES

- On convertit les scénarii de vie en équivalents d'années de bonne vie (Layard, 2016; Cookson et al., 2019)
- On prend ainsi en compte plus de dimensions de la vie que les seules dimensions de la santé

Une différence de notion ou de champ ?

- On pourrait concevoir d'évaluer les préférences sur un ensemble plus grand d'attributs (Richardson et al., 2014)
- Cela poserait des questions sur la faisabilité : charge cognitive de l'expérience

Préférences vs bien-être subjectif

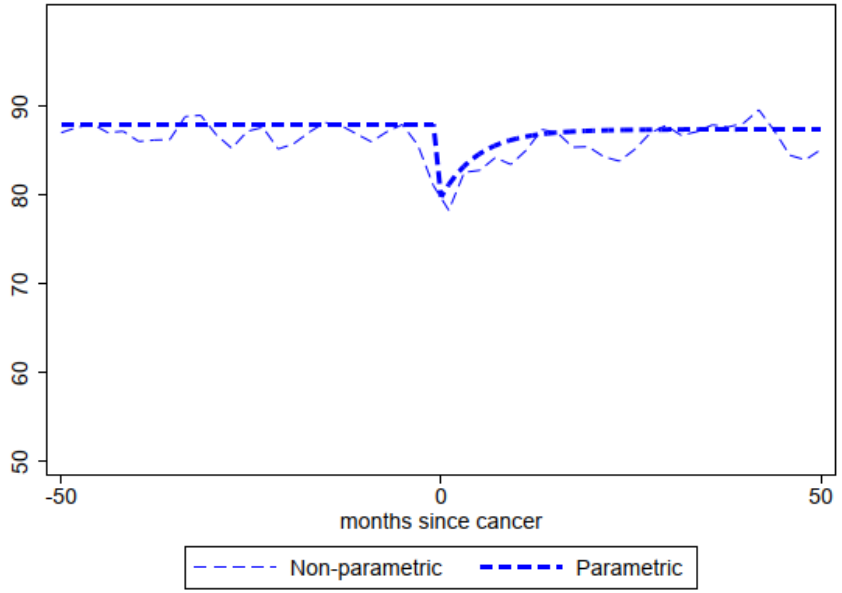
- Anticipations vs expériences vécues
- Quels effets de l'adaptation sur le BES ?

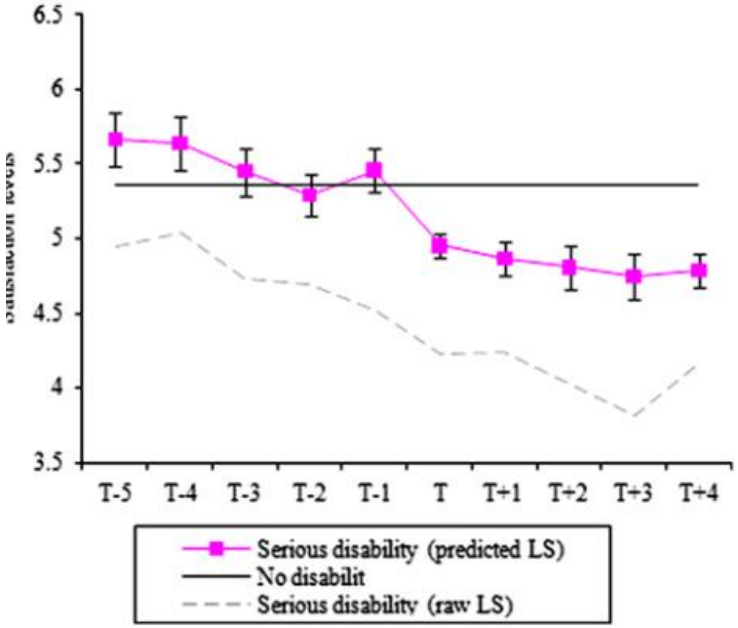
Le problème moral de l'adaptation

Adaptation hédonique

- L'impact d'un stimulus durable ou répété sur le BES s'atténue au fil du temps (Frederick & Loewenstein, 1999)
- Référence à l'étude de Brickman et al. (1978) : personnes paraplégiques vs gagnants à la loterie

Adaptation hédonique à la santé : pas en toutes circonstances





Source : Powdthavee (2009) & Kimball et al. (2015)

L'approche des capabilités

Amartya Sen rejette les théories des « états mentaux »

- Les évaluations subjectives « distordent » l'appréciation du bien-être
- L'adaptation pose un problème moral dans les comparaisons interpersonnelles

L'approche par les capabilités (Sen, 1985, 1993)

- Fonctionnements : ce qu'une personne est ou fait
  - Manger à sa faim, être en bonne santé, être satisfait de sa vie…
- Capabilités : ensemble des fonctionnements accessibles
  - Une personne qui jeûne a la capacité de manger à sa faim
- Proposer une évaluation en termes de capabilités valorise la liberté de choix (autonomie)
  - Solution au problème moral de l'adaptation
  - Intégrer ce que l'on peut faire et être (pas seulement santé)

Opérationnaliser les capabilités (1/2)

Une approche difficile à appliquer

- Comment observer des contrefactuels ?
- Recours aux capabilités perçues : 2 écoles

L'approche de Anand & van Hees (2005)

- On interroge les personnes sur leur perception des capabilités dans un domaine de la vie ou en général

1.3 I feel the **scope to live a healthy life, for my age,** is:

Very Good			*Neutral*			*Very inadequate*
1	**2**	**3**	**4**	**5**	**6**	**7**

1.8 Taking all things together, I think **my options** are:

Very Good			*Neutral*			*Very inadequate*
1	**2**	**3**	**4**	**5**	**6**	**7**

Opérationnaliser les capabilités (2/2)

L'approche de Coast et al. (2008)

- On utilise un langage évoquant la possibilité d'atteindre un fonctionnement « je peux », « je suis en mesure »
- Diffère du fonctionnement lui-même : je suis, j'ai

ICECAP-A (ICEpop CAPability measure for Adults, 5 dimensions)

1. Feeling settled and secure

I am able to feel settled and secure in **all** areas of my life	4
I am able to feel settled and secure in **many** areas of my life	3
I am able to feel settled and secure in **a few** areas of my life	2
I am **unable** to feel settled and secure in **any** areas of my life	1

2. Love, friendship and support

I can have **a lot** of love, friendship and support	4
I can have **quite a lot** of love, friendship and support	3
I can have **a little** love, friendship and support	2
I **cannot** have **any** love, friendship and support	1

Validité convergente ICECAP

Linton et al., 2018, Applied Research in Quality of Life

Table 4 Correlation coefficents between the ICECAP-A and three related measures across sub-samples

	Samples[a]	EQ-5D-5 L	SWLS	SF-6D
Germany	Overall sample	.62	.66	.64
	Healthy	.35	.61	.47
	Arthritis	.53	.58	.64
	Asthma	.61	.52	.56
	Cancer	.57	.70	.57
	Depression	.48	.54	.56
	Diabetes	.55	.62	.57
	Hearing loss	.58	.60	.57
	Heart disease	.66	.66	.70

La difficulté d'opérationnalisation

Passer des concepts aux outils (Coast et al., 2015)

- Les dimensions de l'ICECAP sont traduites en index à l'aide des résultats d'une étude de type « best-worst »
- Hypothèse : cette méthode révèle les valeurs, pas les préférences des personnes interrogées (Coast et al., 2008)

De la mesure à la valeur

- La valorisation subjective des capabilités peut présenter les mêmes problèmes que les mesures des préférences ou BES
- La recherche d'un index à partir des dimensions pourrait ne pas traduire le concept de capabilités (Karimi et al., 2018)

Les capabilités perçues face au BES

- La liberté de choix peut contribuer au BES
- Dans ce cas, quel apport de la perception des capabilités ?

BES et capabilités perçues (1/2)

En quoi le BES et les capabilités perçues diffèrent-ils ?

- On peut postuler que le BES dépend des possibilités dans la vie
- La perception des capabilités apporte-t-elle quelque chose ?

Comparer BES et capabilités perçues (Tessier & Thuilliez, 2018)

- Etude des déterminants des deux types de mesures chez des personnes confrontées au cancer (sein, mélanome)
- Données longitudinales, quatre mesures sur 2 ans, 293 patients cancer du sein et mélanome
- Corrélations entre BES, capabilités perçues et dimensions de la santé
- Utilisation de mesures globales et liées à la santé

BES et capabilités perçues (2/2)

Similitudes mais surtout différences dans les déterminants

- BES et capabilités perçues représenteraient des concepts différents
- Mais différences ne valident pas les mesures de capabilités perçues

	Satisfaction with life (SWL)	Overall capabilities (OPC)	Satisfaction with health (SWH)	Capability for health (HPC)
QLQ-C30 physical	0.221** (0.110)	0.084* (0.045)	0.259*** (0.079)	0.074* (0.041)
QLQ-C30 role	0.047 (0.057)	0.039* (0.021)	0.144*** (0.043)	0.010 (0.025)
QLQ-C30 emotional	0.364*** (0.062)	0.099*** (0.022)	0.122*** (0.037)	0.054** (0.023)
QLQ-C30 social	0.061 (0.060)	0.084*** (0.026)	0.103** (0.040)	0.047* (0.027)
QLQ-C30 cognitive	−0.010 (0.066)	−0.008 (0.027)	−0.030 (0.045)	−0.035 (0.024)

Conclusion (1/2)

La facilité et la fréquence d'utilisation de l'EQ-5D ne doivent pas empêcher de s'interroger sur la pertinence de l'outil

- La validité et la sensibilité sont « secondaires » (au sens temporel)

Les arguments en faveur de l'utilisation de l'EQ-5D sont discutables

- Les approches en termes de bien-être subjectif et de capabilités apparaissent au moins aussi pertinentes et aussi discutables

Faut-il rejeter l'EQ-5D ?

- Les approches alternatives sont encore « expérimentales »
  - Cela dépend de considérations empiriques et normatives à développer et explorer
  - L'essentiel des arguments « pratiques » semble porter sur l'apport des dimensions hors santé -> paradoxe ?
- Une manière de participer à l'expérience consiste à inclure des travaux sur ces aspects dans les objectifs secondaires
  - Analyse de sensibilité en fonction du type de poids ?

Conclusion (2/2)

EQ-5D, bien-être subjectif ou capabilités ?

Patty *et al. BMC Ophthalmology* (2018) 18:98
https://doi.org/10.1186/s12886-018-0761-y

BMC Ophthalmology

RESEARCH ARTICLE Open Access

A cost-effectiveness study of ICT training among the visually impaired in the Netherlands

Nathalie J. S. Patty*, Marc Koopmanschap and Kim Holtzer-Goor

Table 3 Costs, effects and cost-effectiveness of ICT training per respondent who completed training

	QALYs gained	Well-being years gained	Differences in costs	Costs per extra QALY	Costs per extra year of well-being gained
Costs of training	0.265	0.385	€ 3011	€ 11,362	€ 7821
Cost of training (incl. costs of dropouts)	0.265	0.385	€ 3451	€ 13,023	€ 8964
Training and medical costs	0.265	0.385	€ 4448	€ 16,785	€ 11,553
Costs for training and 5-year persistent effects	0.133	0.193	€ 3011	€ 22,725	€ 15,642
Costs for training and 15-year persistent effects	0.398	0.578	€ 3011	€ 7575	€ 5214

To be continued…

Merci de votre attention

"Euclid is supposed to have told Ptolemy: "there is no 'royal road' to geometry". It is not clear that there is any royal road to evaluation of economic or social policies either. A variety of considerations that call for attention are involved, and evaluations have to be done with sensitivity to these concerns." (Sen, 1999, p.85, cité par Versteegh & Brouwer, 2016)