RAPPORT KCE 342Bs

Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg
Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé
Belgian Health Care Knowledge Centre

## SYNTHÈSE

# UNE MATRICE DE VALORISATION BELGE POUR L'EQ-5D-5L

## COMMENT ÉVALUER LA QUALITÉ DE VIE LIÉE À LA SANTÉ ?





RAPPORT KCE 342Bs
ÉTUDE SUR LES SERVICES DE SANTÉ

Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg
Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé
Belgian Health Care Knowledge Centre

## SYNTHÈSE

# UNE MATRICE DE VALORISATION BELGE POUR L'EQ-5D-5L

## COMMENT ÉVALUER LA QUALITÉ DE VIE LIÉE À LA SANTÉ ?

NICOLAS BOUCKAERT, SOPHIE GERKENS, STEPHAN DEVRIESE, IRINA CLEEMPUT

# AVANT-PROPOS

Depuis de longues années, les décisions en matière de remboursement d'interventions de santé se font en tenant compte de l'impact de la maladie et du traitement sur la qualité de vie des patients concernés. Comme ces décisions doivent répondre à la fois aux besoins des individus et de la société, il était important pour les décideurs que ces données sur la qualité de vie puissent être comparées pour des patients atteints de pathologies différentes. C'est désormais possible grâce au développement d'une matrice de valorisation pour l'un des instruments de mesure de la qualité de vie les plus utilisés en Europe, l'EQ-5D-5L.

Cette étude a été entièrement menée selon le protocole prescrit par le groupe EuroQol, l'organisation qui a développé l'instrument EQ-5D-5L. Pour la collecte de données dans la population belge, nous avons même voulu aller plus loin que les instituts de recherche des autres pays qui se livrent au même exercice. En effet, il était extrêmement important à nos yeux que l'échantillon soit bien représentatif de l'ensemble de la population. Puisque la matrice de valorisation est destinée à guider des décisions qui affecteront toute la population, elle doit refléter les valeurs de l'ensemble de cette population. Vu la complexité de l'évaluation de la qualité de vie en soi, cet exigence ajoutait un fameux défi à l'exercice. C'est alors que la pandémie de COVID-19 a éclaté… La collecte des données – qui se déroulait en face à face au domicile des personnes interrogées – a dû être prématurément interrompue. Nous avons pourtant réussi à atteindre notre objectif de représentativité. Notre sous-traitant Profacts, ainsi que les interviewers recrutés, ont fait tout leur possible pour répondre aux exigences fixées, et nous leur savons gré de leurs efforts et de leur persévérance.

Nous souhaitons également remercier le groupe EuroQol pour le cofinancement de cette étude. Le budget était en effet considérable, du simple fait du niveau d'exigence de qualité. Sans ce soutien, nous n'aurions tout simplement pas pu développer cette matrice de valorisation essentielle pour permettre à nos autorités des estimations précises de l'impact potentiel des maladies et des interventions de santé sur la qualité de vie. Combinée aux données EQ-5D-5L de l'Enquête de Santé de Sciensano – le demandeur de cette étude – cette matrice constituera un atout important pour les futures politiques de santé fondées sur des données probantes.

| | | |
|---|---|---|
| Christophe JANSSENS | Irina CLEEMPUT | Marijke EYSSEN |
| Directeur général adjoint a.i. | Directeur Programme Scientifique a.i. | Directeur général a.i. |

# MESSAGES CLÉS

- L'EQ-5D-5L est un instrument de mesure de la santé et de la qualité de vie liée à la santé. Il évalue cinq dimensions clés de la santé : la mobilité, l'autonomie, les activités courantes, la douleur/la gêne et l'anxiété/la dépression (5D). Pour chaque dimension, il existe cinq niveaux de sévérité (5L). La combinaison des cinq dimensions et des cinq niveaux de sévérité permettent de distinguer 3 125 états de santé possibles.
- Cette étude développe une matrice de valorisation belge pour l'EQ-5D-5L, en attribuant à chaque état de santé décrit par l'instrument une valeur de qualité de vie liée à la santé (appelée score d'utilité). Une mise à jour de la matrice développée en 2003 était nécessaire.
- Afin de développer la nouvelle matrice de valorisation, nous avons utilisé la dernière version de l'EQ-5D ainsi que les techniques d'enquête et d'analyse les plus performantes :
  - Une enquête a été menée auprès d'un échantillon de la population belge (892 répondants). L'échantillon a été constitué aléatoirement et était représentatif en termes d'âge, de sexe, de région, d'état de santé auto-déclaré, de qualité de vie liée à la santé, de formation et de statut professionnel.
  - Lors d'interviews structurées, différents états de santé hypothétiques ont été présentés aux répondants, qui devaient les évaluer.
  - Les informations obtenues donnent une vue d'ensemble de l'importance que la population attache à un problème de santé et à chacune des cinq dimensions de la santé. Sur cette base, un modèle a été développé pour déterminer les scores d'utililté de 3 125 états de santé.
- L'EQ-5D-5L peut être utilisé avec cette nouvelle matrice de valorisation pour orienter les décisions politiques.
  - Il peut être utilisé comme "*patient-reported outcome measure*" (PROM – un instrument de mesure des résultats rapportés par les patients). Les PROM sont de plus en plus utilisés pour évaluer les effets des interventions de santé, mais aussi pour améliorer la qualité des soins.
  - Il peut être utilisé pour les évaluations cliniques et économiques d'interventions de santé. Une standardisation des méthodes, atteinte grâce à l'utilisation de l'instrument EQ-5D-5L et de la matrice de valorisation EQ-5D-5L belge, permettra d'augmenter la comparabilité et l'utilité de ces évaluations dans la politique de santé.
  - Il permet de mieux connaître l'état de santé et la qualité de vie liée à la santé de la population en général, et de sous-groupes de patients spécifiques.

# SYNTHÈSE

## TABLE DES MATIÈRES


■ **AVANT-PROPOS** ..... **1**
■ **MESSAGES CLÉS** ..... **2**
■ **SYNTHÈSE** ..... **3**
**1. NOTE INTRODUCTIVE POUR LES NON-INITIÉS** ..... **7**
1.1. POURQUOI UN RAPPORT SUR LA MESURE DE LA QUALITÉ DE VIE LIÉE À LA SANTÉ ? ..... 7
1.2. CINQ DIMENSIONS, CINQ DEGRÉS ..... 7
1.3. DE LA DESCRIPTION À L'ÉVALUATION ET À LA COMPARAISON ..... 7
1.4. COMMENT ABORDER CE RAPPORT DE SYNTHÈSE ? ..... 9
**2. CONCEPTS-CLÉS** ..... **10**
2.1. LA QUALITÉ DE VIE LIÉE À LA SANTÉ ..... 10
2.1.1. Définition ..... 10
2.1.2. Les scores d'utilité et les QALY ..... 10
2.1.3. Guidelines belges pour les évaluations économiques ..... 11
2.2. L'INSTRUMENT EQ-5D-5L ..... 11
**3. OBJECTIF DE CETTE ÉTUDE** ..... **14**
**4. MÉTHODE** ..... **14**
4.1. L'ÉCHANTILLON – QUI A PARTICIPÉ ET QUAND ..... 14
4.2. QUELLES TECHNIQUES D'ENQUÊTE ONT ÉTÉ UTILISÉES ? ..... 17
4.2.1. L'exercice Time Trade-Off composé ..... 17
4.2.2. Expérience de choix discret ..... 19
4.2.3. Contrôle de la qualité des données ..... 19
4.3. ANALYSE DES DONNÉES ..... 19
**5. LA MATRICE DE VALORISATION EQ-5D-5L BELGE** ..... **20**
5.1. REPRÉSENTATIVITÉ DE L'ÉCHANTILLON ..... 20
5.2. RÉSULTATS DE L'EXERCICE CTTO ..... 20

5.2.1. Dispersion et variation ..... 20
5.2.2. Validité des résultats cTTO ..... 21
5.2.3. Inconscience, douleur et gêne ..... 21
5.3. RÉSULTATS DE L'EXPÉRIENCE DC ..... 22
5.4. TABLEAU FINAL DE LA MATRICE DE VALORISATION EQ-5D-5L BELGE ..... 22
**6. EN QUOI LA NOUVELLE MATRICE BELGE REPRÉSENTE-T-ELLE UN PROGRÈS ? ..... 24**
6.1. LES POINTS FORTS DE CETTE MATRICE DE VALORISATION ..... 24
6.2. COMPARAISON AVEC LA MATRICE DE VALORISATION 3L ET AVEC LES MATRICES 5L D'AUTRES PAYS ..... 25
6.2.1. Un éventail plus large de scores d'utilité avec cinq niveaux de sévérité ..... 25
6.2.2. La matrice de valorisation belge diffère de celle des pays voisins ..... 27
6.3. OÙ ET QUAND APPLIQUER LA NOUVELLE MATRICE DE VALORISATION BELGE EQ-5D-5L ? 29
6.3.1. Utiliser l'EQ-5D-5L comme PROM ..... 29
6.3.2. Une vision réaliste de l'efficacité et du rapport coût-efficacité ..... 29
6.3.3. Une meilleure vision de la santé publique ..... 30
- **RECOMMANDATIONS ..... 31**
- **RÉFÉRENCES ..... 32**

# LISTE DES ABRÉVIATIONS / GLOSSAIRE

| Abréviation | Définition | Explication |
|---|---|---|
| 5D | Five dimensions of health | Cinq dimensions de la santé : mobilité, autonomie de la personne, activités courantes, douleur/gêne, anxiété/dépression (voir section 2.2). |
| 3L/5L | Three/Five Levels | Trois/cinq niveaux de sévérité pour chacune des cinq dimensions de la santé : « aucun problème », « problèmes modérés», « problèmes extrêmes » (3L) ; « aucun problème », « problèmes légers», « problèmes modérés », « problèmes sérieux », « problèmes extrêmes » (5L) (voir section 2.2). |
| AVC | Accident vasculaire cérébral | |
| cTTO | Composite Time Trade-off | Méthode composite d'arbitrage temporel : une technique d'évaluation de la qualité de vie liée à la santé basée sur la base d'un « échange » d'années de vie (voir section 4.2.1) |
| DCE<br>DC-experiment | Discrete Choice Experiment | Expérience de choix discret : méthode de mesure des préférences basée sur le choix d'une alternative entre deux ou plusieurs options (voir section 4.2.2) |
| DS | Déviation standard | |
| EQ | EuroQol | EuroQol (voir Encadré 3) |
| EQ-VT | EuroQol Valuation Technology | Un logiciel, des guides d'instruction et un protocole qui définissent et contrôlent la qualité de la réalisation et du traitement des interviews EQ-5D (voir section 4.2 et suivantes). |
| EUnetHTA | European network for Health Technology Assessment | Réseau européen d'organismes publics, d'agences et d'autres organisations impliquées dans l'évaluation des technologies de la santé. |
| EVA | Échelle visuelle analogique | L'échelle visuelle analogique fait partie de l'EQ-5D et enregistre l'état de santé rapporté par une personne sur une échelle continue. Le résultat peut être utilisé comme une mesure quantitative de la santé déclarée et de la qualité de vie liée à la santé. |
| HRQoL | Health-Related Quality of Life | Qualité de vie liée à la santé |

| | | |
|---|---|---|
| $HUI_3$ | Health Utilities Index Mark 3 | Instrument de mesure de la santé et de la qualité de vie liée à la santé. |
| PROM | Patient-Reported Outcome Measure | Instrument de mesure des résultats déclarés par le patient : fournit des informations sur la manière dont les patients évaluent leur état de santé et leur qualité de vie liée à la santé sur la base de questionnaires. |
| QALY | Quality-Adjusted Life-Year | Année de vie corrigée pour la qualité de vie (voir Encadré 2). |
| SILC | Statistics on Income and Living Conditions | Enquête sur les revenus et les conditions de vie |
| SF-6D | Short-Form Six Dimensions | Instrument de mesure de la santé et de la qualité de vie liée à la santé. Le SF-6D est une version raccourcie du SF-36. |
| TTO | Time Trade-Off | Arbitrage temporel - Time Trade-Off: technique d'évaluation pour mesurer la qualité de vie liée à la santé basée sur un « échange » d'années de vie (voir section 4.2.1) |

# 1. NOTE INTRODUCTIVE POUR LES NON-INITIÉS

Quelle est la signification de cette étude dans la politique belge des soins de santé ?

## 1.1. Pourquoi un rapport sur la mesure de la qualité de vie liée à la santé ?

Nous vivons (en moyenne) plus longtemps qu'avant. Cette évolution est due à de nombreux facteurs, dont notamment les progrès de la médecine et des soins au cours de ces cent dernières années. Mais prolonger la vie ne peut pas être le seul objectif ; il faut aussi améliorer ou préserver la qualité de vie.[1, 2]

Chaque jour, des décisions sont prises en matière de soins de santé, qui ont des répercussions sur la vie et la santé de la population. Par exemple, les patients atteints de telle maladie ont-ils besoin de davantage de soins ? Tel nouveau traitement fonctionne-t-il bien ? Offre-t-il un bon rapport coût-efficacité ? Et enfin, notre assurance maladie obligatoire couvrira-t-elle (en partie) les coûts de ce traitement ?

Pour répondre à ces questions, nous devons être capables de mesurer l'impact de la santé (ou de la maladie) sur notre vie, ou plus précisément, sur notre espérance de vie et notre qualité de vie. En ce qui concerne l'espérance de vie, la mesure est relativement facile : il s'agit du temps, exprimé en années ou en mois : les patients atteints de telle ou telle maladie vivent-ils moins longtemps que les personnes qui n'en sont pas atteintes ? Tel nouveau traitement permet-il réellement de prolonger leur vie ?

Par contre, la mesure de la qualité de vie est beaucoup plus complexe, car il s'agit d'un concept large, difficile à définir et subjectif : chacun peut lui donner un sens différent. Pratiquement tous les aspects de la vie influencent la qualité de vie : les relations, le statut social, les revenus, la liberté, l'autonomie, l'environnement, les attentes... et, bien sûr, la santé. Car, soyons honnêtes, l'impact de la santé sur la qualité de vie est immense. D'ailleurs, ne nous souhaitons nous pas les uns les autres, chaque premier janvier, une « bonne année », mais aussi une « bonne santé » ? Bref, santé et qualité de vie sont fortement liées.

L'influence spécifique qu'exerce la santé sur la qualité de vie est appelée « qualité de vie liée à la santé » (généralement abrégé en HRQoL, pour « *Health-Related Quality of Life* »).[3] Il s'agit d'un concept plus précis et mieux limité que la qualité de vie en général. Pour mesurer la qualité de vie liée à la santé, on utilise des questionnaires standardisés portant sur diverses dimensions de la santé.

## 1.2. Cinq dimensions, cinq degrés

L'EQ-5D-5L est l'un de ces questionnaires. Il mesure cinq dimensions importantes de la santé (5D) : la mobilité, l'autonomie de la personne, les activités courantes, la douleur/la gêne et l'anxiété/la dépression. Pour chaque dimension, il comporte cinq degrés de sévérité (5L). Une courte vidéo d'introduction sur l'EQ-5D-5L est visible ici (vidéo en anglais).[4]

L'EQ-5D-5L est disponible dans plus de 200 langues et est utilisé dans le monde entier. Il a fait l'objet de recherches approfondies qui montrent que, malgré sa simplicité, il constitue un moyen robuste, fiable et sensible de mesurer la santé pour un large éventail d'affections, de populations et de traitements. En d'autres termes, il s'agit d'un instrument générique qui peut être utilisé pour de très nombreuses applications (voir section 2.2).

## 1.3. De la description à l'évaluation et à la comparaison

**Comment fonctionne l'EQ-5D-5L en pratique ?** Les personnes cochent des cases pour indiquer comment elles évaluent leur propre santé pour chacune des cinq dimensions au moment de l'enquête. Pour chaque dimension, elles peuvent choisir parmi cinq degrés de sévérité. Prises ensemble, ces cinq dimensions forment une description globale de l'état de santé de la personne à ce moment-là. Cette description est ensuite convertie en une valeur, un score (dit « score d'utilité » ou « utilité » dans le jargon technique) qui représente la qualité de vie liée à la santé d'une personne dans cet état de santé. Ce score peut aider à orienter les décisions politiques (voir plus loin).

Le présent rapport concerne précisément la conversion des états de santé décrits par l'EQ-5D-5L en valeurs chiffrées de qualité de vie (dont l'ensemble constitue une « matrice de valorisation » pour l'EQ-5D-5L). Concrètement, les scores d'utilité permettent de déterminer si un état de santé est préférable à un autre. Par exemple, on peut se demander si une maladie qui entraîne une forte restriction de la mobilité a un impact plus important sur la qualité de vie qu'une maladie qui rend les gens modérément dépressifs ou anxieux. De prime abord, ceci pourrait laisser à penser que l'on compare des pommes et des poires, mais ce n'est pas le cas, car le caractère générique de l'EQ-5D-5L et la conversion de l'impact de différents problèmes de santé sur différentes dimensions de la santé en un seul score rendent ce type de comparaison possible.

**Qui évalue les problèmes de santé ?** Les études démontrent que les populations de différents pays accordent une valeur différente aux problèmes de santé. Il est donc souhaitable que la population belge (ou du moins un échantillon représentatif de celle-ci) puisse se prononcer sur la valeur qu'elle accorde aux différents problèmes de santé. Cela contribuera également à orienter la politique belge en matière de soins de santé.

En Belgique, la matrice de valorisation jusqu'à présent utilisée dans les décisions politiques était basée sur une enquête de 2003, menée uniquement au sein d'une population flamande et avec une version obsolète de l'EQ-5D.[5] Il s'avérait donc bien nécessaire de réaliser une mise à jour de cette matrice, en se basant sur un échantillon représentatif de l'ensemble de la population belge, et en utilisant la dernière version de l'EQ-5D et les techniques d'enquête et d'analyse les plus performantes.

**L'objectif de cette étude est donc de développer une nouvelle matrice de valorisation belge pour l'EQ-5D-5L** qui permet de traduire un état de santé en qualité de vie liée à la santé.

### Encadré 1 – L'EQ-5D en pratique – quelques exemples simplifiés

#### *Exemple 1 – L'EQ-5D-5L pour évaluer l'efficacité d'un traitement*

Supposons qu'un nouveau médicament pour le traitement du cancer du poumon métastatique soit sur le point d'arriver sur le marché. Avant d'envisager son remboursement, les autorités de santé se demandent si ce nouveau médicament est bien plus efficace que le traitement existant.

Il est donc demandé au fabricant de comparer, dans le cadre d'une étude clinique, le nouveau traitement au traitement existant. Les résultats particulièrement intéressants sont les différences en termes d'allongement de la durée de vie et d'impact sur la qualité de vie.

Dans l'étude clinique, une partie des patients reçoit le traitement existant, tandis qu'une autre partie reçoit le nouveau médicament. Pour mesurer l'impact sur la qualité de vie, tous les patients (dans les deux bras de l'étude) rempliront l'EQ-5D-5L avant et après le traitement. L'état de santé de chaque patient pour chaque phase de traitement (avant / après) est ensuite converti en un score provenant de la nouvelle matrice de valorisation belge. Le gain en qualité de vie peut donc non seulement être calculé par type de traitement, mais aussi comparé entre traitements. Cependant, il n'est pas toujours possible d'effectuer un suivi à long terme de l'état de santé des patients. Parfois, le chercheur commence par une ou quelques mesures de la santé des patients à l'aide de l'EQ-5D-5L et modélise ensuite l'évolution ultérieure de la maladie. En se basant sur des études cliniques antérieures sur l'évolution de la maladie, il peut alors extrapoler la séquence des états de santé que le patient va connaître avec le traitement existant et avec le nouveau traitement, ainsi que la durée de chaque état. Avec la nouvelle matrice, l'impact de tous ces états de santé consécutifs sur la qualité de vie liée à la santé peut alors être évalué.

Cet exercice permet de déduire si la qualité de vie liée à la santé des patients s'est améliorée ou détériorée suite au nouveau traitement, et aussi de comparer cette amélioration ou détérioration à celle qu'offrait le traitement existant.

***Exemple 2 – L'EQ-5D-5L pour évaluer le rapport coût-efficacité d'un traitement***

Supposons, à partir de l'exemple 1, que le coût du nouveau traitement soit beaucoup plus élevé que celui du traitement existant. En fonction du prolongement de la vie et de la meilleure qualité de vie obtenus grâce au nouveau traitement, le décideur politique peut déterminer si ces gains de santé sont suffisamment importants pour justifier le coût supplémentaire.

***Exemple 3 – L'EQ-5D-5L pour comparer l'efficacité et le rapport coût-efficacité de traitements pour des maladies très différentes.***

Supposons que le budget consacré au remboursement des nouveaux traitements soit limité. Outre le nouveau traitement du cancer du poumon (exemples 1 et 2), un nouveau traitement de la dépression profonde est également sur la table des négociations. Lequel des deux offre le plus grand gain de santé et à quel coût ?

La matrice de valorisation belge permet de comparer des traitements totalement différents pour des maladies totalement différentes.

Elle permet en outre d'avoir un aperçu non seulement de l'efficacité et du rapport coût-efficacité de ces deux interventions, mais aussi de comparer l'état de santé de deux groupes de patients affectés par deux maladies complètement différentes.

***Exemple 4 – L'EQ-5D-5L pour identifier les besoins de santé des patients***

L'EQ-5D-5L peut également servir de thermomètre pour identifier des besoins médicaux non satisfaits dans un sous-groupe de patients, en comparant la santé des patients de ce sous-groupe à celle d'un sous-groupe similaire (en termes d'âge et de sexe) dans la population générale.

Par exemple, supposons que, malgré un traitement réussi, les résultats du questionnaire EQ-5D soumis aux patients atteints d'un cancer du poumon démontrent qu'ils éprouvent des sentiments d'anxiété beaucoup plus forts qu'un groupe similaire de la population. Ces sentiments d'anxiété ont un fort impact sur leur qualité de vie. L'identification de ce besoin peut conduire à l'organisation d'un accompagnement psychologique approprié pour cette population de patients.

***Exemple 5 – L'EQ-5D-5L pour monitorer la qualité des soins***

Il y a quelques années, un hôpital régional a décidé de mieux contrôler la qualité de la chirurgie orthopédique. Plus précisément, les patients admis pour une opération de prothèse de hanche ont été invités à décrire leur état de santé avant l'opération, à l'aide de l'instrument EQ-5D-5L, puis à la sortie de l'hôpital et lors des contrôles ultérieurs avec le chirurgien. L'hôpital a utilisé ces informations pour évaluer l'amélioration de la santé (et plus particulièrement des dimensions douleur et mobilité) et de la qualité de vie obtenues grâce à l'opération.

D'autres hôpitaux du même réseau hospitalier ont également commencé à recueillir les mêmes données EQ-5D-5L. Un groupe de travail a examiné ces données et a constaté que l'amélioration de la santé et de la qualité de vie était nettement supérieure dans l'un des hôpitaux du réseau. Le parcours de soins de l'hôpital le plus performant a alors été analysé de façon approfondie afin d'identifier les bonnes pratiques pouvant être reproduites dans les autres hôpitaux, et tous les hôpitaux du réseau ont ensuite adapté leurs procédures. L'impact des nouvelles procédures sur les résultats des patients a été mesuré et suivi à l'aide de l'EQ-5D.

## 1.4. Comment aborder ce rapport de synthèse ?

Le présent document est une synthèse d'une étude très technique du KCE qui a mené à la définition d'une nouvelle matrice de valorisation (en fait, ni plus, ni moins qu'un grand tableau avec des scores d'utilité) pour l'instrument EQ-5D-5L dans le contexte belge.

Cette étude a nécessité une enquête approfondie auprès d'un échantillon représentatif de la population belge, en utilisant des techniques d'enquête et des méthodes d'évaluation modernes, associées à un contrôle de qualité rigoureux et à une modélisation statistique solide.

Dans cette synthèse, nous tentons de donner un premier aperçu de l'exercice réalisé ; elle s'adresse principalement aux personnes qui sont

impliquées de près ou de loin dans les décisions politiques sur les remboursements des soins de santé, dans les études épidémiologiques sur la santé, dans les évaluations de la qualité des interventions de santé, et dans tous les autres domaines dans lesquels l'EQ-5D-5L peut être utilisé. Pour une discussion approfondie de la méthodologie utilisée et des résultats ainsi que pour visualiser la matrice de valorisation finale, nous renvoyons le lecteur au rapport scientifique.

# 2. CONCEPTS-CLÉS

## 2.1. La qualité de vie liée à la santé

### *2.1.1. Définition*

En pratique, nous utilisons pour la qualité de vie liée à la santé une définition proposée par *l'European network for Health Technology Assessment* (EUnetHTA) en 2013, basée sur les définitions de l'Agence européenne des médicaments (2006) et de la Food and Drug Administration (2009): *« la perception subjective générale d'un patient de l'impact de la maladie et des interventions sur les aspects physiques, psychologiques et sociaux de la vie quotidienne. »*[3, 6, 7] Il s'agit donc d'un concept multidimensionnel influencé de manière complexe par la santé physique d'une personne, son état psychologique, ses relations sociales, etc.

### *2.1.2. Les scores d'utilité et les QALY*

On considère généralement que les mesures les plus importantes des effets d'un traitement ou d'une intervention médicale sur la santé sont le nombre d'années de vie gagnées et le gain en qualité de vie liée à la santé. Le QALY (« *quality adjusted life year* ») réunit ces deux effets en une seule mesure en « corrigeant » le nombre d'années de vie gagnées par la qualité de vie (voir Encadré 2).[3]

Pour effectuer cette correction, nous avons besoin de pondérations qui reflètent la désirabilité relative des états de santé. Ces pondérations sont précisément les « scores d'utilité » (aussi appelés « utilités ») obtenus à partir de l'EQ-5D-5L. En fait, il s'agit de facteurs de correction qui reflètent l'impact d'un problème de santé sur la qualité de vie. Ils sont exprimés sur une échelle où 1 représente une santé parfaite et 0 la mort.[8, 9]

**Encadré 2 – Années de vie corrigées pour la réduction de la qualité de vie – QALY**

Le QALY est une mesure générique qui corrige la durée de vie par la qualité de cette vie. Cette qualité de vie est représentée par le score d'utilité.

Afin d'ajuster la durée de vie par la qualité de vie dans un modèle QALY, le score d'utilité d'un état est multiplié par le temps passé dans cet état.[3, 10]

Ainsi, un état dont le score d'utilité est de 0,7 pendant 20 ans est évalué à 14 QALY, soit six QALY de moins que les mêmes 20 années pour une personne en parfaite santé.

### *2.1.3. Guidelines belges pour les évaluations économiques*

Les évaluations économiques dans le domaine de la santé visent à déterminer si un nouveau traitement est coût-efficace par rapport à un traitement existant. En d'autres mots, elles évaluent dans quelle mesure le coût de ce nouveau traitement se justifie par une amélioration de l'espérance de vie, de la qualité de vie ou des deux.[3, 10, 11] Cette amélioration peut être mesurée à l'aide des QALY.

Les guidelines belges en la matière recommandent de travailler en deux étapes pour une évaluation basée sur les QALY.[11]

Dans une *première étape*, des données sur l'état de santé des patients tel qu'ils le perçoivent eux-mêmes sont recueillies par des questionnaires ou des instruments multidimensionnels comme l'EQ-5D, le SF-6D ou le $HUI_3$, par exemple avant et/ou après le traitement.

Dans une *deuxième étape*, les états de santé décrits par les patients se voient attribuer un score d'utilité qui reflètent la qualité de vie liée à la santé (voir section 2.1.2). Ces scores d'utilité proviennent de la matrice de valorisation de l'instrument et sont dérivés des perceptions du grand public et non plus des patients.[11] Les QALY sont ensuite calculés en pondérant le temps passé dans un état de santé particulier par le score d'utilité associé à cet état de santé (voir Encadré 2).

**Une seule matrice réunissant tous les scores d'utilité pour pouvoir comparer les interventions entre elles**

Les scores d'utilité pour tous les états de santé possibles doivent avoir été collectés par le biais d'une enquête auprès d'un échantillon représentatif de la population. On présente aux répondants des états de santé hypothétiques et on leur demande de les évaluer (voir section 4.2). Les informations obtenues permettent de déduire l'importance que la population attache à un état de santé et à différentes dimensions de la santé.

L'avantage d'utiliser un ensemble de scores d'utilité (matrice) dérivés des perceptions du grand public (et non du patient individuel) est que le même état de santé peut être traité de la même manière dans toutes les évaluations économiques et cliniques basées sur des QALY.[3, 8, 12] Cela augmente la comparabilité entre les évaluations et évite l'influence de différences liées à des préférences ou des comportements des patients en matière de santé.[3, 8, 13] Par exemple, en cas de bon *coping* (la personne apprend à gérer la détérioration de son état de santé et adapte son évaluation de sa santé en conséquence), une personne pourrait évaluer son affection chronique grave comme moins grave qu'une affection légère aiguë, alors que l'importance relative de la prise en charge des affections chroniques graves est peut-être plus élevée aux yeux de la société.[3]

## 2.2. L'instrument EQ-5D-5L

Les guidelines belges pour les évaluations économiques de santé recommandent explicitement l'utilisation de l'instrument EQ-5D pour calculer les QALY.[11] Il en existe une version en français et une en néerlandais, validées pour la Belgique. Depuis 2003, on dispose d'une matrice belge (flamande) de scores d'utilité EQ-5D-3L. En outre, l'utilisation de l'instrument EQ-5D est très répandue dans les études cliniques.[14]

La particularité de l'instrument EQ-5D est d'être un instrument générique, c'est-à-dire un instrument qui peut être appliqué dans tous les domaines de la maladie et à tous les âges, car il comprend des dimensions qui sont fondamentalement importantes pour tous.[3, 10] L'EQ-5D a été développé par le groupe EuroQol (voir Encadré 3) et utilise cinq dimensions de la santé :

mobilité, autonomie, activités courantes, douleur/gêne et anxiété/dépression.[4, 15, 16]

À l'aide de cinq questions (une pour chaque dimension), l'EQ-5D cartographie l'état de santé d'une personne. En outre, l'instrument EQ-5D comporte une deuxième méthode de mesure de la santé, l'échelle visuelle analogique (EVA), qui s'apparente à un « thermomètre » que la personne utilise pour évaluer son propre état de santé, du « pire cas » au « meilleur cas » (voir Figure 1).[16]

### Encadré 3 – Le groupe EuroQol

EuroQol est une organisation sans but lucratif composée d'un réseau international multidisciplinaire de chercheurs. Le réseau développe des instruments génériques standardisés pour la description et l'évaluation de la qualité de vie liée à la santé.[17]

Le portefeuille actuel d'instruments d'EuroQol comprend l'EQ-5D-3L, l'EQ-5D-5L et l'EQ-5D-Y (ce dernier est destiné aux enfants et aux adolescents). Ces instruments sont le résultat de près de 30 ans de développements et d'adaptations. De nombreuses études sont encore en cours pour adapter et continuer à développer le portefeuille.

L'étude actuelle a été financée pour moitié par le KCE et pour moitié par l'EuroQol Research Foundation. L'EuroQol Research Foundation a été créée pour soutenir et initier des recherches scientifiques et pour gérer les droits de propriété intellectuelle liés aux instruments EQ-5D, entre autres, mais pas exclusivement.

Il est toutefois important de souligner que cette étude n'a pas été menée à la demande du groupe EuroQol. La demande initiale provient de Sciensano, qui a repris le questionnaire EQ-5D-5L dans l'Enquête de santé belge par interview,[18 , 19, 20] ce qui a créé le besoin de disposer d'une matrice de valorisation belge reprenant les scores d'utilité EQ-5D-5L. Le choix de l'EQ-5D-5L est également conforme aux guidelines belges pour les évaluations économiques dans le domaine des soins de santé.

### De trois à cinq degrés de sévérité

Selon la version de l'instrument, il est possible de renseigner pour chaque dimension de santé trois (EQ-5D-3L) ou cinq (EQ-5D-5L) degrés de sévérité. Par exemple, pour la catégorie mobilité, cela va de « Je n'ai aucun problème pour me déplacer » à « Je ne suis pas capable de me déplacer ». L'EQ-5D-3L comporte un degré intermédiaire (« problèmes modérés»), l'EQ-5D-5L comporte trois degrés intermédiaires (« problèmes légers», « problèmes modérés » et « problèmes sévères » pour se déplacer).

L'EQ-5D-3L a été critiqué à l'époque pour son manque de sensibilité aux petits changements de santé et/ou sa capacité limitée à distinguer de petites différences.[21-23] De plus, la version 3L faisait apparaître des effets dits de plafond rendant difficile la distinction entre l'état de santé de patients présentant des limitations très légères et celui d'individus en parfaite santé.[16, 22-24]

En faisant passer, en 2009, le nombre de degrés de réponse de trois à cinq, le pouvoir discriminatoire de l'EQ-5D a été augmenté et la probabilité d'effets de plafond a été réduite.[16, 23, 25]

Avec l'EQ-5D-5L, un état de santé peut être exprimé par une combinaison de cinq chiffres, chaque chiffre exprimant le degré de gravité d'une dimension.[4] La somme des cinq chiffres est également appelée la sévérité de l'état de santé. Contrairement à un score d'utilité, ce chiffre ne tient pas compte de l'importance relative de l'impact des différentes dimensions sur la qualité de vie liée à la santé. Par conséquent, Il ne peut se substituer à ce score. Dans ces 5 chiffres, l'ordre des dimensions est toujours le même : mobilité, autonomie, activités courantes, douleur/gêne et anxiété/dépression. Par exemple, l'état « 32315 » a une sévérité de 14 et signifie « J'ai des problèmes modérés pour me déplacer », « J'éprouve quelques difficultés pour me laver ou m'habiller », « J'ai des problèmes modérés dans mes activités quotidiennes », « Je n'ai aucune douleur ou gêne », « Je suis extrêmement anxieux ou déprimé ».[4]

Avec l'EQ-5D-3L, 243 (= 3 x 3 x 3 x 3 x 3) états de santé différents peuvent être décrits de cette manière, avec l'EQ-5D-5L, cela devient 3 125 (= 5 x 5 x 5 x 5 x 5).

## Figure 1 – La version française pour la Belgique du questionnaire EQ-5D-5L avec l'échelle visuelle analogique (EVA) correspondante (de 0 à 100).

Pour chaque rubrique, veuillez cocher UNE case, celle qui décrit le mieux votre santé AUJOURD'HUI.

**MOBILITÉ**

- Je n'ai aucun problème pour me déplacer à pied ❑
- J'ai des problèmes légers pour me déplacer à pied ❑
- J'ai des problèmes modérés pour me déplacer à pied ❑
- J'ai des problèmes sévères pour me déplacer à pied ❑
- Je suis incapable de me déplacer à pied ❑

**AUTONOMIE DE LA PERSONNE**

- Je n'ai aucun problème pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e) ❑
- J'ai des problèmes légers pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e) ❑
- J'ai des problèmes modérés pour me laver ou m'habiller tout(e) seul(e) ❑
- J'ai des problèmes sévères 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 ménagers, activités familiales ou loisirs)*

- Je n'ai aucun problème pour accomplir mes activités courantes ❑
- J'ai des problèmes légers pour accomplir mes activités courantes ❑
- J'ai des problèmes modérés pour accomplir mes activités courantes ❑
- J'ai des problèmes sévères pour accomplir mes activités courantes ❑
- Je suis incapable d'accomplir mes activités courantes ❑

**DOULEURS / GÊNE**

- Je n'ai ni douleur ni gêne ❑
- J'ai des douleurs ou une gêne légère(s) ❑
- J'ai des douleurs ou une gêne modérée(s) ❑
- J'ai des douleurs ou une gêne sévère(s) ❑
- J'ai des douleurs ou une gêne extrême(s) ❑

**ANXIÉTÉ / DÉPRESSION**

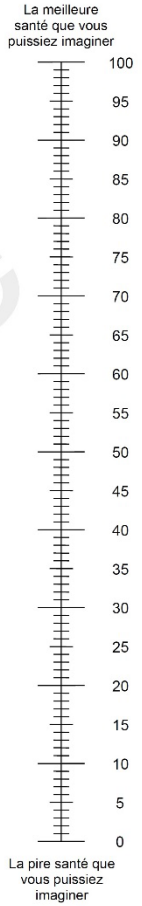
- Je ne suis ni anxieux(se), ni déprimé(e) ❑
- Je suis légèrement anxieux(se) ou déprimé(e) ❑
- Je suis modérément anxieux(se) ou déprimé(e) ❑
- Je suis sévèrement anxieux(se) ou déprimé(e) ❑
- Je suis extrêmement anxieux(se) ou déprimé(e) ❑

2

Belgium (French) © 2010 EuroQol Group EQ-5D™ is a trade mark of the EuroQol Group

- Nous aimerions savoir dans quelle mesure votre santé est bonne ou mauvaise AUJOURD'HUI.
- Cette échelle est numérotée de 0 à 100.
- 100 correspond à la meilleure santé que vous puissiez imaginer. 0 correspond à la pire santé que vous puissiez imaginer.
- Veuillez faire une croix (X) sur l'échelle afin d'indiquer votre état de santé AUJOURD'HUI.
- Maintenant, veuillez noter dans la case ci-dessous le chiffre que vous avez coché sur l'échelle.

VOTRE SANTÉ AUJOURD'HUI = ☐




3

Belgium (French) © 2010 EuroQol Group EQ-5D™ is a trade mark of the EuroQol Group

*Note: Reproduit avec l'autorisation de l'EuroQol Research Foundation*

# 3. OBJECTIF DE CETTE ÉTUDE

Cette étude KCE vise à développer une matrice de valorisation belge pour les 3 125 états de santé décrits par l'instrument EQ-5D-5L et pour l'état d'inconscience, en utilisant les derniers développements en matière de méthodologie d'évaluation et en suivant les guidelines du groupe EuroQol pour les études de valorisation EQ-5D-5L.[26, 27] Une telle matrice de valorisation rend possible la traduction de la santé en qualité de vie liée à la santé en fonction de l'importance que la population belge accorde à un problème de santé et à chacune des cinq dimensions de la santé.

Cette étude ne porte donc pas sur la mesure de la santé de la population ou des patients au moyen de l'instrument EQ-5D (voir Figure 1) mais sur la conversion des états de santé décrits par l'instrument en qualité de vie liée à la santé.

Différents pays, dont la France, les Pays-Bas et l'Allemagne, ont déjà établi une matrice de valorisation EQ-5D-5L pour leur population.[28-30] Une étude visant à déterminer la matrice de valorisation pour l'EQ-5D-3L a été réalisée pour la Flandre en 2003[5], et remonte donc à près de 20 ans, mais il n'existait jusqu'à présent aucune matrice de valorisation EQ-5D-5L pour la Belgique.

Dans la section 6.3, nous détaillerons plusieurs applications pour lesquelles cette matrice de valorisation peut être utilisée.

# 4. MÉTHODE

## 4.1. L'échantillon – qui a participé et quand

Toute enquête visant à compiler un ensemble (matrice) de scores d'utilité pour l'instrument EQ-5D doit suivre un protocole préétabli, appelé protocole « EuroQol Valuation Technology » ou protocole EQ-VT en abrégé.[26, 27] Ce protocole stipule qu'il est souhaitable d'interroger 1 000 personnes en face à face et de mener avec chacune une interview basée sur une guide d'entretien préétabli. Le protocole comprend également des critères de qualité auxquels les interviews devaient satisfaire pour être inclues dans l'étude.

Entre mai 2018 et septembre 2020, 892 interviews ont passé le contrôle de qualité complet et ont été reprises dans l'analyse des données. Il n'a pas été possible d'atteindre les 1 000 interviews requises en raison de l'épidémie de COVID-19 au printemps 2020 et des confinements qui ont suivi. En concertation avec EuroQol, l'enquête a donc été interrompue prématurément. Nous estimons que cette réduction de la taille de l'échantillon n'a qu'un impact minime sur les résultats.

Les personnes interviewées ont été sélectionnées de manière aléatoire selon la procédure d'échantillonnage utilisée par Sciensano pour l'Enquête belge de santé par interview.[31] Plus précisément, il s'agit d'un échantillonnage stratifié en grappes à plusieurs degrés, une procédure assez complexe qui, même si elle n'est pas imposée par EuroQol, a été choisie pour garantir la représentativité de la population belge et éviter les biais dans les résultats (voir section 5.1).

En pratique, les 1 000 interviews à réaliser ont été réparties en groupes de 10 (afin que l'interviewer réalise au moins 10 interviews dans une même commune) et attribuées à des communes choisies au hasard. La sélection des communes était proportionnelle à la taille de leur population, les grandes communes pouvant être tirées au sort plus d'une fois**.** La Figure 2 montre la répartition géographique du nombre d'interviews prévues par commune. Les 10 interviews d'un même groupe ont ensuite été réparties en sous-groupes en fonction de l'âge et du sexe.

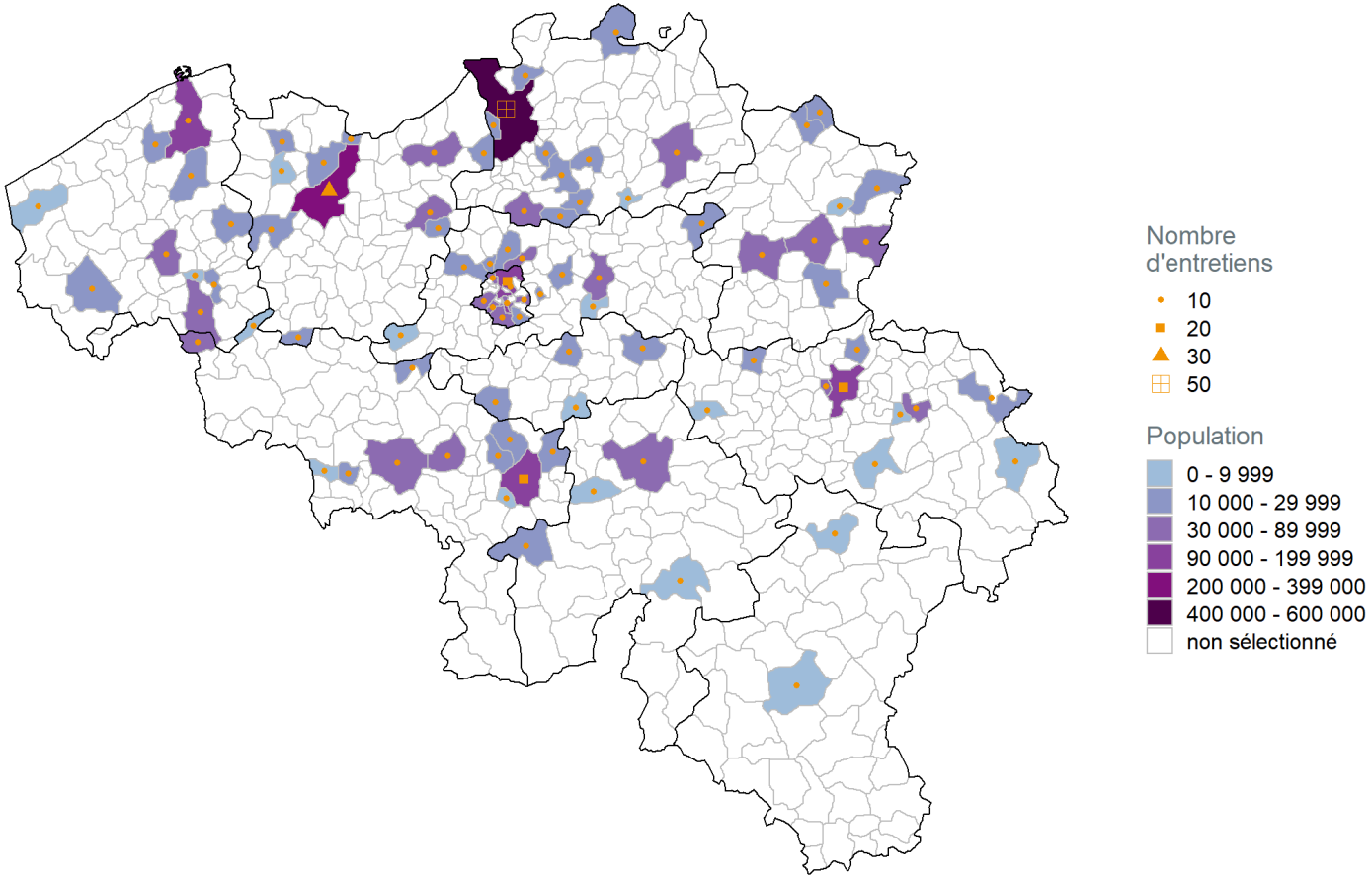
Dans une deuxième phase, 10 000 personnes ont été tirées au sort dans le Registre national, pour les communes et sous-groupes sélectionnés, soit 10 candidats potentiels pour chaque entretien prévu.[1] Il s'agit d'un échantillon représentatif de la population adulte : des personnes de 18 à 100 ans ayant un lieu de résidence enregistré en Belgique, de milieux socio-économiques divers, avec ou sans problèmes de santé. Comme déjà signalé, cette sélection a finalement conduit à un échantillon représentatif de 892 personnes auprès desquelles une interview complète et validée a été réalisée.

Pour un aperçu détaillé de la procédure suivie, nous renvoyons le lecteur à la section 2.2 du rapport scientifique.

Le recrutement des interviewers et la gestion de la collecte des données sur le terrain ont été confiés à une équipe externe, Profacts, qui est une société d'études de marché.

[1] Les 10 000 candidats potentiels n'ont pas tous été contactés. En général, il suffisait de contacter un ou quelques candidats potentiels pour trouver une personne disposée à participer à l'enquête. Exceptionnellement, les 10 candidats ont tous été contactés sans succès.

**Figure 2 – Communes sélectionnées où les interviews ont été menées.**



## 4.2. Quelles techniques d'enquête ont été utilisées ?

Afin de promouvoir la cohérence dans la manière dont les matrices de valorisation sont établies, le groupe EuroQol a développé un guide d'entretien structuré et un logiciel associé. Les interviewers ont utilisé un ordinateur portable pour guider les répondants tout au long de l'interview et pour encoder leurs réponses. L'entretien pouvait être mené en néerlandais, français ou allemand.[a]

Le protocole EuroQol prescrit les techniques d'enquête à utiliser au cours des interviews : chaque personne interrogée doit évaluer plusieurs problèmes de santé hypothétiques via des exercices composites d'arbitrage temporel « composite Time Trade-Off » (cTTO) et des expériences de choix discret « Discrete Choice Experiments» (DCE).[26, 27] Pour familiariser les répondants avec ces techniques, une phase de formation était prévue au début de chaque interview.

### *4.2.1. L'exercice Time Trade-Off composé*

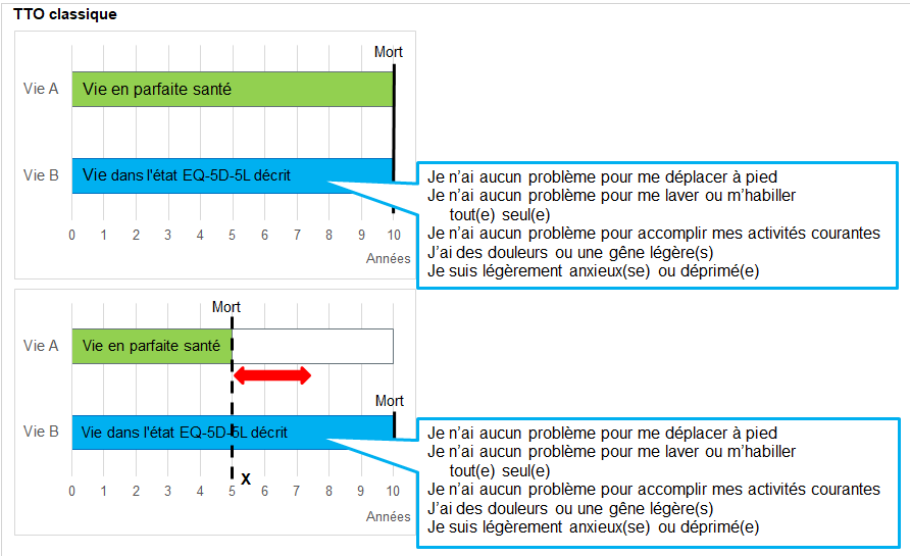
Un exercice composite d'arbitrage temporel comprend, d'une part, un TTO classique pour les états de santé qui sont jugés plus souhaitables que le fait d'être « mort » (score d'utilité supérieur à 0) et, d'autre part, un TTO dit « Lead-Time », pour les états de santé qui sont jugés « pires qu'être mort » (score d'utilité inférieure à 0).[32]

**TTO classique**

Le TTO classique détermine la valeur d'un état de santé donné sur la base d'un « compromis » que les gens sont prêts à faire entre vivre moins longtemps en parfaite santé ou vivre plus longtemps avec une maladie.

Au début de l'exercice, la personne interrogée doit choisir entre deux vies (voir Figure 3) : A ou B. Dans B, la personne vit dix ans avec un problème de santé tel que décrit dans le questionnaire EQ-5D-5L, puis meurt. Dans A, elle vit dix ans en parfaite santé, puis meurt. Dans cette option initiale, la personne interrogée choisira toujours A.

**Figure 3 – Exemple d'évaluation avec un Time Trade-Off classique**




Le nombre d'années de vie dans A est ensuite progressivement diminué, tandis que B reste fixé à dix ans. L'exercice est arrêté lorsque la personne interrogée n'exprime plus de préférence pour A ou B. Le nombre d'années restantes en parfaite santé (vie A) divisé par le nombre d'années de maladie (vie B) est la base du calcul de score d'utilité de l'état de santé B. Supposons que la personne interrogée n'exprime plus de préférence pour A ou B en

[a] Dans la version néerlandaise, une erreur s'est glissée dans la traduction du degré de sévérité 2 pour la dimension mobilité. Par exemple, « ik heb een beetje problemen met *lopen* » a été utilisé au lieu de « ik heb een beetje problemen met *rondwandelen* ». Cependant, nos résultats indiquent que cela n'a pas eu d'impact significatif.

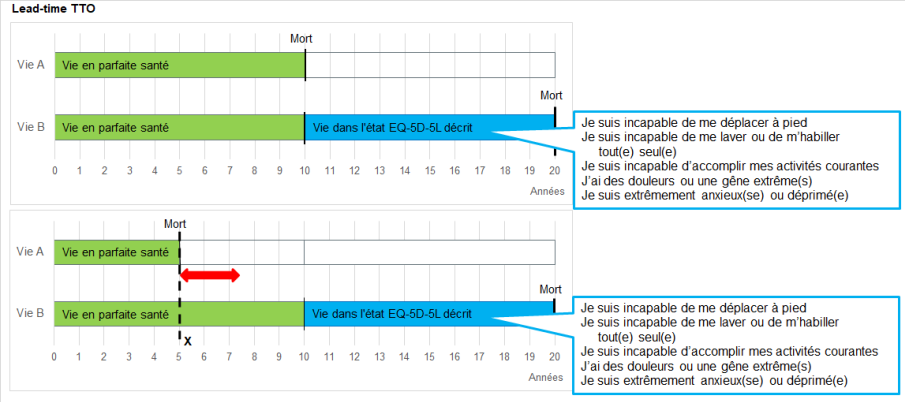
restant cinq ans dans l'état A (voir exemple dans la Figure 3), alors le score d'utilité de B est égal à 0,5 (= 5/10).[32, 33]

### Lead-Time TTO

Dans les situations où la personne interrogée estime que l'état de santé B est pire qu'être mort (plus précisément : la vie A tombe à zéro et la personne interrogée choisit quand même A), on utilise le Lead-Time TTO.

En effet, avec le TTO classique, il n'est pas possible de déduire à quel point un certain état de santé est jugé « pire qu'être mort ». Il n'est donc pas possible d'établir un classement des différents états de santé jugés comme tels.

**Figure 4 – Exemple d'évaluation avec le Lead-Time TTO**




Dans la technique Lead Time-TTO, une période initiale de dix ans en parfaite santé est associée à la fois à la vie A et à la vie B (appelée « lead time »). Ici encore, les répondants doivent choisir entre la vie A et la vie B, mais la vie B dure 20 ans et comprend deux périodes (dix ans en parfaite santé, suivis de dix ans dans l'état EQ-5D-5L décrit) et la vie A peut varier entre zéro et dix ans, selon le choix de la personne interrogée (voir Figure 4).

Pour calculer score d'utilité de l'état de santé B, le nombre d'années en parfaite santé (vie A) et en maladie (vie B) est réduit de la durée du lead-time. Dans l'exemple ci-dessus, le score d'utilité de l'état de santé B est donc égale à -0,5 (= (5-10)/(20-10)).[32, 33]

### Comment utilise-t-on le TTO en pratique ?

Il n'est pas possible d'évaluer les 3 125 états de santé de l'EQ-5D-5L. Le protocole EQ-VT a donc estimé qu'il suffit d'évaluer 86 états de santé soigneusement sélectionnés.[34] Ceux-ci ont été divisés en dix blocs de dix états de santé, chacun comprenant l'un des cinq états les plus 'légers' (c'est-à-dire 21111, 12111, 11211, 11121 et 11112) ainsi que le pire état (55555).[34, 35] Les 80 états de santé restants ont été répartis entre les dix blocs de manière à ce que tous les blocs représentent la même sévérité moyenne, avec suffisamment de variation de la sévérité dans chaque bloc. Chaque bloc a été attribué au hasard aux répondants et a été présenté dans un ordre aléatoire par le logiciel EQ-VT.

### Qu'en est-il des états de santé non évalués ?

L'évaluation des 86 états de santé ainsi obtenue a été utilisée pour établir un modèle de régression statistique (voir section 4.3) dont on peut dériver les scores d'utilité pour tous les états de santé, c'est-à-dire à la fois pour les 86 états de santé ayant fait l'objet des interviews et les 3 039 autres.

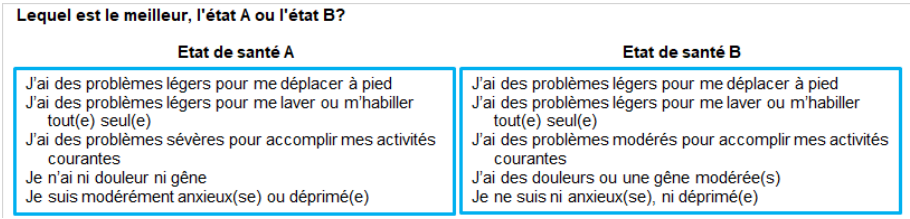
### État d'inconscience - coma

Dans la matrice de valorisation belge, nous voulions également inclure l'état « d'inconscience » (ou « coma »). Il s'agit d'un profil de maladie qui n'est pas repris dans l'instrument EQ-5D standard, mais qui peut être pertinent pour la recherche clinique.[36] En concertation avec les membres de l'équipe EuroQol, cet état a été soumis aléatoirement à 20 % des répondants à la fin de leur bloc de dix états EQ-5D-5L standard.

### 4.2.2. Expérience de choix discret

Dans une expérience de « choix discret » (Discrete Choice Experiment, DCE), la personne interrogée doit donner sa préférence à l'un des deux états de santé présentés.

**Figure 5 – Exemple d'expérience de choix discret**




Le protocole EQ-VT stipule que chaque répondant doit effectuer des choix entre 7 paires d'états de santé.[26, 27, 37] Pour chaque paire, la sévérité globale était similaire mais les niveaux de sévérité variaient au niveau des dimensions. Ainsi, les personnes interrogées indiquent indirectement quelles dimensions de la santé sont les plus importantes pour elles.

Au total, 196 choix de paires d'états EQ-5D-5L sont évalués, répartis de manière aléatoire en 28 blocs.[34, 35] Chaque bloc est attribué au hasard à une personne interrogée et présenté dans un ordre aléatoire et en changeant de position (A ou B) sur l'écran.

### 4.2.3. Contrôle de la qualité des données

Les exercices d'évaluation cTTO et DCE ne sont pas simples.[38] Pour garantir la qualité des interviews, tous les interviewers ont reçu une formation intensive, et des formations additionnelles si nécessaire. En outre, le protocole EQ-VT impose un contrôle de qualité constant du déroulement de l'interview sur base de différents critères[27, 39], et ce en collaboration avec l'équipe EuroQol.

## 4.3. Analyse des données

L'objectif de l'analyse des données était de créer une matrice de valorisation basée sur les préférences d'un échantillon représentatif de la population adulte belge, et ceci pour *tous* les 3 125 états de santé du système EQ-5D-5L.

L'exercice cTTO ne portait que sur 86 états de santé, plus l'état d'inconscience. L'exercice DCE concerne pour sa part 392 états. À l'aide de ces informations, un modèle de régression statistique capable de déterminer les scores d'utilité pour les 3 125 états de santé possibles a été développé. Le modèle le plus performant a été choisi parmi un ensemble de modèles potentiels.

Le score d'utilité pour l'état d'inconscience n'a pas été calculé à l'aide du modèle de régression, mais a été dérivé directement des moyennes pondérées des préférences exprimées lors des interviews.

Le déroulement de ce processus de modélisation est expliqué en détail dans la section 3 du rapport scientifique.

# 5. LA MATRICE DE VALORISATION EQ-5D-5L BELGE

## 5.1. Représentativité de l'échantillon

Outre les exercices cTTO et DCE proprement dits, les personnes interrogées ont été invitées à répondre à quelques questions supplémentaires sur leur propre santé (via l'instrument EQ-5D) et sur leur contexte socio-économique et sociodémographique. Ces informations ont principalement été utilisées pour évaluer la représentativité de l'échantillon.

Nous pouvons en conclure que l'échantillon de 892 répondants est représentatif de la population belge, sur la base de comparaisons avec des statistiques démographiques provenant de sources administratives, d'informations issues de l'Enquête de santé par interview de Sciensano et de l'Enquête sur les revenus et les conditions de vie (SILC) de Statbel.[18, 40, 41]

Les paramètres utilisés pour évaluer cette représentativité étaient l'âge, le sexe, la région, l'état de santé auto-déclaré, la qualité de vie liée à la santé, le niveau de formation et le statut professionnel. Pour une analyse détaillée, voir la section 4.1 du rapport scientifique.

## 5.2. Résultats de l'exercice cTTO

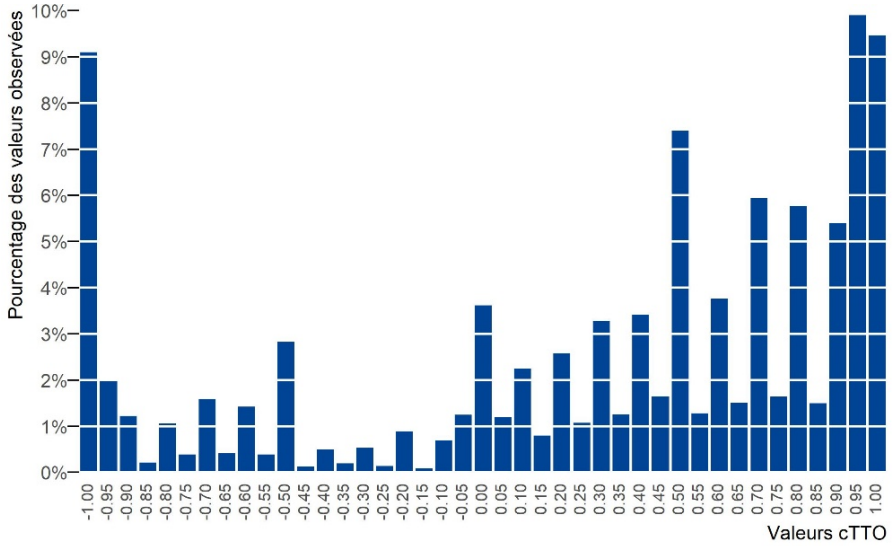
### *5.2.1. Dispersion et variation*

Comme on peut le déduire de la Figure 6, toute la gamme des évaluations potentielles (de -1 à +1) est reflétée dans les résultats de l'exercice cTTO.

Un quart des états de santé évalués (25,2 %) reçoivent une valeur cTTO négative et sont donc considérés comme « pires qu'être mort ». Environ 9,1 % des exercices cTTO aboutissent à la plus faible valeur possible de - 1. Lorsque les répondants optent pour une valeur « pire qu'être mort» pour un état de santé, ils choisissent généralement une valeur fortement négative, c'est-à-dire inférieure ou égale à - 0,5, plutôt qu'entre 0 et - 0,5.

Environ 9,5 % et 9,9 % des réponses ont une valeur cTTO de 1 et 0,95, respectivement. Cela indique une volonté très limitée de sacrifier des années de vie pour éviter des problèmes de santé légers.

**Figure 6 – Distribution des valeurs de cTTO observées pour les 86 états de santé évalués**



### 5.2.2. *Validité des résultats cTTO*

La relation entre la sévérité, la variabilité et les valeurs cTTO moyennes et médianes est présentée dans la Figure 7. Cette figure peut être considérée comme un simple test de la validité apparente (*face validity*) des résultats. En effet, on s'attendrait à ce que la qualité de vie diminue lorsque les états de santé s'aggravent, ce qui se reflète dans les données.

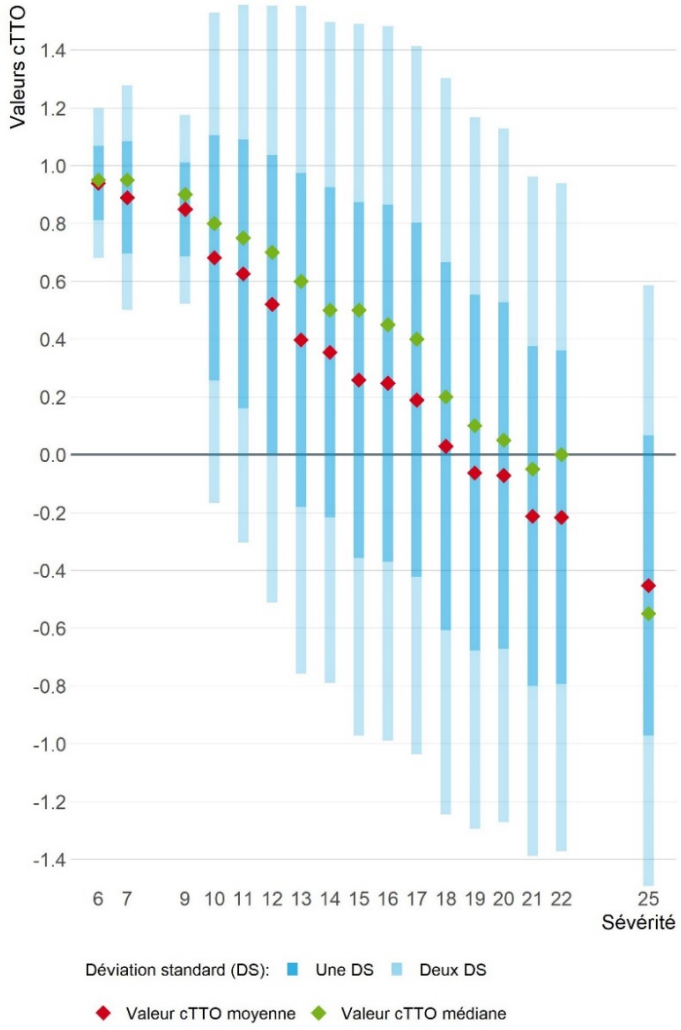
Cette figure montre également que la variabilité augmente (exprimée par un écart-type plus important) à mesure que les états de santé se dégradent. Les personnes interrogées ont donc plus de mal à attribuer une valeur à mesure que les problèmes de santé s'aggravent. Par exemple, le pire état possible (55555) est évalué par une majorité de répondants entre - 1 et - 0,5, mais il y a aussi des répondants qui évaluent cet état de façon positive, certains dépassant même 0,9. On observe une stabilisation de la variation à partir d'un niveau de sévérité d'environ 13.

### 5.2.3. *Inconscience, douleur et gêne*

L'inconscience et l'état le plus grave (55555) reçoivent les valeurs cTTO observées les plus faibles avec des moyennes respectives de - 0,454 et - 0,453.

En plus de ces deux états, 14 autres des 86 états de santé ont été jugés négatifs. Leur analyse nous permet de dire que ce sont les états de santé accompagnés de douleurs ou de gênes sévères ou extrêmes qui entraînent les valeurs cTTO les plus faibles.

**Figure 7 – Valeur cTTO moyenne et médiane en fonction de la sévérité de l'état de santé**



## 5.3. Résultats de l'expérience DC

Dans l'exercice DCE, la personne interrogée doit mettre en balance deux états de santé A et B l'un par rapport à l'autre. Là encore, les données semblent valables. On observe que le choix de l'option A ou B est déterminé par la différence relative de sévérité entre les deux états. L'état de santé dont la gravité est la plus faible est plus souvent préféré, cette préférence s'accentuant à mesure que la différence de sévérité augmente. S'il n'y a pas de différence de sévérité entre les états de santé A et B, il y a plus ou moins une préférence égale entre les deux options.

## 5.4. Tableau final de la matrice de valorisation EQ-5D-5L belge

Pour calculer les scores d'utilité pour l'ensemble des états de santé EQ-5D-5L, un modèle de régression statistique a été développé (voir section 4.3). L'argumentation détaillée du choix de ce modèle, ainsi que les résultats, se trouvent dans la section 4 du rapport scientifique.

Le modèle choisi comporte dix coefficients (un coefficient pour chaque dimension combiné à un coefficient pour chaque niveau de sévérité) et un intercept. En utilisant ces coefficients et l'intercept, il est possible de calculer les scores d'utilité pour les 3 125 états de santé de l'EQ-5D-5L. L'Encadré 4 explique en détail comment effectuer ce calcul, ainsi que quelques exemples concrets.

La matrice de valorisation belge (incluant l'état d'inconscience), se trouve à l'annexe 3 du rapport scientifique et peut également être téléchargée via ce lien.

### Encadré 4 – Coefficients et quelques exemples de calcul des scores d'utilités EQ-5D-5L belges

**Coefficients et valeur d'interception**

Sur la base des résultats du cTTO et du DCE pour les 892 entretiens validés, le modèle de régression nous a permis d'estimer un coefficient pour chacune des dimensions ainsi que pour chacun des niveaux de sévérité. Chaque coefficient indique la perte d'utilité pour la dimension ou le niveau de sévérité considéré. Les coefficients pour le niveau de sévérité 1 (je n'ai aucun problème avec...) et 5 (j'ai des problèmes extrêmes.../je suis incapable de...) ont donc une valeur fixe de 0 et 1, respectivement.

Afin de calculer la perte d'utilité finale (voir ci-dessous), le coefficient d'une dimension est à chaque fois multiplié par le coefficient du niveau de sévérité de cette dimension.

**Par dimension**

- Coefficient de perte d'utilité pour la mobilité : 0,227
- Coefficient de perte d'utilité pour l'autonomie : 0,116
- Coefficient de perte d'utilité pour les activités courantes : 0,181
- Coefficient de perte d'utilité pour la douleur ou la gêne : 0,482
- Coefficient de perte d'utilité pour l'anxiété ou la dépression : 0,439

**Par degré de sévérité**

- Coefficient de perte d'utilité pour le niveau de sévérité 1 : 0
- Coefficient de perte d'utilité pour le niveau de sévérité 2 : 0,139
- Coefficient de perte d'utilité pour le niveau de sévérité 3 : 0,258
- Coefficient de perte d'utilité pour le niveau de sévérité 4 : 0,788
- Coefficient de perte d'utilité pour le niveau de sévérité 5 : 1

En outre, un **intercept** a également été estimé dans le modèle de régression. L'intercept peut être interprété comme une perte d'utilité pour tout état de santé qui s'écarte de la santé parfaite, quelle que soit sa sévérité. Ainsi, chaque état de santé qui n'est pas égal à 11111 subit cette perte d'utilité une fois.

- Intercept (perte d'utilité générale) : 0,038

**Calcul**

Avec ces valeurs, nous pouvons calculer les scores d'utilité pour chacun des états de santé EQ-5D-5L. Cela s'effectue comme suit :

Pour chaque dimension, le coefficient de dimension est multiplié par le coefficient du degré de sévérité. Ces valeurs sont additionnées avec la valeur d'intercept.

Ce chiffre indique la perte d'utilité générale pour tout état de santé par rapport à une santé parfaite. Le score d'utilité est alors obtenu en soustrayant cette perte d'utilité de la valeur de 1 (score d'utilité d'une santé parfaite).

**Quelques exemples**

***Exemple 1.*** Le score d'utilité de l'état de santé 15342 est calculé comme suit :

- Perte d'utilité générale : $0{,}038$
- Perte d'utilité mobilité, niveau de sévérité 1 : $0{,}227 \times 0 = 0$
- Perte d'utilité autonomie, niveau de sévérité 5 : $0{,}166 \times 1 = 0{,}166$
- Perte d'utilité activités courantes, niveau de sévérité 3 : $0{,}181 \times 0{,}258 = 0{,}047$
- Perte d'utilité douleur/gêne, niveau de sévérité 4 : $0{,}482 \times 0{,}788 = 0{,}380$
- Perte d'utilité anxiété/dépression, niveau de sévérité 2 : $0{,}439 \times 0{,}139 = 0{,}061$

La perte totale d'utilité devient alors (avec un arrondi correct) :

$0{,}038 + 0 + 0{,}166 + 0{,}047 + 0{,}380 + 0{,}061 = 0{,}691$

Le score d'utilité de **l'état de santé 15342** est alors $1 - 0{,}691 = \mathbf{0{,}309}$.

***Exemple 2***. Calculé de manière similaire, le score d'utilité de **l'état de santé le plus mauvais 55555** est égal à $-\mathbf{0{,}532} = 1 - (0{,}038 + 0{,}227 \times 1 + 0{,}166 \times 1 + 0{,}181 \times 1 + 0{,}482 \times 1 + 0{,}439 \times 1)$.

Le score d'utilité de l'état de santé 55555 a été calculé à partir des coefficients dérivés du modèle de régression et diffère donc légèrement de la score d'utilité dérivé directement des interviews cTTO (voir section 5.2.3).

***Exemple 3.*** Calculé de manière similaire, le score d'utilité de **l'état de santé 54321** est égal à $\mathbf{0{,}491} = 1 - (0{,}038 + 0{,}227 \times 1 + 0{,}166 \times 0{,}788 + 0{,}181 \times 0{,}258 + 0{,}482 \times 0{,}139 + 0{,}439 \times 0)$.

***État de santé inconscience.*** Le score d'utilité de l'état **d'inconscience** est de $-\mathbf{0{,}454}$. Ce résultat n'a pas été calculé avec le modèle de régression, mais a été dérivé directement des interviews.

**Comment calculer les QALY à partir de ces scores?**

Les scores d'utilité peuvent ensuite être utilisés pour calculer les QALY (voir également l'Encadré 2). Voici un exemple :

Supposons qu'un homme de 75 ans souffre de douleurs chroniques sévères et qu'en conséquence, il ait des difficultés à effectuer ses activités courantes et à se laver ou s'habiller de manière autonome (état de santé 15342, score d'utilité 0,309). Deux ans plus tard, cet homme fait un AVC sévère et sa santé évolue de la pire des façons (état de santé 55555, score d'utilité - 0,532). Après une évaluation clinique, les médecins proposent un traitement médical intensif. Le traitement dure six mois, et ce n'est qu'alors que sa santé commence à s'améliorer pour

revenir à la condition 54321 (score d'utilité 0,491). L'homme continue à souffrir de très graves problèmes de mobilité, mais la douleur chronique et les sentiments dépressifs ont pratiquement disparu. Il vit ensuite encore 6 ans dans cet état.

Pour traduire cela en QALY, nous combinons la durée de vie restante (en années) avec le score d'utilité de chaque état. La durée de vie restante de cet homme corrigée par la qualité de vie est de 3,3 QALY ($2 \times 0{,}309 + 0{,}5 \times (-0{,}532) + 6 \times 0{,}491 = 0{,}618 - 0{,}266 + 2{,}946 = 3{,}298$). Ainsi, au cours des 6 mois qui ont suivi son AVC, sa qualité de vie liée à la santé était pire qu'être mort, entrainant une perte de QALY ($-0{,}266$). L'intervention médicale a permis de gagner 2,9 QALY par rapport à un décès prématuré 6 mois après l'AVC.

Sur la même durée de vie restante, l'homme aurait pu gagner 8,5 QALY s'il avait été en parfaite santé, ou 2,6 QALY si son état de santé initial était resté inchangé ($8{,}5 \times 0{,}309 = 2{,}627$).

Ainsi, en raison de problèmes de santé, il a perdu environ 5,2 QALY par rapport à une santé parfaite. Malgré l'AVC, l'espérance de vie restante après ajustement de la qualité de vie est meilleure (de 0,7 QALY) que si son état de santé initial avait persisté sur la même durée de vie restante ($3{,}298 - 2{,}627 = 0{,}671$).

# 6. EN QUOI LA NOUVELLE MATRICE BELGE REPRÉSENTE-T-ELLE UN PROGRÈS ?

Cette étude a permis d'établir une matrice de valorisation pour les 3 125 états de santé décrits par l'instrument EQ-5D-5L, ainsi que pour l'état d'inconscience. L'évolution de la démographie et de la composition de la population a sans aucun doute influencé les perceptions de la santé et de la qualité de vie depuis 2003. Une mise à jour était donc nécessaire.

## 6.1. Les points forts de cette matrice de valorisation

Cette matrice de valorisation EQ-5D-5L repose sur une méthode solide et valide. Par rapport à l'étude[5] menée en 2003 sur les valeurs de préférence EQ-5D-3L pour la Flandre, cette étude-ci comporte plusieurs améliorations importantes :

- Elle utilise la version la plus récente de l'EQ-5D, c'est-à-dire l'EQ-5D-5L. Cette version est plus sensible que l'EQ-5D-3L vis-à-vis des petites variations du niveau de fonctionnement dans les différents domaines de la santé. Par conséquent, des améliorations modestes, mais peut-être significatives, de la mobilité, de l'autonomie, des activités courantes, de la douleur/de la gêne et de l'anxiété/de la dépression peuvent être mieux capturées.
- L'étude suit le dernier protocole EuroQol Valuation Technology (EQ-VT 2.1) pour les enquêtes visant à compiler une matrice de scores d'utilité.[26, 27] Cela implique entre autres une formation approfondie des interviewers et un contrôle strict de la qualité.
- Les scores d'utilité ont été calculés sur la base d'interviews en face à face plutôt que par des enquêtes postales.
- L'évaluation des états de santé s'est faite par le biais des méthodes d'aribitrage temporel (composite, cTTO) et d'expérience de choix discret (DCE), plutôt qu'à l'aide d'une échelle visuelle analogique

(EVA). Le cTTO et le DCE sont considérés comme des méthodes plus robustes que l'EVA pour déterminer les scores d'utilité.

- Les scores d'utilité ont été mesurés pour toute la Belgique (Bruxelles, Flandre, Wallonie et Communauté germanophone), alors que l'édition précédente était limitée à la Flandre. L'extension à l'ensemble du territoire belge est naturellement préférable pour une utilisation dans le cadre de la politique nationale de santé. L'échantillon final de 892 répondants est représentatif de l'ensemble de la population belge en termes d'âge, de sexe, de région, de niveau de formation, d'état de santé auto-déclaré, de qualité de vie liée à la santé et de statut professionnel.
- Différents modèles de régression ont été testés et soumis à une procédure de sélection approfondie, avant que le modèle le plus performant soit finalement choisi pour développer la matrice de valorisation. Cette matrice de valorisation couvre un spectre plus large de scores d'utilité que la matrice des scores 3L. En excluant la valeur de l'état de parfaite santé 11111 (par définition égale à 1), les scores d'utilité vont de - 0,532 à 0,939 (voir également la section 6.2). La gamme des scores 3L variait de - 0,158 à 0,817. Cet éventail plus large permet de mieux distinguer les patients et les profils de santé, tant pour les états de santé 'légers' que pour les états de santé (très) graves. Cela améliore l'applicabilité de l'instrument EQ-5D.

Par rapport à des études similaires menées dans d'autres pays, cette étude présente également quelques points forts. Les répondants ont été sélectionnés de manière aléatoire dans le Registre national au moyen d'une procédure d'échantillonnage aléatoire. L'échantillon ainsi obtenu est donc bien représentatif de la population belge. La Belgique est l'un des très rares pays à avoir recherché la représentativité en termes d'âge, de sexe et de lieu de résidence lors de l'élaboration de sa matrice EQ-5D. Bien que cela n'implique pas nécessairement une représentativité en termes de préférences de santé, cela réduit l'impact possible d'un échantillon non représentatif sur les scores d'utilité.

L'étude présente toutefois une limitation dans la mesure où il s'est avéré impossible d'interroger les 1 000 personnes prévues. La pandémie de COVID-19 en était une raison mais, de façon générale, il a également été très difficile de trouver des personnes qui acceptent de participer à un entretien en face à face à leur domicile.
L'interview et l'outil cTTO ont également été perçus comme compliqués. Par conséquent, un nombre relativement important d'interviews ont été exclues de l'ensemble des données lors du contrôle de la qualité. Des interviewers ont également abandonné et de nouveaux interviewers ont dû être formés. Les interviewers déjà déployés ont parfois dû être formés à nouveau parce que la qualité de leurs entretiens était insuffisante. Tout cela a entraîné des retards dans la recherche et a demandé beaucoup d'efforts de la part des chercheurs du KCE et du sous-traitant.

## 6.2. Comparaison avec la matrice de valorisation 3L et avec les matrices 5L d'autres pays

### *6.2.1. Un éventail plus large de scores d'utilité avec cinq niveaux de sévérité*

Le Tableau 1 et la Figure 8 montrent que la nouvelle matrice de valorisation EQ-5D-5L belge est sensiblement différente de la matrice précédente basée sur les valeurs EQ-5D-3L et les scores croisés EQ-5D-5L correspondants[b] (EQ-5D-5L crosswalk) tels qu'utilisés aujourd'hui. Le Tableau 1 propose une comparaison de plusieurs scores-clés de l'ancienne matrice 3L et de la nouvelle matrice 5L. La Figure 8 montre la distribution des scores d'utilité dans les différentes matrices et leur fréquence d'apparition. Plus la courbe de la Figure 8 est élevée, plus un score particulier est fréquent dans la matrice.

[b] EuroQol a développé une méthode statistique pour convertir les scores d'utilité de l'instrument EQ-5D-3L en scores d'utilité de l'EQ-5D-5L.[42] Ces scores d'utilité convertis sont appelées « scores croisés ». Ils sont utilisés dans les pays où une matrice de valorisation EQ-5D-5L n'est pas encore disponible.

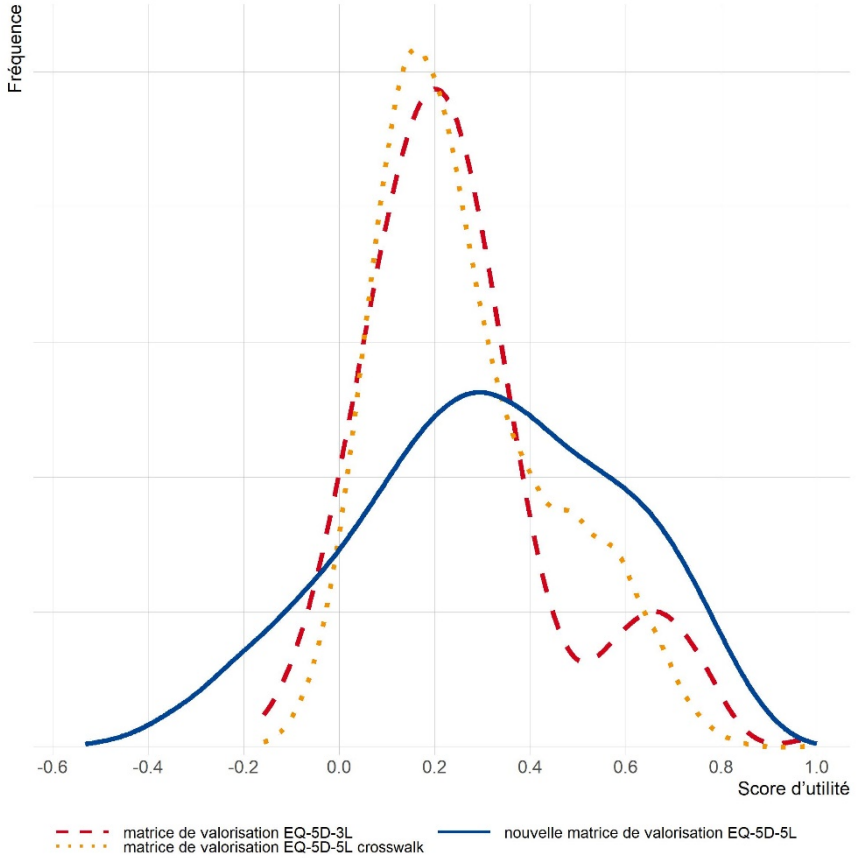
Cette comparaison permet également de visualiser le glissement des scores à la fois vers la gauche (scores d'utilité faibles) et vers la droite (scores d'utilité élevés) dans la nouvelle matrice. Ce glissement est également bien visible dans le Tableau 1, entre l'état de santé le plus bas et le deuxième plus élevé (la santé parfaite étant par définition la plus haute). Ces scores d'utilité étaient respectivement de - 0,158 et 0,817 dans la matrice 3L et de - 0,532 et 0,939 dans la nouvelle matrice.

La distribution des scores dans la matrice EQ-5D-3L belge est caractérisée par deux pics (autour de 0,20 et 0,65), la majorité des scores étant concentrée entre - 0,15 et 0,80 (voir Figure 8). Environ 6,6 % des états de santé ont été jugés pires qu'être mort (voir Tableau 1). Les scores de la matrice de scores croisés EQ-5D-5L sont distribués de manière similaire à ceux de la matrice EQ-5D-3L, mais avec une transition plus douce entre les deux pics.

La nouvelle matrice EQ-5D-5L se déploie sur une zone plus large, la majorité des évaluations se situant entre - 0,4 et 0,9. Le pic de densité maximale y est plus bas, avec un nombre relativement plus important d'états de santé présentant à la fois des scores d'utilité plus élevés et plus faibles que dans les versions précédentes. Enfin, la nouvelle matrice présente une proportion plus élevée (15,0 %) d'états de santé à score négatif (voir Tableau 1).

Le classement des dimensions a également changé (voir Tableau 1). Dans la matrice EQ-5D-3L, la perte d'utilité la plus élevée correspond aux problèmes liés à la dimension anxiété/dépression, suivis par la douleur/la gêne, l'autonomie, la mobilité et enfin les activités courantes. Dans la nouvelle matrice, ce sont les problèmes liés à la douleur/la gêne qui entraînent la perte d'utilité la plus importante, suivis de près par l'anxiété/la dépression, puis la mobilité, les activités courantes et l'autonomie.

**Figure 8 – Distribution et fréquence des scores d'utilité dans la nouvelle matrice de valorisation EQ-5D-5L par rapport aux matrices précédemment utilisées (basées sur l'instrument EQ-5D-3L)**



### 6.2.2. *La matrice de valorisation belge diffère de celle des pays voisins*

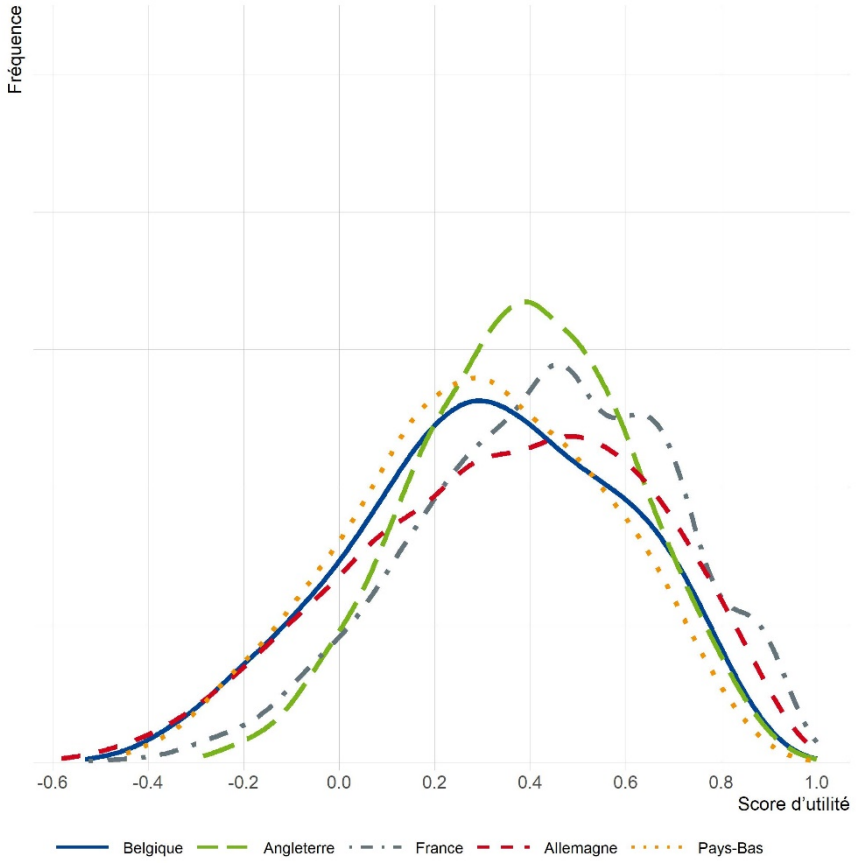
Dans la Figure 9, la distribution de la nouvelle matrice de valorisation belge EQ-5D-5L est comparée aux scores d'utilité des pays voisins. La distribution des scores belges est très similaire à celle de l'Allemagne et des Pays-Bas, de même que les proportions d'états de santé à valeur négative. On observe toutefois quelques différences entre ces trois matrices, notamment en ce qui concerne l'importance relative de chaque dimension. En Belgique, comme déjà signalé, c'est la dimension douleur/gêne qui est associée à la plus grande perte d'utilité, tandis qu'aux Pays-Bas, c'est la dimension anxiété/dépression. En Allemagne, on accorde davantage d'importance à la dimension autonomie et moins à la dimension mobilité qu'en Belgique et aux Pays-Bas.

Entre les matrices belge, française et anglaise, les différences sont plus prononcées. Les scores d'utilité de la matrice française sont généralement plus élevés, tandis que la matrice anglaise présente une plus forte concentration de valeurs positives faibles (entre 0,20 et 0,60).

Il est frappant de constater que dans tous nos pays voisins (à l'exception de la France) les problèmes liés aux dimensions anxiété/dépression et douleur/gêne sont associés aux plus fortes diminutions des scores d'utilité.

Les différences entre matrices des différents pays soulignent l'importance d'utiliser une matrice nationale pour fonder la politique de santé.

**Figure 9 – Distribution et fréquence des scores d'utilité pour les matrices de valorisation EQ-5D-5L belge, anglaise, française, allemande et néerlandaise**




*Sources : Andrade et al. (2020)[29], Devlin et al. (2018)[43], Ludwig et al. (2018)[28], Versteegh et al. (2016)[30]*

**Tableau 1 – Comparaison de quelques caractéristiques clés de la matrice de valorisation EQ-5D-5L belge par rapport à l'ancienne matrice EQ-5D-3L et aux matrices EQ-5D-5L des pays voisins.**

| | Nouvelle matrice de valorisation belge EQ-5D-5L | Matrice de valorisation EQ-5D-3L de 2003 | Matrice de valorisation allemande EQ-5D-5L | Matrice de valorisation néerlandaise EQ-5D-5L | Matrice de valorisation française EQ-5D-5L | Matrice de valorisation anglaise EQ-5D-5L |
|---|---|---|---|---|---|---|
| **Pourcentage d'états de santé évalués négativement (< 0)** | 15,0 % | 6,6 % | 15,1 % | 15,5 % | 6,9 % | 5,1 % |
| **Classement des dimensions en fonction de la perte d'utilité (de la plus grande à la plus petite perte d'utilité)** | Douleur/gêne<br>Anxiété/dépression<br>Mobilité<br>Activités courantes<br>Autonomie | Anxiété/dépression<br>Douleur/gêne<br>Autonomie<br>Mobilité<br>Activités courantes | Douleur/gêne<br>Anxiété/dépression<br>Autonomie<br>Mobilité<br>Activités courantes | Anxiété/dépression<br>Douleur/gêne<br>Mobilité<br>Activités courantes<br>Autonomie | Douleur/gêne<br>Mobilité<br>Autonomie<br>Anxiété/dépression<br>Activités courantes | Douleur/gêne<br>Anxiété/dépression<br>Mobilité<br>Autonomie<br>Activités courantes |
| **Valeur minimale** | - 0,532<br>(état 55555) | - 0,158<br>(état 33333) | - 0,661<br>(état 55555) | - 0,446<br>(états 55555, 54455, 55455, 54555) | - 0,525<br>(état 55555) | - 0,285<br>(état 55555) |
| **Valeur maximale en dehors de 11111** | 0,939<br>(état 12111) | 0,817<br>(état 11211) | 0,974<br>(état 21111) | 0,918<br>(état 21111) | 0,980<br>(état 11121) | 0,950<br>(états 11211, 12111) |

*Sources : Andrade et al. (2020)[29], Devlin et al. (2018)[43], Ludwig et al. (2018)[28], Versteegh et al. (2016)[30]*

## 6.3. Où et quand appliquer la nouvelle matrice de valorisation belge EQ-5D-5L ?

La nouvelle matrice de valorisation offre des possibilités importantes pour les futures évaluations cliniques et économiques en matière de soins de santé, ainsi que pour les évaluations de la santé de la population. Ces évaluations sont utiles pour orienter les décisions politiques. L'utilisation d'une matrice belge unique permet une prise de décision plus cohérente. C'est important par exemple pour les décisions d'attribution de ressources dans les soins de santé, où les décideurs politiques doivent inévitablement faire des comparaisons entre populations de patients ou entre problèmes de santé.

### *6.3.1. Utiliser l'EQ-5D-5L comme PROM*

L'EQ-5D peut être considéré comme un « *patient-reported outcome measure* » ou PROM, c'est à dire un instrument de mesure des résultats auto-rapportés par les patients.[36, 44] Les PROM sont de plus en plus utilisés pour évaluer les effets des interventions de santé et pour améliorer la qualité des soins. Bien que les PROM soient généralement utilisés dans le cadre d'une relation individuelle patient-soignant, une collecte systématique des données EQ-5D-5L (en tant que PROM) faciliterait non seulement cette utilisation dans la pratique clinique, mais offrirait également de nombreuses possibilités de recherche et d'évaluation. Par exemple, un patient pourrait décrire son état de santé à l'aide de l'instrument EQ-5D-5L avant son admission à l'hôpital, puis le décrirait à nouveau à sa sortie, après avoir reçu un traitement, ou quelques temps plus tard. De cette manière, il serait possible de mesurer l'évolution de la santé et de la qualité de vie liée à la santé en relation avec le séjour à l'hôpital et le traitement reçu. Les comparaisons entre traitements, parcours de soins ou établissements de soins deviennent ainsi possibles.

Le rapport 303 du KCE recommandait déjà de collecter à cette fin, de façon plus systématique, un PROM générique dans les milieux cliniques.[45] Comme discuté plus en détail dans le rapport 303, l'introduction d'une telle enquête systématique est toutefois soumise à quelques conditions préalables, telles que l'intégration des PROM dans la politique de qualité des institutions, l'implication/la formation/la sensibilisation de toutes les parties prenantes, la transparence envers les patients, etc.

L'EQ-5D-5L pourrait être utilisé à cet effet, d'autant plus que l'on dispose dorénavant d'une matrice de valorisation, qui permet de comparer les résultats entre patients différents, étant donné que les personnes qui indiquent avoir le même état de santé se voient également attribuer le même score d'utilité.

### *6.3.2. Une vision réaliste de l'efficacité et du rapport coût-efficacité*

La nouvelle matrice de valorisation permet également de mieux évaluer l'efficacité clinique des interventions en termes de qualité de vie liée à la santé. Elle présente en effet des améliorations importantes par rapport à la matrice flamande précédemment utilisée en 2003 et basée sur l'EQ-5D-3L (voir section 6.2).

Ainsi, pour le calcul des QALY (voir Encadré 2) dans les analyses coût-efficacité des interventions de la santé, la nouvelle matrice permet des pondérations de qualité plus réalistes pour les années de vie gagnées grâce à une intervention spécifique, notamment parce que l'EQ-5D-5L est plus sensible aux petits changements dans la qualité de vie liée à la santé et que la nouvelle matrice comporte un éventail plus large de scores d'utilité. Par conséquent, les évaluations économiques des interventions de santé pourront être plus précises.

En contribuant à une standardisation des méthodes, l'utilisation de l'instrument EQ-5D-5L et de la nouvelle matrice de valorisation EQ-5D-5L belge augmentera la comparabilité des analyses coût-efficacité et, par conséquent, l'utilité de ces évaluations dans la politique de la santé. De plus, les préférences de la population générale par rapport aux différents états de santé constituent un point de vue sociétal essentiel pour les évaluations économiques de la santé.

À leur tour, ces évaluations conduiront sans doute à des résultats différents, avec des gains de QALY plus ou moins importants – ce qui est impossible à prédire, d'autant plus que l'effet variera sans doute d'une intervention à l'autre. Cependant, étant donné le soin apporté aux évaluations actuelles, nous pouvons supposer que les estimations de rapport coût-efficacité seront plus précises à l'avenir.

### *6.3.3. Une meilleure vision de la santé publique*

Enfin, la nouvelle matrice permettra de mieux saisir les subtilités de la santé et de la qualité de vie liée à la santé pour la population en général et pour des groupes de patients spécifiques.

Elle constituera un apport important pour élargir et améliorer les analyses quantitatives et les comparaisons entre sous-groupes de population lors d'évaluations de l'état de santé de la population telles que celle effectuée, par exemple, grâce à l'Enquête de santé par interview de Sciensano.

En combinant les états de santé EQ-5D-5L tels que décrits par les participants à l'Enquête de santé par interview avec les scores d'utilité de la nouvelle matrice de valorisation, il sera également possible d'obtenir des données de référence sur la qualité de vie de la population en général (appelés « scores de référence EQ-5D-5L »).[46, 47] Cela permettra de mieux comprendre les relations entre la qualité de vie liée à la santé et les caractéristiques de la population, y compris l'influence du mode de vie (par exemple, le tabagisme), des maladies chroniques, du statut socio-économique ou de toute autre variable collectée dans l'Enquête sur la santé.

De telles normes de population permettent aussi des comparaisons plus valables entre la qualité de vie liée à la santé de patients atteints de certaines affections et de personnes présentant des caractéristiques similaires (par exemple, l'âge, le sexe) dans la population générale. De telles comparaisons permettent alors d'évaluer si certaines populations sont relativement plus mal loties que d'autres. Ou, en d'autres termes, quels sous-groupes de patients ont les plus grands besoins en matière de santé, compte tenu du niveau « normal » de qualité de vie liée à la santé dans des sous-groupes comparables au sein de la population générale.

# RECOMMANDATIONS[c]

**A l'industrie pharmaceutique et à l'industrie des technologies médicales, au gouvernement fédéral, aux autorités régionales et à la communauté des chercheurs**

- Lorsque l'on cherche à quantifier l'impact d'une intervention de santé sur la qualité de vie liée à la santé (HRQoL), il devrait être fait usage de l'instrument EQ-5D-5L en combinaison avec la nouvelle matrice de valorisation EQ-5D-5L, conformément aux guidelines belges pour les évaluations économiques de santé.[11] Une analyse supplémentaire, basée sur des données obtenues avec d'autres instruments, peut parfois être nécessaire si les dimensions de l'EQ-5D ne reflètent pas de manière adéquate l'impact sur les problèmes de santé et sur d'autres aspects pertinents de la qualité de vie.
  L'utilisation de l'instrument EQ-5D-5L permettra une standardisation des méthodes, ce qui augmentera la comparabilité des analyses coût-efficacité et par conséquent l'utilité de ces analyses dans la politique de santé.
- Dans l'Enquête de santé belge par interview de 2018, l'état de santé de la population a été sondé à l'aide de l'instrument EQ-5D-5L. À partir de ces informations et de la nouvelle matrice de valorisation EQ-5D-5L, de nouveaux scores de référence pour la population générale devraient à présent être définis et analysés afin de mieux comprendre les différences de qualité de vie liée à la santé entre sous-groupes de population et d'identifier les populations de patients qui ont les besoins de santé les plus importants.

**Au gouvernement fédéral, aux autorités régionales, aux établissements de soins et à la communauté des chercheurs.**

- Il devrait être fait usage de l'instrument EQ-5D-5L en combinaison avec la nouvelle matrice de valorisation EQ-5D-5L belge en tant que PROM générique dans des environnements cliniques pour évaluer les effets des interventions de santé. La collecte systématique des données EQ-5D-5L faciliterait non seulement l'utilisation des PROM dans la pratique clinique, mais offrirait également de nombreuses possibilités de recherche et d'évaluation.

[c] Les recommandations relèvent de la seule responsabilité du KCE.

# RÉFÉRENCES


1. Cleemput I, Devriese S, Christiaens W, Kohn L. Multi-criteria decision analysis for the appraisal of medical needs: a pilot study. Health Services Research (HSR). Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2016. KCE Reports (272) Available from: https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/KCE_272_Unmet_needs_Report2.pdf
2. Cleemput I, Devriese S, Kohn L, Devos C, van Til J, Groothuis-Oudshoorn K, et al. Incorporating societal preferences in reimbursement decisions – Relative importance of decision criteria according to Belgian citizens. Health Services Research (HSR). Brussel: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2014. KCE Reports (234) Available from: https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/KCE_234_reimbursement_decisions_Report_0_1.pdf
3. EUnetHTA. Guideline: Endpoints used for relative effectiveness assessment of pharmaceuticals, health-related quality of life and utility measures. European network for Health Technology Assessment; 2013. Available from: https://eunethta.eu/wp-content/uploads/2013/01/Health-related-quality-of-life.pdf
4. EuroQol Research Foundation. EQ-5D-5L User Guide (version 3.0). Rotterdam: 2019. Available from: https://euroqol.org/publications/user-guides
5. Cleemput I. A social preference valuations set for EQ-5D health states in Flanders, Belgium. The European Journal of Health Economics. 2010;11(2):205-13.
6. Food and Drug Administration. Guidance for industry. Patient-reported outcome measures: use in medical product development to support labeling claims. 2009. Available from: https://www.fda.gov/media/77832/download
7. European Medicines Agency. Reflection paper on the regulatory guidance for the use of health-related quality of life (HRQL) measures in the evaluation of medicinal products. London: 2006. Available from: https://www.ema.europa.eu/en/documents/scientific-

guideline/reflection-paper-regulatory-guidance-use-healthrelated-quality-life-hrql-measures-evaluation_en.pdf

8. Whitehead SJ, Ali S. Health outcomes in economic evaluation: the QALY and utilities. British Medical Bulletin. 2010;96(1):5-21.
9. Brazier J, Ratcliffe J, Salomon JA, Tsuchiya A. Measuring and valuing health benefits for economic evaluation. Second edition. Oxford university press; 2017.
10. Cleemput I, Neyt M. Which quality of life measures fit your relative effectiveness assessment? International Journal of Technology Assessment in Health Care. 2015;31(3):147-53.
11. Cleemput I, Neyt M, Van de Sande S, Thiry N. Belgian guidelines for economic evaluations and budget impact analyses: second edition. Health Technology Assessment (HTA). Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2012. KCE Reports (183) Available from: https://kce.fgov.be/sites/default/files/page_documents/KCE_183C_economic_evaluations_second_edition_0.pdf
12. Brazier J, Akehurst R, Brennan A, Dolan P, Claxton K, McCabe C, et al. Should patients have a greater role in valuing health states? Applied Health Economics and Health Policy. 2005;4(4):201-8.
13. Kreimeier S, Greiner W. EQ-5D-Y as a health-related quality of life instrument for children and adolescents: the instrument's characteristics, development, current use, and challenges of developing its value set. Value in Health. 2019;22(1):31-7.
14. Kennedy-Martin M, Slaap B, Herdman M, van Reenen M, Kennedy-Martin T, Greiner W, et al. Which multi-attribute utility instruments are recommended for use in cost-utility analysis? A review of national health technology assessment (HTA) guidelines. The European Journal of Health Economics. 2020;21(8):1245-57.
15. EuroQol Group. EuroQol - a new facility for the measurement of health-related quality of life. Health Policy. 1990;16(3):199-208.
16. Herdman M, Gudex C, Lloyd A, Janssen M, Kind P, Parkin D, et al. Development and preliminary testing of the new five-level version of EQ-5D (EQ-5D-5L). Quality of Life Research. 2011;20(10):1727-36.
17. EuroQol. EuroQol | About Us [Web page]. 2021 [cited 20/05/2021]. Available from: https://euroqol.org/euroqol/
18. Enquête de santé. Sciensano;2021 [cited [1/03/2021]]. Available from: https://his.wiv-isp.be/fr/SitePages/Accueil.aspx
19. Charafeddine R. Qualité de vie liée à la santé. In: Van der Heyden J, Charafeddine R, editors. Enquête de santé 2013. Rapport 1: santé et bien-être. Brussels: WIV-ISP; 2014. Available from: https://his.wiv-isp.be/fr/Documents%20partages/QL_FR_2013.pdf
20. Charafeddine R, Braekman E, Van der Heyden J. Enquête de santé 2018: qualité de vie liée à la santé. Brussels: 2019. Available from: https://his.wiv-isp.be/fr/Documents%20partages/QL_FR_2018.pdf
21. Harrison MJ, Davies LM, Bansback NJ, McCoy MJ, Verstappen SM, Watson K, et al. The comparative responsiveness of the EQ-5D and SF-6D to change in patients with inflammatory arthritis. Quality of Life Research. 2009;18(9):1195-205.
22. Perneger TV, Combescure C, Courvoisier DS. General population reference values for the French version of the EuroQol EQ-5D health utility instrument. Value in Health. 2010;13(5):631-5.
23. Janssen MF, Birnie E, Haagsma JA, Bonsel GJ. Comparing the standard EQ-5D three-level system with a five-level version. Value in Health. 2008;11(2):275-84.
24. Bharmal M, Thomas J, 3rd. Comparing the EQ-5D and the SF-6D descriptive systems to assess their ceiling effects in the US general population. Value in Health. 2006;9(4):262-71.
25. Pickard AS, De Leon MC, Kohlmann T, Cella D, Rosenbloom S. Psychometric comparison of the standard EQ-5D to a 5 level version in cancer patients. Medical Care. 2007;45(3):259-63.

26. Oppe M, Devlin NJ, van Hout B, Krabbe PF, de Charro F. A program of methodological research to arrive at the new international EQ-5D-5L valuation protocol. Value in Health. 2014;17(4):445-53.

27. Stolk E, Ludwig K, Rand K, van Hout B, Ramos-Goñi JM. Overview, update, and lessons learned from the international EQ-5D-5L valuation work: version 2 of the EQ-5D-5L valuation protocol. Value in Health. 2019;22(1):23-30.

28. Ludwig K, Graf von der Schulenburg JM, Greiner W. German value set for the EQ-5D-5L. PharmacoEconomics. 2018;36(6):663-74.

29. Andrade LF, Ludwig K, Ramos-Goñi JM, Oppe M, de Pouvourville G. A French value set for the EQ-5D-5L. PharmacoEconomics. 2020;38(4):413-25.

30. Versteegh MM, Vermeulen KM, Evers SMAA, de Wit GA, Prenger R, Stolk EA. Dutch tariff for the five-level version of EQ-5D. Value in Health. 2016;19(4):343-52.

31. Charafeddine R, Demarest S, Drieskens S, Gisle L, Tafforeau J, Van der Heyden J. Health interview survey 2013. Research protocol. Brussels: WIV-ISP; 2013. Available from: https://his.wiv-isp.be/Shared%20Documents/Protocol2013.pdf

32. Janssen BMF, Oppe M, Versteegh MM, Stolk EA. Introducing the composite time trade-off: a test of feasibility and face validity. The European Journal of Health Economics. 2013;14(1):5-13.

33. Shah KK, Lloyd A, Oppe M, Devlin NJ. One-to-one versus group setting for conducting computer-assisted TTO studies: findings from pilot studies in England and the Netherlands. The European Journal of Health Economics. 2013;14(1):65-73.

34. Oppe M, van Hout B. The "power" of eliciting EQ-5D-5L values: the experimental design of the EQ-VT. Rotterdam: EuroQol Group; 2017. EuroQol Working Paper Series 17003 Available from: https://euroqol.org/wp-content/uploads/2016/10/EuroQol-Working-Paper-Series-Manuscript-17003-Mark-Oppe.pdf

35. van Hout B, Mulhern B, Feng Y, Shah K, Devlin N. The EQ-5D-5L value set for England: response to the "Quality Assurance". Value in Health. 2020;23(5):649-55.

36. Devlin NJ, Brooks R. EQ-5D and the EuroQol Group: past, present and future. Applied Health Economics and Health Policy. 2017;15(2):127-37.

37. Ramos-Goñi JM, Pinto-Prades JL, Oppe M, Cabases JM, Serrano-Aguilar P, Rivero-Arias O. Valuation and modeling of EQ-5D-5L health states using a hybrid approach. Medical Care. 2017;55(7):e51-e8.

38. Lugnér AK, Krabbe PFM. An overview of the time trade-off method: concept, foundation, and the evaluation of distorting factors in putting a value on health. Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research. 2020;20(4):331-42.

39. Ramos-Goñi JM, Oppe M, Slaap B, Busschbach JJ, Stolk E. Quality control process for EQ-5D-5L valuation studies. Value in Health. 2017;20(3):466-73.

40. Eurostat. EU statistics on income and living conditions [Web page]. 2021 [cited 20/05/2021]. Available from: https://ec.europa.eu/eurostat/statistics-explained/index.php?title=Glossary:EU_statistics_on_income_and_living_conditions_(EU-SILC)

41. Statistics Belgium. Population by place of residence, nationality, marital status, age and sex [Web page]. 2017 [cited 1/03/2021]. Available from: https://statbel.fgov.be/en/open-data/population-place-residence-nationality-marital-status-age-and-sex-0

42. van Hout B, Janssen MF, Feng Y-S, Kohlmann T, Busschbach J, Golicki D, et al. Interim scoring for the EQ-5D-5L: mapping the EQ-5D-5L to EQ-5D-3L value sets. Value in Health. 2012;15(5):708-15.

43. Devlin NJ, Shah KK, Feng Y, Mulhern B, van Hout B. Valuing health-related quality of life: An EQ-5D-5L value set for England. Health economics. 2018;27(1):7-22.

44. Devlin NJ, Parkin D, Browne J. Patient-reported outcome measures in the NHS: new methods for analysing and reporting EQ-5D data. Health Economics. 2010;19(8):886-905.

45. Desomer A, Van den Heede K, Triemstra M, Paget J, De Boer D, Kohn L, et al. Use of patient-reported outcome and experience measures in patient care and policy – Short report. Health Services Research (HSR). Brussels: Belgian Health Care Knowledge Centre (KCE); 2018. KCE Reports (303Cs) Available from: https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/KCE_303C_Patient_reported_outcomes_Short_Report_0.pdf

46. Bilcke J, Hens N, Beutels P. Quality-of-life: a many-splendored thing? Belgian population norms and 34 potential determinants explored by beta regression. Quality of Life Research. 2017;26(8):2011-23.

47. Van Wilder L, Charafeddine R, Beutels P, Bruyndonckx R, Cleemput I, Demarest S, et al. Belgian population norms for the EQ-5D-5L, 2013 and 2018. Under Review. 2021.

# COLOPHON


| | |
|---|---|
| Titre : | Une matrice de valorisation belge pour l'EQ-5D-5L – Comment évaluer la qualité de vie liée à la santé ? – Synthèse |
| Auteurs : | Nicolas Bouckaert (KCE), Sophie Gerkens (KCE), Stephan Devriese (KCE), Irina Cleemput (KCE) |
| Facilitateur de projet : | Nathalie Swartenbroeckx (KCE) |
| Rédaction de la synthèse : | Peter Raeymaeckers (Lyragen), Karin Rondia (KCE) |
| Relecture : | Marijke Eyssen (KCE), Patriek Mistiaen (KCE), Irm Vinck (KCE) |
| Experts externes : | Rana Charafeddine (Sciensano), Brecht Devleesschauwer (Sciensano), Kristina Ludwig (EuroQol Research Foundation), Geert Molenberghs (Universiteit Hasselt, KU Leuven), Mark Oppe (Maths in Health), Bram Roudijk (EuroQol Research Foundation), Elly Stolk (EuroQol Research Foundation) |
| Validateurs externes : | Luiz Flavio Andrade (University of Birmingham), Delphine De Smedt (Universiteit Gent), Koonal Shah (PHMR Ltd, EuroQol Group's Executive Committee) |
| Remerciements : | Nous remercions les membres de l'équipe Profacts et les enquêteurs pour leur contribution essentielle à cette étude, les nombreux collègues du KCE qui ont été impliqués à différentes étapes de l'étude, ainsi qu'Elly Stolk (EuroQol Research Foundation) pour sa précieuse contribution en tant que représentante d'EuroQol. Nous remercions également l'EuroQol Research Foundation pour le support financier ayant permis de mener à bien cette étude. |
| Intérêts déclarés : | L'étude actuelle a été cofinancée par l'EuroQol Research Foundation qui a couvert la moitié des coûts d'étude prévus.<br>Tous les experts et stakeholders consultés pour ce rapport ont été sélectionnés en raison de leur implication dans la recherche relative aux instruments EQ-5D ou au développement d'une matrice de valorisation EQ-5D-5L. Par conséquent, par définition, chacun d'eux pourrait avoir un certain degré de conflit d'intérêts avec le sujet principal de ce rapport. |
| Image de couverture: | L'image a été prise du site Web d'EuroQol (https://euroqol.org/support/tools/educational-material/) et reproduite avec l'autorisation de l'EuroQol Research Foundation. |
| Layout: | Ine Verhulst |

| | |
|---|---|
| **Disclaimer:** | • **Les experts externes ont été consultés à propos d'une version (préliminaire) du rapport scientifique. Leurs remarques ont été discutées lors de réunions. Ils ne sont pas co-auteurs du rapport scientifique et ne sont pas nécessairement d'accord avec son contenu.**<br>• **Une version (finale) a ensuite été soumise aux validateurs. La validation du rapport fait suite à un consensus ou un vote majoritaire entre les validateurs. Ils ne sont pas co-auteurs du rapport scientifique et ne sont pas nécessairement d'accord tous les trois avec son contenu.**<br>• **Enfin, ce rapport unanime a été approuvé par le Conseil d'administration (voir https://www.kce.fgov.be/fr/content/le-conseil-dadministration-du-centre-dexpertise).**<br>• **Seul le KCE est responsable des erreurs ou omissions éventuellement restantes ainsi que des recommandations au gouvernement.** |
| Date de publication : | 1er juillet 2021 |
| Domaine : | Health Services Research (HSR) |
| MeSH : | Quality of Life; Quality-Adjusted Life Years; Surveys and Questionnaires; Cost-Benefit Analysis; Models, Statistical |
| Classification NLM : | W84.3 Health Services - Research (General) |
| Langue : | Français |
| Format : | Adobe® PDF™ (A4) |
| Dépot légal : | D/2021/10.273/18 |
| ISSN : | 2466-6440 |
| Copyright | La Figure 1 représentant une version exemple de l'instrument EQ-5D est reproduite avec l'autorisation de l'EuroQol Research Foundation. La reproduction de cette version exemple n'est pas autorisée. Pour la reproduction, l'utilisation ou la modification de l'EQ-5D (toute version), veuillez enregistrer votre étude en utilisant la page d'enregistrement en ligne d'EuroQol : www.euroqol.org<br>Les rapports KCE sont publiés sous Licence Creative Commons « by/nc/nd » http://kce.fgov.be/fr/content/a-propos-du-copyright-des-publications-du-kce.<br> |

Comment citer ce rapport ?

Bouckaert N, Gerkens S, Devriese S, Cleemput I. Une matrice de valorisation belge pour l'EQ-5D-5L – Comment évaluer la qualité de vie liée à la santé ? – Synthèse. Health Services Research (HSR). Bruxelles: Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé (KCE). 2021. KCE Reports 342Bs. D/2021/10.273/18.

Ce document est disponible en téléchargement sur le site Web du Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé.