

Étude:

Update 2023, Version 4.0

Notation d'études

| Type | Étude du critère d'évaluation principal | Paramètres de mesure du critère d'évaluation principal | Détermination du bénéfice clinique |
|------|--|--|---|
| ① | Évolution de la fonction | Pourcentage d'amélioration par rapport à la valeur initiale | $\Delta\%$ vérum et témoin → calculer |
| ② | Nombre d'événements | Pourcentage d'amélioration par rapport à la valeur initiale | $\Delta\%$ vérum et témoin → calculer |
| ③ | Mesure des points de score | Pourcentage d'amélioration par rapport à la valeur initiale. Total des points = 100 % 2. Retard : population au début de l'étude = 100% | $\Delta\%$ vérum et témoin pour score total → calculer % de points de score de la population de l'étude au début de l'étude → calculer |
| ④ | Valeurs de substitution avec plage de l'étude (x - y) | Pourcentage d'amélioration par rapport à la valeur initiale. Coefficient de mesure dans la plage de l'étude (x - y) = 100 % | $\Delta\%$ vérum et témoin pour plage de l'étude (x - y) → calculer |
| ⑤ | Taux de réponse pour un but relevant du critère d'évaluation principal | Taux de réponse en % pour le critère d'évaluation principal | $\Delta\%$ = points de pourcentage (PP) = ARR → prendre directement la valeur de l'étude |
| ⑥ | Mortalité | Diminution de la mortalité en années ou en HR | Δ à prendre directement dans l'étude ou à calculer |

③ (2.) Le retard est considéré comme un succès → pathologies qui s'aggravent de façon continue, sans possibilité d'amélioration

| Typ ① - ④ | Typ ⑤ | Typ ⑥ | Scorepunkte |
|--|--------------------|---|-------------|
| $\Delta \geq 50\%$ | $\Delta \geq 40\%$ | $\Delta OS \geq 2\%$ par an | 4 |
| $\Delta \geq 30\%$ ou HR $\leq 0,65$ | $\Delta \geq 20\%$ | $\Delta OS \geq 1\%$ par an ou HR $\leq 0,80$ | 3 |
| $\Delta \geq 10\%$ ou HR $\leq 0,70$ | $\Delta \geq 10\%$ | $\Delta OS \geq 0,5\%$ par an ou HR $\leq 0,85$ | 2 |
| $\Delta \geq 5\%$ ou HR $\leq 0,75$ | $\Delta \geq 5\%$ | - | 1 |
| Études à un bras avec bénéfice cliniquement notable | | Réponse > 60% et DoR > 6 mois | 3 |
| | | Réponse $\geq 30\%$ | 2 |
| | | Pas d'indications sur la réponse | 1 |

Bénéfice cliniquement notable → Le bénéfice proprement dit n'est pas quantifié.

Type 6 → Instant ΔOS à la fin validée de l'étude, défini par l'étude ou fin de l'étude quand 15 sujets du groupe verum sont encore en vie

HR → Les valeurs absolues avec Δ prévalent sur le HR.

| Bonus Malus Point de bonus seulement si au moins 1 point de score de type 1 à 6 est acquis | QoL | Déclarée comme secondaire, $p \leq 0,05$ et notation avec questionnaire validé. Pas de bonus si «non inférieure» ou si le bonus relève du critère d'évaluation principal. | + 1 |
|--|----------------------------------|---|-----------|
| | Effet indésirable grave (sAE) | Δ sAE $\geq 35\%$ (Δ = verum ↔ groupe témoin) ou $\geq 50\%$ si un seul bras | - 1 |
| | Réponse (RR) | RR 15-30%. Pas pour type 5 ni études à un seul bras. (RR < 15% = notation max. de l'étude : C) | - 1 |
| | Lacunes des études | <ul style="list-style-type: none"> ▪ Groupe témoin représenté de façon non adéquate ou groupe témoin historique sans définition précise des critères ▪ Texte intégral de l'étude manquant → L'étude ne peut pas être complètement évaluée. ▪ Effet à long terme impossible à déduire de façon plausible de l'étude ▪ Autres lacunes cliniquement pertinentes que le MC peut justifier | - 1 |
| | Consultation d'experts par le MC | Clarification si le MC ne parvient pas à établir exactement la pertinence clinique ou clarification de particularités de l'étude | + 1 / - 1 |

QoL = incluse dans le critère d'évaluation principal

Exemple : réduction des polypes nasaux = critère d'évaluation principal → l'amélioration de la respiration nasale améliore significativement la qualité de vie → pas de bonus de QoL possible

Notation des études

Somme des points pour le rating

Points de scorel (+1) ou (-1) de la somme de tous les bonus/malus

5 → A

4 → A

3 → B

2 → C

1 → C

0 → D

C Particularités et explications

La notation de l'étude est uniquement effectuée lorsque les critères d'application de l'art. 71 a-d OAMal sont remplis

- Une notation est toujours fondée sur les données d'études publiées dans des revues spécialisées reconnues et révisées par des pairs ou dans des publications de congrès internationaux de médecins spécialistes, révisées par des pairs.
- Une notation s'appuie sur l'étude ayant la preuve la plus élevée, citée ou mise à disposition par l'auteur(e) de la requête. C'est le médecin-conseil qui décide s'il est possible d'accepter les meilleurs éléments de plusieurs études (mélange d'études) en cas d'études complémentaires.
- Le paramètre ayant la preuve clinique la plus élevée est évalué s'il existe plusieurs critères d'évaluation et un critère d'évaluation principal peu clair.
- Discordance entre 1^{er} point final et le résultat ou ligne de base manquante/claire → notation maximale de l'étude C
- Réponse RR < 15% (hors type 5 et études à un seul bras) → notation maximale de l'étude : C
- Études sans indication, autorisation pour une caractéristique génétique uniquement → notation maximale de l'étude C
- Approbation conditionnelle avec obligation de fournir des données ultérieures → notation maximale de l'étude B
- Critères de substitution/données biologiques → notation maximale B dans le cas individuel
- Études sans groupe témoin → notation maximale B dans le cas individuel
- Case reports → notation de l'étude D, Upgrading dans le cas individuel possible avec l'expert en C
- Le niveau de 1 point de score n'est pas atteint sur la base des données de l'étude → zéro point de score (0), pas de possibilité de points de bonus
- **Perméabilité des modèles:** il peut arriver qu'une étude ne soit pas représentée dans l'un des modèles (Onco/NonOnco). Dans ces cas, il est possible de vérifier si une notation est possible avec le contre-modèle.
- **Points de substitution/données biologiques:** paramètres de mesure établis dans la pratique clinique quotidienne, tels que les valeurs de laboratoire, la vitesse de conduction nerveuse, les résultats d'imagerie, etc. Ils sont assimilés à des paramètres de mesure cliniques si le médecin-conseil justifie un lien étroit avec l'utilité thérapeutiques.
- **Catégorie C / C* (C*= C-étoile) :** En règle générale, la catégorie C signifie que le coût du traitement à l'essai est à la charge de l'entreprise pharmaceutique (1 à 3 mois). Le médecin-conseil recommande C* quand la solution C habituelle ne va probablement pas être utilisable mais qu'elle est dans l'intérêt des patients. Le MC conseille l'assureur sur les limitations ou la mesure des objectifs thérapeutiques si celui-ci participe à un essai de traitement afin de résoudre un cas de rigueur.

Consultation d'un expert

- La décision de consulter éventuellement des experts est prise par le MC.
- C'est lui qui détermine comment il va recueillir l'avis des spécialistes → sur la base d'expertises telles que les HTA (Health-Technology-Assessment), les directives ou, plus généralement, de critiques d'experts nationaux/internationaux, ou en consultant certains spécialistes cliniciens ou biostatisticiens.