

Réflexion sur l'évaluation terrain en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé

Décembre 2011

Une production de l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux

Rapport rédigé par:
Dima Samaha

Avec la collaboration de
Reiner Banken, Pierre Dagenais et Céline Mercier

Le présent document a été adopté par la Table sectorielle en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé et déposé à la Table de coordination nationale des Réseaux universitaires intégrés de santé lors de sa réunion du 12 décembre 2011.

Le contenu de cette publication a été rendu possible par l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux.

ÉQUIPE DE PROJET

Auteur

Dima Samaha, B.S. Pharm., Pharm. D., MAS en économie et management de la santé

Collaboration

Reiner Banken, M.D., M. Sc.
Pierre Dagenais, M.D., M. Sc., Ph. D.,
Céline Mercier, Ph. D.,

Direction

Reiner Banken, directeur général associé aux relations extérieures, partenariats et réseaux

Recherche documentaire

Dima Samaha

Soutien documentaire

Micheline Paquin

ÉDITION

Responsable

Diane Guilbault

Coordination

Véronique Baril

Révision linguistique

Centre de services partagés

Graphisme

Magali Bérubé

Vérification bibliographique

Denis Santerre

Publié par la Direction des communications et du transfert des connaissances

Dépôt légal

Bibliothèque et Archives nationales du Québec, 2011

Bibliothèque et Archives Canada, 2011

ISSN 1915-3082 INESSS (imprimé)

ISBN 978-2-550-63709-7 (imprimé)

ISSN 1915-3104 INESSS (PDF)

ISBN 978-2-550-63708-0 (PDF)

© Gouvernement du Québec, 2011.

La reproduction totale ou partielle de ce document est autorisée à condition que la source soit mentionnée.

Pour citer ce document : Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS). Réflexion sur l'évaluation terrain en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé. Rédigé par Dima Samaha en collaboration avec Reiner Banken, Pierre Dagenais et Céline Mercier. Montréal, Qc : INESSS ; 2012.

L'Institut remercie les membres de son personnel qui ont contribué à l'élaboration de ce rapport.

RENSEIGNEMENTS

Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)

1195, avenue Lavigerie, bureau 60
Québec (Québec) G1V 4N3

2021, avenue Union, bureau 10.083
Montréal (Québec) H3A 2S9

Téléphone : 418 643-1339
Télécopieur : 418 644-8120

Téléphone : 514 873-2563
Télécopieur : 514 873-1369

Courriel : inesss@inesss.qc.ca

Site Web : inesss.qc.ca



Partenaires à la réalisation de ce document

Groupe de travail portant sur les évaluations terrain

- D^r Reiner Banken, Directeur général associé aux relations extérieures, partenariats et réseaux, Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)
- M. Marc Rhainds, Cogestionnaire médical et scientifique des activités d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (ETMIS) au Centre hospitalier universitaire de Québec
- M^{me} Nandini Dendukiri, Directrice de l'Unité d'évaluation des technologies (TAU) du Centre universitaire de santé McGill (CUSM)
- M^{me} Johanne Samson, Coordonnatrice de l'Unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (UETMIS) du Centre hospitalier universitaire (CHU) Sainte-Justine
- M. Renald Lemieux, Directeur adjoint, Direction de la qualité, de la planification, de l'évaluation et de la performance, Centre hospitalier de l'Université de Sherbrooke (CHUS)
- M^{me} Nathalie Champagne, Chargée de programmes en partenariats, internationaux et projets spéciaux, Fonds de recherche du Québec – Santé (FRQS)
- M^{me} Johanne Goldberg, Directrice adjointe aux affaires scientifiques, développement des programmes, Fonds de recherche du Québec – Santé (FRQS)
- D^r Pierre Dagenais, Directeur du soutien et du développement méthodologique, Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)
- M^{me} Céline Mercier, Directrice des Services sociaux, Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)
- M^{me} Dima Samaha, Chercheuse consultante responsable du projet, Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)

Table sectorielle en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (ETMIS)

- D^r Juan Roberto Iglesias, Président-directeur général, Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)
- M. Reiner Banken, Directeur général associé aux relations extérieures, partenariats et réseaux, Institut national d'excellence en santé et en services sociaux (INESSS)
- D^r Renaldo Battista, Président du comité sectoriel en Évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (ETMIS) du RUIS de l'Université de Montréal
- M^{me} Johanne Goldberg, Directrice adjointe aux affaires scientifiques, développement des programmes, Fonds de recherche du Québec – Santé (FRQS)
- D^r Luigi Lepanto, Directeur de la direction de l'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (DETMIS) du Centre hospitalier de l'Université de Montréal (CHUM)
- M. Renald Lemieux, Directeur adjoint, Direction de la qualité, de la planification, de l'évaluation et de la performance, Centre hospitalier de l'Université de Sherbrooke (CHUS)
- M. Daniel La Roche, Directeur de la direction de l'évaluation, de la qualité, de l'ingénierie, de la performance et de la prévention des infections (DEQIP), Centre hospitalier universitaire de Québec (CHUQ)
- M. Gary Stoopler, Directeur associé, Centre universitaire de santé McGill (CUSM)
- M^{me} Manon St-Pierre, Directrice, Direction de la recherche, de l'innovation et transfert des connaissances (DRITC), Ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS)
- M. Hai Pham Huy, Directeur de la Gestion des immobilisations et des technologies médicales, Agence de la santé et des services sociaux (ASSS) de Montréal
- M^{me} Johanne Samson, Coordonnatrice de l'Unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (UETMIS) du Centre hospitalier universitaire (CHU) Sainte-Justine

Table des matières

Remerciements	I
Résumé.....	II
Sigles et abréviations.....	VII
Introduction	1
1 Processus d'élaboration d'un cadre de référence	3
1.1 Groupe de travail sur les <i>évaluations terrain</i>	3
2 Cadre de référence.....	5
2.1 Qu'est-ce qu'une <i>évaluation terrain</i> ?.....	5
2.1.1 L' <i>évaluation terrain</i> dans la littérature scientifique	5
2.1.2 L' <i>évaluation terrain</i> au Québec.....	6
2.2 L'évaluation terrain avec développement de la preuve.....	6
2.2.1 Définition et cadre conceptuel	6
2.2.2 Dénomination	10
3 Vers un cadre de référence au Québec.....	11
3.1 Objectifs et enjeux d'une évaluation terrain avec développement de la preuve	11
3.2 Valeur ajoutée de l' <i>évaluation terrain</i> avec développement de la preuve	11
3.3 Modalités de l'évaluation terrain avec développement de la preuve	13
3.4 Étapes clés de l'évaluation terrain avec développement de la preuve	13
3.5 Éléments à considérer lors de la mise en place d'une évaluation terrain avec développement de la preuve.....	15
3.5.1 Caractéristiques à l'échelle du système de santé ou de l'établissement de santé ou de services sociaux.....	15
3.5.2 Caractéristiques organisationnelles de la recherche	17
3.5.3 Caractéristiques liées au protocole de recherche.....	20
4 Conclusion	24
Annexe A Mandat du groupe de travail sur les évaluations terrain de la Table sectorielle des RUIS en ETMIS	25
Annexe B Les différents volets de l' <i>évaluation terrain</i> , perspectives canadienne et internationale . . .	27
Annexe C L' <i>évaluation terrain</i> au Québec	30
Annexe D Critères proposés dans d'autres provinces et pays pour mandater la mise en place d' <i>évaluations terrain</i>	31
Annexe E Principes à considérer lors de l'élaboration d'études <i>Access with Evidence Development</i> (AED).....	34
Références	35

Listes figures et tableaux

- Figure 1.** Les composantes d'une évaluation terrain telle que le groupe de travail la définit. 7
- Figure 2.** Cadre conceptuel de l'évaluation terrain avec développement de la preuve. 9
- Figure 3.** Étapes clés de l'évaluation terrain avec développement de la preuve 14
-
- Tableau 1.** Points communs et différences entre la recherche évaluative, l'évaluation de programme, l'évaluation des technologies et des modes d'intervention et l'évaluation terrain avec développement de la preuve 8
- Tableau 2.** Avantages et inconvénients des *évaluations terrain* pour la diffusion des innovations technologiques selon diverses parties prenantes. 12

Remerciements

Le présent document a été préparé par Dima Samaha, chercheuse consultante, Direction générale associée relations extérieures, partenariats et réseaux, pour le Groupe de travail sur les évaluations terrain de la Table sectorielle en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (ETMIS) de la Table nationale des Réseaux universitaires intégrés de santé (RUIS).

Les personnes suivantes ont grandement contribué à la préparation de ce rapport en fournissant soutien, information et conseils clés :

D^r Reiner Banken, directeur général associé aux relations extérieures, partenariats et réseaux, INESSS

M. Christian Bellemare, coordonnateur de l'UETMIS, Direction de la qualité, de la planification, de l'évaluation et de la performance, CHUS

M^{me} Nathalie Champagne, chargée de programmes en partenariats, internationaux et projets spéciaux, FRQS

M. Dan Cooper, conseiller scientifique en pharmacoéconomie, INESSS

M. Martin Coulombe, cogestionnaire clinico-administratif des activités d'ETMIS au CHUQ

D^r Pierre Dagenais, directeur du soutien et du développement méthodologique, INESSS

M^{me} Nandini Dendukuri, directrice de l'Unité d'évaluation des technologies (TAU) du CUSM

M^{me} Joanne Goldberg, directrice adjointe aux affaires scientifiques, Développement des programmes, FRQS

M. Renald Lemieux, directeur adjoint, Direction de la qualité, de la planification, de l'évaluation et de la performance, CHUS

M^{me} Céline Mercier, directrice Services sociaux, INESSS

D^r Marc Rhains, cogestionnaire médical et scientifique des activités d'ETMIS au CHUQ

M^{me} Catherine Safianyk, coordonnatrice partenaires et réseaux, Direction générale associée relations extérieures, partenariats et réseaux, INESSS

M^{me} Johanne Samson, coordonnatrice de l'UETMIS du CHU Sainte-Justine

M. Eric St-Gelais, conseiller en orientation et coordination de la recherche et de l'innovation, Direction de la recherche, de l'innovation et du transfert des connaissances, MSSS

M^{me} Manon St-Pierre, directrice, Direction de la recherche, de l'innovation et du transfert des connaissances, MSSS

Résumé

Si l'innovation technologique présente la promesse d'une amélioration des services de soins, l'action combinée du développement des technologies, de la crise des finances publiques et de la pression politique et sociale oblige les décideurs à innover pour garantir un accès équitable à un service novateur de qualité à l'ensemble de la population, tout en continuant à contrôler la croissance des coûts.

L'introduction de l'innovation se fait souvent malgré la présence de plusieurs incertitudes quant à l'efficacité, à la sécurité et aux coûts induits. L'évaluation des technologies de la santé se pose alors comme un bien nécessaire pour favoriser une prise de décision optimale. Le principal objectif de l'évaluation des technologies de la santé est d'éclairer la prise de décision. Cependant, comme le relate le rapport de la Conférence des sous-ministres fédéraux, provinciaux et territoriaux de la Santé intitulé *Stratégie sur les technologies de la santé 1.0*, l'approche traditionnelle mise en place relativement à l'évaluation des technologies de la santé ne répond pas toujours aux besoins des décideurs [Groupe d'étude sur l'évaluation des technologies de santé, 2004]. En effet, compte tenu de l'absence d'exigences réglementaires strictes régissant les technologies de santé, les données disponibles sont souvent insuffisantes, peu prévisibles et basées sur des études menées dans un système rigide qui ne reflètent pas la réalité du terrain, où les patients ont souvent des maladies concomitantes et où le choix de la technologie ou du mode d'intervention le plus approprié revient souvent au fournisseur de soins [Carbonneil *et al.*, 2009; Menon et Stafinski, 2009].

La Conférence des sous-ministres fédéraux, provinciaux et territoriaux de la Santé propose alors la mise en place d'*évaluations terrain*¹ dans le but de recueillir des données probantes sur des aspects tels que « l'efficacité clinique, la détermination de l'usage adéquat, la détermination de l'impact [sic] de la mise en œuvre de la technologie sur l'institution [sic] ou la région ou des modèles économiques visant la mise en œuvre élargie de la technologie » [Groupe d'étude sur l'évaluation des technologies de santé, 2004]. Cette tendance se confirme également à l'échelle nationale et internationale. Au Canada, notamment en Alberta et en Ontario, aux États-Unis et dans divers pays européens, on constate un intérêt grandissant pour ce type d'évaluation, et de nombreuses démarches sont actuellement en train d'être mises en place afin de pallier les incertitudes entourant l'introduction d'une technologie sectorielle innovante [Briggs *et al.*, 2010; Stafinski *et al.*, 2010].

Au Québec, depuis plusieurs années, des rapports de l'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS) (à laquelle l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux [INESSS] a succédé) ainsi que ceux de nombreuses unités d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (UETMIS) du système québécois préconisent des recherches dans des conditions de pratique réelles et la mise sur pied de registres. De même, dans le cadre des travaux de la Table sectorielle des Réseaux universitaires intégrés de santé (RUIS) en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (ETMIS), les UETMIS ont manifesté un intérêt grandissant pour l'uniformisation et l'élaboration des *évaluations terrain*.

La Table sectorielle des RUIS en ETMIS a constitué un groupe de travail et de réflexion sur les *évaluations terrain*. Cette démarche vise à mettre à profit les différentes expertises québécoises et à créer des conditions pour produire des données scientifiquement valides et socialement légitimes, ce qui permettra aux décideurs d'utiliser davantage et de meilleure façon les résultats des travaux d'évaluation.

1 Le terme *évaluation terrain* est une terminologie canadienne (en anglais *field evaluation*). Ce terme peut amener une certaine confusion avec d'autres formes d'évaluations qui ne sont pas liées à l'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé. Tout au long de ce document, le terme *évaluation terrain* est utilisé en italique lorsque le terme fait référence au concept général rapporté dans la littérature scientifique. Le groupe de travail a, quant à lui, opté pour la dénomination « évaluation terrain avec développement de la preuve » (voir section 3.2.2 Dénomination) afin de préciser la démarche d'évaluation dans des conditions de pratique réelles en lien avec l'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé. Le terme évaluation terrain avec développement de la preuve est donc employé pour faire référence au concept développé par le groupe de travail sur les *évaluations terrain*.

Comme la Table sectorielle des RUIS en ETMIS l'a établi, le groupe de travail est constitué d'un représentant de chacun des quatre RUIS (l'Université Laval, l'Université de Montréal, l'Université McGill et l'Université de Sherbrooke), de représentants du Fonds de recherche du Québec – Santé (FRQS), d'un représentant du ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS) et des représentants de l'INESSS (qui s'occupent des volets méthodologique et des services sociaux). La Direction générale associée aux relations extérieures, partenariats et réseaux de l'INESSS préside le groupe de travail.

Le défi du groupe de travail consistait à élaborer des recommandations claires et précises relatives à la conception d'études qui visent à concilier validité, pertinence, faisabilité, contrôle des coûts et rapidité du processus. En explicitant le concept des *évaluations terrain*, ses objectifs et ses limites, l'élaboration d'un cadre de référence devrait aider les chercheurs à cerner le besoin décisionnel et à définir clairement la ou les questions de recherche, ainsi qu'à trouver un équilibre entre les impératifs décisionnels, la rigueur méthodologique et les aspects sociaux, juridiques et éthiques, dans le but de mieux planifier l'évaluation. Le cadre de référence sur les *évaluations terrain* a été conçu pour les technologies et modes d'intervention en santé, mais il pourrait aussi servir de base aux services sociaux et à l'évaluation des médicaments.

Les travaux du groupe de travail se sont appuyés sur une recherche narrative de la littérature internationale repérée dans les bases de données MEDLINE par l'intermédiaire de PubMed et de Google Scholar, à partir des termes : *field evaluation, coverage with evidence development, conditionally funded field evaluation, évaluation terrain, access with evidence development, only in research* et *real world evidence*. Les résultats de la recherche ont été étoffés par une recherche manuelle à partir des références. De même, les sites Web de diverses agences internationales en évaluation des technologies ainsi que la littérature grise ont également été consultés. De plus, des représentants d'agences canadiennes et internationales engagées activement dans les *évaluations terrain* ont été interviewés pour étoffer l'analyse.

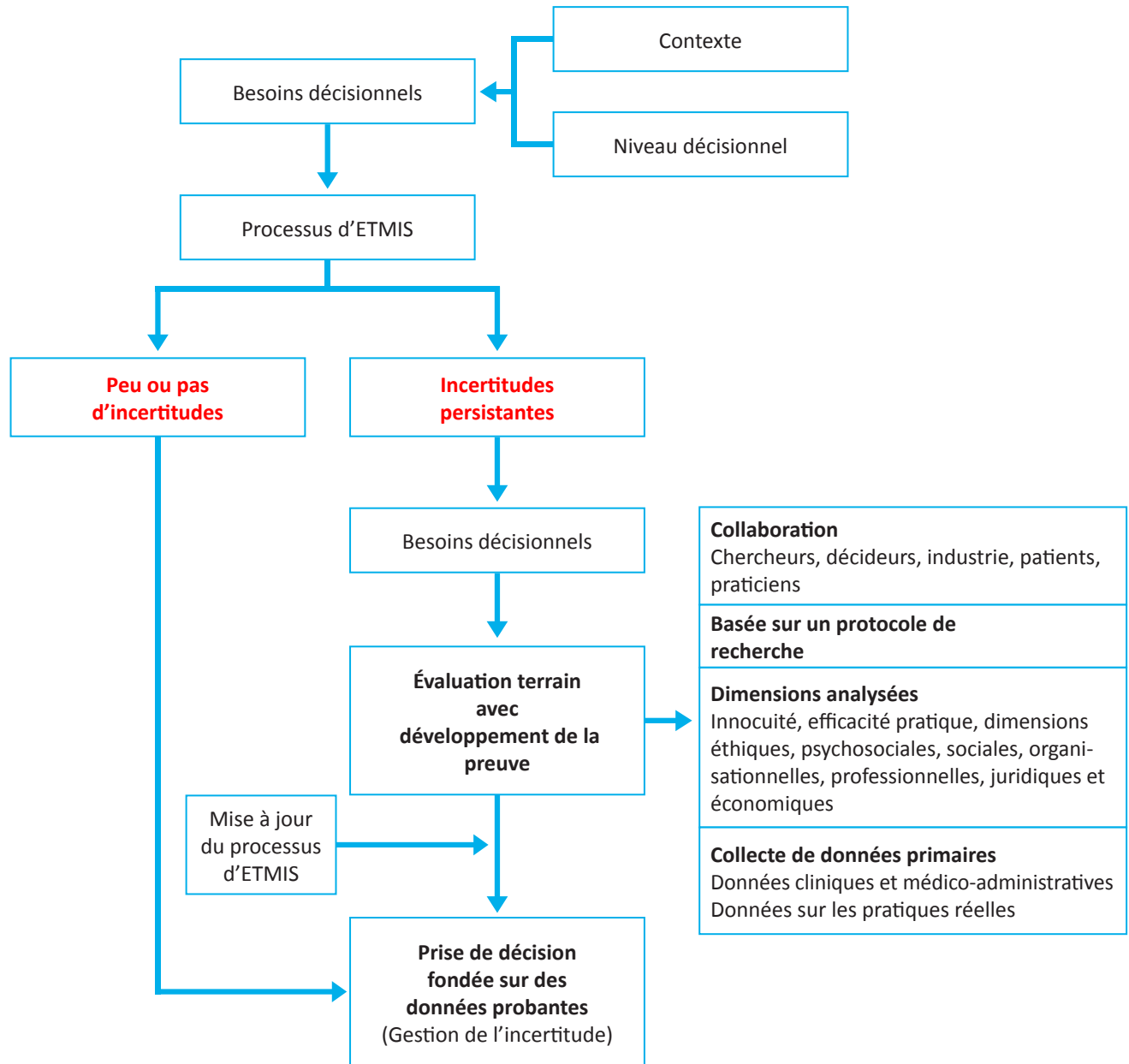
À la lumière du travail de recensement de la littérature scientifique et de l'expérience québécoise, le groupe de travail a défini l'*évaluation terrain* comme une démarche qui a pour objectif de diminuer les incertitudes décisionnelles qui persistent après une démarche d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, et ce, au moyen d'une mobilisation des connaissances et d'une collecte de données primaires et probantes dans des conditions de pratique réelles.

Pour les membres du groupe de travail, l'objectif principal d'une *évaluation terrain* est de répondre aux besoins des décideurs (politiques, administratifs, fournisseurs de soins ou autres) et non simplement de générer des connaissances. Les données probantes produites à la suite d'une *évaluation terrain* peuvent être employées par les décideurs politiques, les organismes de santé publique et les gestionnaires d'organisations en santé et en services sociaux pour appuyer une politique de financement ou de couverture ou même élaborer des recommandations de pratique clinique. De plus, ces nouvelles données probantes fournissent des réponses aux besoins de cliniciens et de patients, puisqu'elles guident les décisions cliniques et favorisent la mise en œuvre et l'utilisation efficace d'une technologie ou d'un mode d'intervention novateur. L'*évaluation terrain* telle que le groupe de travail la définit se distingue alors des différents types d'évaluation pouvant être confondues, notamment l'évaluation des technologies et des modes d'intervention, l'évaluation de programme, et la recherche évaluative.

L'*évaluation terrain* telle que le groupe de travail la définit vient compléter la synthèse des connaissances effectuée dans le contexte d'une évaluation des technologies ou des modes d'intervention, palliant ainsi les problèmes d'incertitude entourant cette dernière ainsi que les problèmes de validité externe associés aux études cliniques randomisées. L'*évaluation terrain* s'inscrit alors dans le cadre d'un processus de recherche translationnelle associant l'innovation technologique au stade de la recherche fondamentale à l'application clinique. La figure suivante présente le cadre conceptuel de la démarche d'évaluation des

technologies et des modes d'intervention menant aux évaluations terrain avec développement de la preuve².

Cadre conceptuel de l'évaluation terrain avec développement de la preuve



2 Le groupe de travail a opté pour la dénomination « évaluation terrain avec développement de la preuve » pour exprimer la démarche qui a pour objectif de diminuer les incertitudes décisionnelles qui persistent après une démarche d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, et ce, au moyen d'une mobilisation des connaissances et d'une collecte de données primaires et probantes dans des conditions de pratique réelles (voir section 3.2.2 Dénomination).

Les appellations « *évaluation terrain* », « évaluation sur le terrain », « évaluation de terrain » sont des calques de l'expression anglaise *field evaluation*. De plus, elles semblent prêter à confusion. En effet, « *évaluation terrain* » semble faire référence à toute collecte de données primaires. Or, il est important de noter que l'*évaluation terrain*, telle que le groupe de travail la définit, nécessite un lien avec un objectif décisionnel associé à une évaluation des technologies et des modes d'intervention, de manière que toute collecte de données sur le terrain n'est pas nécessairement synonyme d'*évaluation terrain*. De ce fait, le groupe de travail sur les *évaluations terrain* a opté pour la dénomination « évaluation terrain avec développement de la preuve ». Cette proposition a l'avantage de préciser la dénomination courante et elle a du sens en traduction : *field evaluation with evidence development*. De plus, elle rejoint le concept « d'inscription avec développement de la preuve » décrit dans le rapport du groupe de travail sur le processus d'évaluation des médicaments anticancéreux [MSSS, 2011].

L'évaluation terrain avec développement de la preuve contribue à enrichir les données probantes préalables sur l'efficacité, la sécurité ainsi que sur les dimensions éthiques, psychosociales, sociales, organisationnelles, professionnelles et économiques et vérifier l'efficacité pratique. Elle peut informer les décideurs sur les pratiques courantes dans les établissements du réseau ou à l'échelle du système de santé. Elle permet également de définir les conditions et les stratégies d'implantation afin d'optimiser la diffusion d'une technologie novatrice pour un milieu donné.

Les membres du groupe de travail s'accordent sur le fait que l'évaluation terrain avec développement de la preuve est susceptible de faciliter l'accès à des technologies novatrices prometteuses, en permettant une couverture provisoire sous certaines conditions, le cas échéant, tout en assurant une utilisation efficace et optimale des ressources.

La mise en place d'une évaluation terrain avec développement de la preuve présente un défi majeur, principalement compte tenu du fait que les intérêts des parties prenantes divergent foncièrement. D'une part, les décideurs sont responsables de veiller à l'utilisation optimale et judicieuse des technologies dans un contexte où les ressources se font rares et la demande de soins grandissante, tout en garantissant un accès universel à l'offre de services. D'autre part, les fournisseurs de soins et les patients souhaitent, en toute légitimité, un accès direct et rapide aux technologies dont ils pourraient bénéficier. L'industrie des technologies médicales semble percevoir, quant à elle, l'évaluation terrain comme un couteau à double tranchant. D'un côté, elle la voit comme un moyen d'accéder plus rapidement au marché, et de l'autre comme une entrave à l'innovation [Briggs et al., 2010; Mohr et Tunis, 2010; Stafinski et al., 2010; Trueman et al., 2010; Reed et al., 2008].

Dans un souci d'optimisation des processus, le groupe de travail propose les critères suivants pour évaluer la nécessité d'entreprendre une évaluation terrain avec développement de la preuve :

1. Besoin décisionnel important
2. Technologie ou mode d'intervention susceptible d'avoir des répercussions importantes sur le système de santé québécois ou l'établissement de santé ou de services sociaux
3. Problème d'incertitude important quant à l'innocuité, à l'efficacité pratique, aux dimensions éthiques, psychosociales, sociales, organisationnelles, professionnelles et économiques d'une technologie ou d'un mode d'intervention, auquel un processus d'ETMI n'a pas apporté de réponses complètes
4. Collecte de données primaires constituant la solution la plus appropriée pour pallier l'incertitude
5. Collecte de données probantes réalisable dans un laps de temps déterminé

L'évaluation terrain avec développement de la preuve comprend plusieurs étapes clés. La première consiste en l'appréciation par les décideurs des incertitudes soulevées à l'aide d'un processus d'évaluation. La deuxième comporte la traduction des incertitudes retenues en questions de recherche.

Cette étape est essentielle à l'élaboration du protocole de recherche ainsi qu'à la mise en place de l'étude. L'objectif étant principalement décisionnel, il est important que la dernière étape soit l'accompagnement des décideurs dans la compréhension et l'implantation des résultats.

La mise en place d'évaluations terrain avec développement de la preuve contribuera à la génération de connaissances liées aux besoins des décideurs. Toute évaluation nécessite une bonne planification et une conception juste, la formation et l'information des diverses parties prenantes ainsi que l'implantation de mécanismes d'évaluation de la qualité dans le respect des échéanciers décisionnels. Pour ce faire, toutes les parties prenantes (les décideurs politiques et administratifs, les épidémiologistes, les économistes de la santé, les éthiciens, les chercheurs, les cliniciens et l'industrie, etc.) doivent prendre part au processus afin de mieux répondre aux questions de recherche et d'obtenir des résultats de qualité qui permettront d'orienter la prise de décision.

D'une manière générale, le processus se doit : 1) de répondre aux problèmes formulés par les décideurs dans un délai relativement court; 2) d'être adapté aux besoins des requérants; 3) d'être accepté par toutes les parties prenantes; 4) d'être méthodologiquement rigoureux, reproductible et transparent.

La définition du concept des évaluations terrain avec développement de preuve s'est faite avec des intervenants de différents milieux. Le cadre méthodologique, les méthodes de financement et les aspects juridiques et d'assurance qualité, quant à eux, restent à définir en collaboration avec tous les acteurs du système de santé, étant donné que la collecte de données primaires peut constituer un long processus et peut exiger la mobilisation de nombreuses ressources humaines, financières et matérielles.

Sigles et abréviations

AETMIS	Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé
CHUQ	Centre hospitalier universitaire de Québec
CHUS	Centre hospitalier universitaire de Sherbrooke
CMS	Centers for Medicare and Medicaid Services
CSSS	Centre de santé et de services sociaux
CUSM	Centre universitaire de santé McGill
ETMI	Évaluation des technologies et des modes d'intervention
ETMIS	Évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé
ETS	Évaluation des technologies de la santé
FRQS	Fonds de recherche du Québec – Santé
INESSS	Institut national d'excellence en santé et en services sociaux
LSSS	Loi sur les services de santé et les services sociaux
MSSS	Ministère de la Santé et des Services sociaux
NETT	National Emphysema Treatment Trial
NICE	National Institute for Health and Clinical Excellence
NTAC	NHS Technology Adoption Center
OHTAC	Ontario Health Technology Advisory Committee
PATH	Programs for Assessment of Technology in Health Research Institute
RUIS	Réseaux universitaires intégrés de santé
UETMIS	Unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé

Introduction

Si l'innovation technologique présente la promesse d'une amélioration des services de soins, l'action combinée du développement des technologies, de la crise des finances publiques et de la pression politique et sociale oblige les décideurs à innover pour garantir un accès équitable à un service novateur de qualité à l'ensemble de la population, tout en continuant à contrôler la croissance des coûts [Brousselle *et al.*, 2009].

Dans le contexte actuel, la question du financement judicieux des nouvelles technologies est à l'origine de nombreuses préoccupations, surtout en raison du fait que l'innovation technologique est souvent considérée comme l'un des principaux responsables de la hausse des coûts dans le système de santé au Québec. Cette introduction de l'innovation se fait souvent malgré la présence de plusieurs incertitudes quant à l'efficacité, à la sécurité et aux coûts induits. L'évaluation des technologies de la santé se pose alors comme un bien nécessaire pour favoriser une prise de décision optimale.

L'évaluation des technologies de la santé examine les dimensions cliniques, économiques, éthiques et sociales de l'introduction, de l'acquisition et de l'utilisation de technologies en santé et en services sociaux, ainsi que leurs répercussions sur les modalités de prestation et d'organisation des services.

Le principal objectif de l'évaluation des technologies de la santé est d'éclairer la prise de décision. Cependant, comme le relate le rapport de la Conférence des sous-ministres fédéraux, provinciaux et territoriaux de la Santé intitulé *Stratégie sur les technologies de la santé 1.0*, l'approche traditionnelle mise en place relativement à l'évaluation des technologies de la santé ne répond pas toujours aux besoins des décideurs [Groupe d'étude sur l'évaluation des technologies de santé, 2004]. En effet, compte tenu de l'absence d'exigences réglementaires strictes régissant les technologies de santé, les données disponibles sont souvent insuffisantes, peu prévisibles et basées sur des études menées dans un système rigide qui ne reflètent pas la réalité du terrain, où les patients ont souvent des maladies concomitantes et où le choix de la technologie ou du mode d'intervention le plus approprié revient souvent au fournisseur de soins [Carbonneil *et al.*, 2009; Menon et Stafinski, 2009].

De plus, dans le contexte particulier des technologies innovantes, le processus d'évaluation des technologies se doit d'être flexible afin d'atteindre un équilibre entre les enjeux décisionnels, la rigueur scientifique et un niveau d'incertitude élevé. Ainsi, l'implantation d'une modalité permettant l'utilisation d'une innovation technologique dans le respect de conditions restreintes pourrait pallier la tension créée inévitablement entre la nécessité d'apprendre davantage sur l'effet sanitaire de ces technologies et le désir de les rendre disponibles en temps opportun [Mohr et Tunis, 2010].

Néanmoins, tout type de technologie peut être évalué dans des conditions de pratique réelles. La Conférence des sous-ministres fédéraux, provinciaux et territoriaux de la Santé propose la mise en place d'*évaluations terrain*³ dans le but de recueillir des données probantes sur des aspects tels que « l'efficacité clinique, la détermination de l'usage adéquat, la détermination de l'impact [sic] de la mise en œuvre de la technologie sur l'institution [sic] ou la région ou des modèles économiques visant la mise en œuvre élargie de la technologie » [Groupe d'étude sur l'évaluation des technologies de santé, 2004].

Cette tendance se confirme également à l'échelle nationale et internationale. Au Canada, notamment en Alberta et en Ontario, aux États-Unis et dans divers pays européens, on constate un intérêt grandissant

3. Le terme *évaluation terrain* est une terminologie canadienne (en anglais *field evaluation*). Ce terme peut amener une certaine confusion avec d'autres formes d'évaluations qui ne sont pas liées à l'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé. Tout au long de ce document, le terme *évaluation terrain* est utilisé en italique lorsque le terme fait référence au concept général rapporté dans la littérature scientifique. Le groupe de travail a, quant à lui, opté pour la dénomination « évaluation terrain avec développement de la preuve » (voir section 3.2.2 Dénomination) afin de préciser la démarche d'évaluation dans des conditions de pratique réelles en lien avec l'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé. Le terme évaluation terrain avec développement de la preuve est donc employé pour faire référence au concept développé par le groupe de travail sur les *évaluations terrain*.

pour ce type d'évaluation, et de nombreuses démarches sont actuellement en train d'être mises en place afin de pallier les incertitudes entourant l'introduction d'une technologie sectorielle innovante [Briggs *et al.*, 2010; Stafinski *et al.*, 2010]. De plus, on note une tendance à concevoir des outils méthodologiques appropriés dans le but de rapprocher innovation, évaluation et incertitudes [Levin *et al.*, 2011; Longworth *et al.*, 2011; Carbonneil *et al.*, 2009].

Au Québec, depuis plusieurs années, des rapports de l'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS) (à laquelle l'Institut national d'excellence en santé et en services sociaux [INESSS] a succédé) ainsi que ceux de nombreuses unités d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (UETMIS) du système québécois préconisent des recherches dans des conditions de pratique réelles et la mise sur pied de registres. De même, dans le cadre des travaux de la Table sectorielle des Réseaux universitaires intégrés de santé (RUIS) en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (ETMIS), les UETMIS ont manifesté un intérêt grandissant pour l'uniformisation et l'élaboration des *évaluations terrain*.

Les particularités de la situation québécoise exigeant la mise en place d'un cadre de référence approprié au contexte, la Table sectorielle des RUIS en ETMIS a constitué un groupe de travail et de réflexion sur les *évaluations terrain* (voir l'annexe A). Cette démarche vise à mettre à profit les différentes expertises québécoises et à créer des conditions pour produire des données scientifiquement valides et socialement légitimes, ce qui permettra aux décideurs d'utiliser davantage et de meilleure façon les résultats des travaux d'évaluation.

1 Processus d'élaboration d'un cadre de référence

Dans un premier temps, la mission du groupe était de réaliser, sur la base d'un travail de recherche, une réflexion sur ce que constitue une *évaluation terrain*, ses objectifs, son utilité et ses limites. La mission du groupe consistait également à étudier les aspects méthodologiques et les processus nécessaires à la mise en place des *évaluations terrain* de qualité aux différents paliers décisionnels. Dans un deuxième temps, le groupe de travail devait déterminer quels éléments permettent d'assurer la transposition des résultats des évaluations favorables dans la pratique courante.

La mise en œuvre d'un cadre de référence servira à :

1. Clarifier la définition de ce que constitue une évaluation terrain ;
2. Aiguiller chercheurs, cliniciens et décideurs dans l'élaboration du protocole de recherche ;
3. Garantir la rigueur méthodologique, la validité, la pertinence, la faisabilité, le contrôle des coûts et la rapidité du processus ;
4. Favoriser la synergie entre les différentes unités d'ETMIS ainsi que la collaboration à l'échelle nationale et internationale ;
5. Optimiser l'utilisation des structures déjà en place sur le terrain.

Le but ultime est de réaliser l'évaluation d'une technologie innovante qui permet de répondre aux incertitudes des décideurs en ayant un degré de confiance raisonnable, dans une marge de temps appropriée et à des coûts raisonnables.

Ces objectifs concordent avec le mandat de la Table sectorielle en ETMIS qui consiste à « développer une vision commune de ce quatrième volet de la mission universitaire qui concerne à la fois des modèles d'évaluation classique et d'*évaluation terrain* » ainsi qu'à « [convenir] des conditions optimales de réalisation de projets liés à la formation en ETMIS et à la recherche et au développement de l'ETMIS » et à favoriser « des liens avec le milieu de la recherche clinique et la recherche universitaire en ETMIS⁴ ».

1.1 Groupe de travail sur les *évaluations terrain*

La mise en place d'un cadre de référence n'est possible que grâce à un effort de collaboration qui regroupe un large éventail d'experts et de parties prenantes.

Comme la Table sectorielle des RUIS en ETMIS l'a établi, le groupe de travail est constitué d'un représentant de chacun des quatre RUIS (l'Université Laval, l'Université de Montréal, l'Université McGill et l'Université de Sherbrooke), de représentants du Fonds de recherche du Québec – Santé (FRQS), d'un représentant du ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS) et des représentants de l'INESSS (qui s'occupent des volets méthodologique et des services sociaux). La Direction générale associée aux relations extérieures, partenariats et réseaux de l'INESSS préside le groupe de travail. L'INESSS fournit les ressources nécessaires au travail de recherche et au soutien (voir l'annexe A).

Le défi du groupe de travail consistait à élaborer des recommandations claires et précises relatives à la conception d'études qui visent à concilier validité, pertinence, faisabilité, contrôle des coûts et rapidité du processus. En explicitant le concept des *évaluations terrain*, ses objectifs et ses limites, le cadre de référence devrait aider les chercheurs à cerner le besoin décisionnel et à définir clairement la ou les questions de recherche, ainsi qu'à trouver un équilibre entre les impératifs décisionnels, la rigueur méthodologique et les aspects sociaux, juridiques et éthiques, dans le but de mieux planifier l'évaluation. Le cadre de référence sur les *évaluations terrain* a été conçu pour les technologies et modes

4. Table sectorielle des RUIS en évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (ETMIS), mandat révisé du 28 novembre 2005.

d'intervention en santé, mais il pourrait aussi servir de base aux services sociaux et à l'évaluation des médicaments.

Au cours des trois rencontres du groupe de travail sur les *évaluations terrain*, les différents intervenants ont noté l'importance de définir le concept d'*évaluation terrain*. Ils ont fait ressortir les risques et les défis que présentent les *évaluations terrain*, en plus de déterminer quelles sont les leçons à en tirer.

Les intervenants sont unanimes quant à l'importance de mettre en place un cadre de référence qui garantit la rigueur méthodologique et l'indépendance scientifique tout en répondant aux exigences décisionnelles.

Sur la base de ces rencontres, il a été convenu d'élaborer un cadre de référence. Le présent document de travail est le fruit de la réflexion des membres du groupe de travail.

Quels sont les enjeux des *évaluations terrain*?

1. Qu'est-ce qu'une *évaluation terrain*?
2. Quels sont les objectifs, l'utilité et les limites d'une *évaluation terrain*?
3. Dans quelles circonstances une *évaluation terrain* est-elle nécessaire?
4. Quels sont les aspects méthodologiques à considérer lors de la mise en place d'une *évaluation terrain*?
5. Quelle est la durée nécessaire à l'élaboration et à la mise en place d'une *évaluation terrain*?
6. Quelles sont les ressources nécessaires à la mise en place d'une *évaluation terrain*?
7. Quels sont les défis afférents à la mise en place d'une *évaluation terrain*?

2 Cadre de référence

2.1 Qu'est-ce qu'une évaluation terrain ?

Le glossaire en évaluation des technologies de la santé (ETS⁵) définit l'ETS comme « une évaluation systématique des propriétés et des effets d'une technologie de la santé, pouvant porter tant sur les effets directs et intentionnels de cette technologie que sur ses conséquences indirectes et non intentionnelles, et ayant pour principal objectif d'éclairer la prise de décision en matière de technologies de la santé ». Les technologies de la santé « comprennent les produits pharmaceutiques, les dispositifs, les interventions et les systèmes organisationnels utilisés dans les soins de santé⁶ ». Au Québec, l'appellation ETS a été modifiée en 2000 à la suite de la création de l'Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (AETMIS), pour explicitement inclure les modes d'intervention et devenir l'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (ETMIS⁷).

Cependant, les résultats des revues systématiques, modèles traditionnels d'évaluation des technologies de la santé, sont souvent difficiles à généraliser, peu transposables au contexte et ne prennent pas en considération les aspects sociétaux et éthiques nécessaires à toute prise de décision [Goeree *et al.*, 2009]. L'évaluation terrain constitue une solution de rechange permettant de diminuer les incertitudes liées aux enjeux décisionnels et par là même, soutenir la prise de décision. L'évaluation terrain s'inscrit alors dans la démarche d'une évaluation des technologies ou des modes d'intervention.

2.1.1 L'évaluation terrain dans la littérature scientifique

Les travaux du groupe de travail se sont appuyés sur une recherche narrative de la littérature internationale repérée dans les bases de données MEDLINE par l'intermédiaire de PubMed et de Google Scholar, à partir des termes : *field evaluation, coverage with evidence development, conditionally funded field evaluation, évaluation terrain, access with evidence development, only in research* et *real world evidence*. Les résultats de la recherche ont été étoffés par une recherche manuelle à partir des références. De même, les sites Web de diverses agences internationales en évaluation des technologies ainsi que la littérature grise ont également été consultés. De plus, des représentants d'agences canadiennes et internationales engagées activement dans les *évaluations terrain* ont été interviewés pour étoffer l'analyse.

Les diverses *évaluations terrain* recensées dans la littérature scientifique révèlent les multiples facettes de ce type d'études. Si les *évaluations terrain* sont le plus souvent mandatées dans le contexte du financement d'une technologie innovante ou d'un mode d'organisation de soins ou services, elles peuvent néanmoins contribuer à l'élaboration d'outils qui favorisent l'implantation d'une technologie novatrice. Pour plus d'information sur les *évaluations terrain* dans le monde, voir l'annexe B qui présente les différents volets de l'évaluation terrain, selon les perspectives canadienne et internationale.

5. Le *Glossaire en ETS* est le résultat d'une étroite collaboration entre International Network of Agencies for Health Technology Assessment (INAHTA), Health Technology Assessment international (HTAi) et d'autres partenaires internationaux dont l'INESSS. Il peut être consulté à : <http://htaglossary.net/>.

6. Définition tirée du Glossaire en ETS. Disponible à : <http://htaglossary.net/tiki-index.php?page=technologie+de+la+sant%C3%A9+%28n.f.%29> (consulté le 22 septembre 2011).

7. Transformation du Conseil d'évaluation des technologies de la santé en Agence d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé. Mémoire au Conseil des ministres de monsieur Jean Rochon, ministre de la Recherche, de la Science et de la Technologie, le 19 avril 2000.

À la lumière du travail de recensement de la littérature scientifique, les conclusions suivantes ont permis d'orienter la réflexion du groupe de travail :

- D'une manière générale, les évaluations contribuent fondamentalement à réduire l'incertitude vis-à-vis de l'innocuité et de l'efficacité clinique, de la qualité, des coûts et des répercussions économiques et organisationnelles d'une technologie de la santé.
- L'objectif décisionnel rapporté dans la littérature n'est clair et explicite que dans le contexte d'*évaluations terrain* liées au financement d'une prestation de soins.
- L'*évaluation terrain* permet de mettre en place et de définir des conditions nécessaires à une utilisation appropriée et efficace d'une technologie novatrice et de perfectionner une expertise de référence, ce qui n'aurait été possible advenant une diffusion non maîtrisée.
- L'*évaluation terrain* est une occasion de favoriser le travail en synergie grâce à la collaboration entre chercheurs, cliniciens et gestionnaires.
- L'*évaluation terrain* nécessite un appui inconditionnel de la part des décideurs tout en veillant à conserver une indépendance scientifique dans son élaboration et sa mise en œuvre.

2.1.2 L'évaluation terrain au Québec

Au Québec, l'appellation « *évaluation terrain* » a été utilisée dans le cadre de diverses études qui ont trait à différents volets. L'évaluation se fait à l'échelle provinciale et hospitalière, dans le cadre des activités de l'INESSS et de celles des UETMIS.

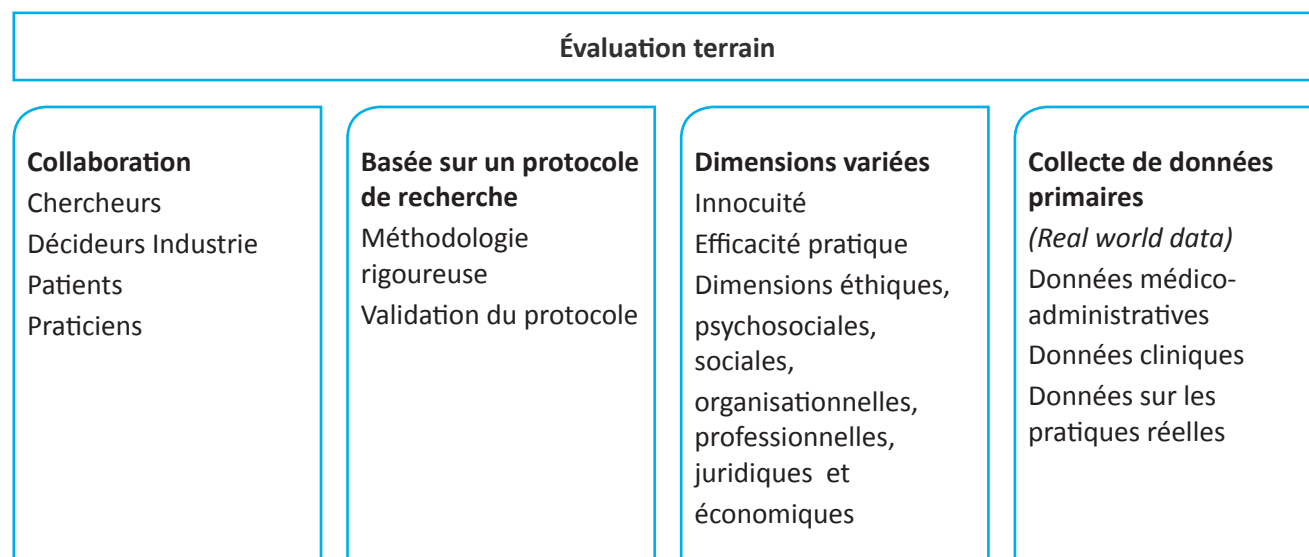
Lors de la première rencontre du 7 avril 2011, le groupe de travail s'intéressant aux *évaluations terrain* a discuté de trois exemples récents, dont deux en lien avec une technologie et un, en lien avec un mode d'organisation. Ces expériences constituent un modeste échantillon de l'expérience des UETMIS. Pour plus d'information, voir l'annexe C.

2.2 L'évaluation terrain avec développement de la preuve

2.2.1 Définition et cadre conceptuel

Le groupe de travail a défini l'*évaluation terrain* comme une démarche qui a pour objectif de diminuer les incertitudes décisionnelles qui persistent après une démarche d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, et ce, au moyen d'une mobilisation des connaissances et d'une collecte de données primaires et probantes dans des conditions de pratique réelles. La figure 1 montre le processus d'*évaluation terrain* tel que le groupe de travail le définit, les acteurs concernés, les dimensions d'évaluation, la production d'un protocole de recherche rigoureux et les sources de données nécessaires à sa réalisation.

Figure 1. Les composantes d’une évaluation terrain telle que le groupe de travail la définit



Pour les membres du groupe de travail, l’objectif principal d’une *évaluation terrain* est de répondre aux besoins des décideurs (politiques, administratifs, fournisseurs de soins ou autres) et non simplement de générer des connaissances. Les données probantes produites à la suite d’une *évaluation terrain* peuvent être employées par les décideurs politiques, les organismes de santé publique et les gestionnaires d’organisations en santé et en services sociaux pour appuyer une politique de financement ou de couverture ou même élaborer des recommandations de pratique clinique. De plus, ces nouvelles données probantes fournissent des réponses aux besoins de cliniciens et de patients, puisqu’elles guident les décisions cliniques et favorisent la mise en œuvre et l’utilisation efficace d’une technologie ou d’un mode d’intervention novateur.

Le tableau 1 permet de distinguer les différents types d’évaluation pouvant être confondues, notamment l’évaluation des technologies et des modes d’intervention, l’évaluation de programme, l’*évaluation terrain* telle que le groupe de travail la définit⁸ et la recherche évaluative.

8. Le groupe de travail a opté pour la dénomination « évaluation terrain avec développement de la preuve » (voir section 3.2.2 Dénomination).

Tableau 1. Points communs et différences entre la recherche évaluative, l'évaluation de programme, l'évaluation des technologies et des modes d'intervention et l'évaluation terrain avec développement de la preuve

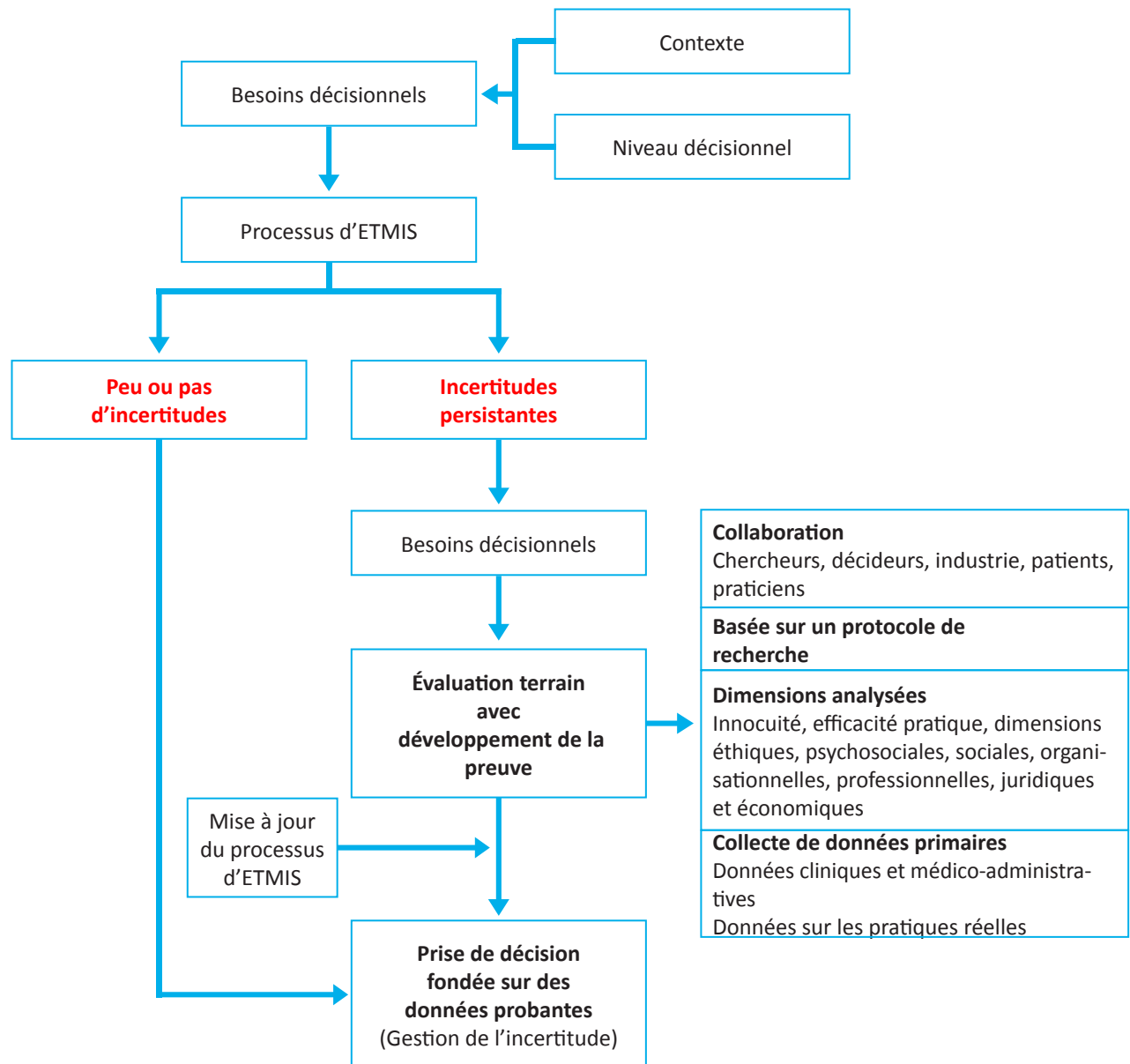
Caractéristiques méthodologiques	Recherche évaluative	Évaluation de programme	Évaluation des technologies et des modes d'intervention (ETMI)	Évaluation terrain avec développement de la preuve
Objectif principal	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Accroître l'ensemble des connaissances scientifiques 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Soutenir la prise de décision ▪ Fournir une rétroaction concrète, permettre de formuler un jugement 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Soutenir la prise de décision ▪ Préciser les incertitudes liées aux enjeux décisionnels 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Soutenir la prise de décision ▪ Diminuer les incertitudes liées aux enjeux décisionnels
Domaines d'application	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Examen aussi large que possible ▪ Application des résultats aussi large que possible 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Examen nécessaire et aussi large que possible ▪ Application limitée des résultats qui sont concentrés sur le programme ou une composante du programme 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Examen nécessaire et aussi large que possible ▪ Application limitée des résultats qui particuliers à la technologie ou au mode d'intervention dans le contexte 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Examen sur les incertitudes constatées par une évaluation des technologies et des modes d'intervention
Échéancier décisionnel	<ul style="list-style-type: none"> ▪ À moyen ou à long terme 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Variable (suivant la durée du suivi) 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ À court terme 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ En temps opportun
Sources de données	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Revue de la littérature et collecte de données primaires ▪ Consultations facultatives des parties prenantes 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Revue de la littérature et collecte de données primaires, notamment sur le terrain ▪ Consultations des parties prenantes concernées par le programme 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Revue systématique de la littérature scientifique ▪ Consultations larges des parties prenantes ▪ Collecte de données primaires uniquement dans le but de mettre en contexte les résultats de la revue systématique 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Revue systématique de la littérature dans le but de mettre à jour les résultats de l'ETMI ▪ Collecte de données primaires, notamment sur le terrain ▪ Consultations des parties prenantes
Méthodologie	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Le choix du cadre de recherche et des méthodes de collecte de données provient de modèles théoriques 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Le choix du cadre de l'évaluation et des méthodes de collecte de données s'arrime à la réalité du terrain et au besoin décisionnel 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Le choix du cadre de l'évaluation dépend du besoin décisionnel et de l'état actuel des connaissances 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Le choix du cadre de l'évaluation provient des résultats de l'ETMI. ▪ Le choix des méthodes de collecte de données provient du terrain et de la théorie
Généralisation	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Effort pour formuler une loi générale dans un milieu contrôlé 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Effort pour comprendre ce qui se produit dans un programme particulier 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Effort pour comprendre ce qui pourrait se produire dans un contexte particulier 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Effort pour comprendre ce qui se produit dans un contexte particulier

Références : UETMISSS, 2011; Brousselle et al., 2009; Ridde et Dagenais, 2009; Busse et al., 2002; Mercier et Perreault, 2001.

L'évaluation terrain telle que le groupe de travail la définit vient compléter la synthèse des connaissances effectuée dans le contexte d'une évaluation des technologies ou des modes d'intervention, palliant ainsi les problèmes d'incertitude entourant cette dernière ainsi que les problèmes de validité externe associés aux études cliniques randomisées. L'évaluation terrain s'inscrit alors dans le cadre d'un processus de recherche translationnelle associant l'innovation technologique au stade de la recherche fondamentale à l'application clinique. La figure 2 présente le cadre conceptuel de la démarche d'évaluation des technologies et des modes d'intervention menant aux évaluations terrain avec développement de la preuve⁹.

En conséquence, les évaluations terrain se doivent d'être conçues pour fournir des preuves suffisantes aux décideurs et aux cliniciens par rapport à une technologie ou à un mode d'intervention, sans pour autant limiter l'accès aux soins appropriés aux patients consentants et informés.

Figure 2. Cadre conceptuel de l'évaluation terrain avec développement de la preuve



9. Le groupe de travail a opté pour la dénomination « évaluation terrain avec développement de la preuve » pour exprimer la démarche qui a pour objectif de diminuer les incertitudes décisionnelles qui persistent après une démarche d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, et ce, au moyen d'une mobilisation des connaissances et d'une collecte de données primaires et probantes dans des conditions de pratique réelles (voir section 3.2.2 Dénomination).

2.2.2 Dénomination

« *Évaluation terrain* », « évaluation sur le terrain », « évaluation de terrain » sont des calques de l'expression anglaise *field evaluation*. Ces appellations semblent prêter à confusion. En effet, « *évaluation terrain* » semble faire référence à toute collecte de données primaires. Or, il est important de noter que l'*évaluation terrain*, telle que le groupe de travail la définit, nécessite un lien avec un objectif décisionnel associé à une évaluation des technologies et des modes d'intervention, de manière que toute collecte de données sur le terrain n'est pas nécessairement synonyme d'*évaluation terrain* (figure 2). À titre d'exemple en Ontario, l'appellation *conditionally funded field evaluation* exprime le lien entre le processus d'évaluation et la décision de l'introduction provisoire d'une technologie dans le système de santé, conditionnelle au développement de la preuve.

Également, le glossaire en ETS définit « l'évaluation sur le terrain¹⁰ », traduction du terme anglais *field evaluation* comme une « étude conçue expressément pour recueillir des données originales sur une technologie prometteuse afin de vérifier son efficacité pratique lorsqu'on ne dispose pas de données probantes suffisantes pour prendre une décision éclairée ». Or, la définition du groupe de travail fait référence à des incertitudes décisionnelles, ce qui inclut l'efficacité pratique, mais ne s'y limite pas. De même, le lien chronologique avec une évaluation des technologies et des modes d'intervention, tel qu'il est explicité par la figure 2, n'est pas clairement établi.

De ce fait, le groupe de travail sur les *évaluations terrain* a opté pour la dénomination « évaluation terrain avec développement de la preuve ». Cette proposition a l'avantage de préciser la dénomination courante et elle a du sens en traduction : *field evaluation with evidence development*. De plus, elle rejoint le concept « d'inscription avec développement de la preuve » décrit dans le rapport du groupe de travail sur le processus d'évaluation des médicaments anticancéreux [MSSS, 2011].

Orientation 1 – Définition

Le groupe de travail définit l'évaluation terrain avec développement de la preuve comme une démarche qui a pour objectif de diminuer les incertitudes décisionnelles qui persistent après un processus d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, et ce, au moyen d'une mobilisation des connaissances et d'une collecte de données primaires et probantes dans des conditions de pratique réelles.

10. Définition tirée du *Glossaire en ETS*. Disponible à : <http://htaglossary.net/tiki-index.php?page=%C3%A9valuation%20sur%20le%20terrain%20%28n.f.%29> (consulté le 22 septembre 2011).

3 Vers un cadre de référence au Québec

Les rencontres du groupe de travail, de concert avec la revue de la littérature sur les *évaluations terrain*, ont permis de déterminer les différents éléments du cadre de référence pour l'évaluation terrain avec développement de la preuve.

3.1 Objectifs et enjeux d'une évaluation terrain avec développement de la preuve

L'évaluation terrain avec développement de la preuve contribue à réduire l'incertitude relative à l'innocuité, à l'efficacité pratique et aux répercussions économiques et organisationnelles, éthiques, juridiques, professionnelles, psychosociales et sociales d'une technologie de la santé ou d'un mode d'intervention. Elle permet également de définir les conditions et les stratégies d'implantation afin d'optimiser la diffusion d'une technologie novatrice pour un milieu donné.

Les membres du groupe de travail s'accordent sur le fait que l'évaluation terrain avec développement de la preuve est susceptible de faciliter l'accès à des technologies novatrices prometteuses et qu'elle encourage l'innovation tout en assurant une utilisation efficace et optimale des ressources.

L'évaluation terrain avec développement de la preuve doit être perçue comme un facilitateur de l'introduction de technologies innovantes. Elle ne doit être vue ni comme un frein ni comme un facteur qui crée une double norme quant aux nouvelles technologies et aux plus « anciennes » qui n'ont jamais été évaluées, ni comme un outil servant à financer une nouvelle technologie par le moyen de la recherche.

Une évaluation terrain avec développement de la preuve peut faire suite à une décision de couverture provisoire dans le contexte d'une technologie innovante prometteuse avec peu ou insuffisance de données probantes. Elle peut également servir à répertorier et à évaluer les pratiques courantes dans le système de santé, de manière générale, ou dans les établissements de santé, d'une manière plus concrète. L'utilité d'une évaluation terrain avec développement de la preuve est détaillée dans l'encadré ci-dessous.

Utilité d'une évaluation terrain avec développement de la preuve

- Permettre une couverture provisoire sous certaines conditions, le cas échéant
- Enrichir les données probantes préalables sur l'efficacité, la sécurité ainsi que sur les dimensions éthiques, psychosociales, sociales, organisationnelles, professionnelles et économiques
- Vérifier l'efficacité pratique
- Informer sur les pratiques courantes dans les établissements du réseau ou à l'échelle du système de santé
- Définir les conditions et stratégies d'implantation
- Orienter l'implantation
- Faire le suivi des coûts

3.2 Valeur ajoutée de l'évaluation terrain avec développement de la preuve

La mise en place d'une évaluation terrain avec développement de la preuve présente un défi majeur, principalement compte tenu du fait que les intérêts des parties prenantes divergent foncièrement. Le tableau 2 montre les avantages et les inconvénients inhérents à l'utilisation des évaluations terrain pour

gérer l'introduction de l'innovation dans le système de santé et des services sociaux. D'une part, les décideurs sont responsables de veiller à l'utilisation optimale et judicieuse des technologies dans un contexte où les ressources se font rares et la demande de soins grandissante, tout en garantissant un accès universel à l'offre de services. D'autre part, les fournisseurs de soins et les patients souhaitent, en toute légitimité, un accès direct et rapide aux technologies dont ils pourraient bénéficier. L'industrie des technologies médicales semble percevoir, quant à elle, l'évaluation terrain comme un couteau à double tranchant. D'un côté, elle la voit comme un moyen d'accéder plus rapidement au marché, et de l'autre comme une entrave à l'innovation [Briggs et al., 2010; Mohr et Tunis, 2010; Stafinski et al., 2010; Trueman et al., 2010; Reed et al., 2008]. Ces avantages et ces inconvénients semblent être transposables à l'évaluation terrain avec développement de la preuve.

Tableau 2. Avantages et inconvénients des *évaluations terrain* pour la diffusion des innovations technologiques selon diverses parties prenantes

Parties prenantes	Avantages	Inconvénients
Décideurs politiques	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Rationalisation des fonds publics et justification du financement des prestations ▪ Possibilité d'accès à une technologie novatrice ▪ Possibilité de prédire les répercussions économiques globales de l'introduction d'une technologie ▪ Réduction de l'incertitude et production de données probantes ▪ Contribution, dans un contexte d'incertitude, à l'amélioration de la santé de la population ▪ Occasion de participer activement à l'élaboration d'un protocole de recherche et, par conséquent, d'établir un lien entre la recherche clinique et les enjeux décisionnels 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Coûts supplémentaires relatifs à une technologie qui risque d'être inutile, voire néfaste, et qui n'est pas nécessairement avantageuse sur le plan coût-efficacité ▪ Difficulté de retirer une technologie une fois qu'elle a été introduite sur le marché ▪ Besoin de trouver les fonds nécessaires pour financer l'évaluation ▪ Aspects légaux à gérer ▪ Délai supplémentaire avant la prise de décision
Professionnels soignants	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Possibilité de participer activement à l'évaluation d'une technologie et à la collecte de données ▪ Possibilité d'offrir aux patients plus de choix de traitements (technologie à laquelle ils n'auraient probablement pas eu accès autrement) ▪ Possibilité d'associer la recherche fondamentale et la pratique clinique ▪ Amélioration de la qualité des soins, pratique basée sur des données probantes 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Inconvénients de participer à une étude (certaines restrictions dans l'utilisation de la technologie chronophage, par exemple) ▪ Risque d'exposer le patient à une technologie qui peut être néfaste, de créer de faux espoirs, etc. ▪ Dilemme éthique
Industrie/producteurs	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Incitation à innover ▪ Rendement du capital investi propre à une technologie qui aurait pu être rejetée ▪ Accès au marché ▪ Occasion de créer des partenariats avec les décideurs et les professionnels ▪ Fardeau de la preuve transféré en tout ou en partie aux décideurs 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Frein à l'innovation ▪ Accès direct au marché retardé ▪ Répercussions sur le système de tarification

Parties prenantes	Avantages	Inconvénients
Patients	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Accès rapide à une technologie innovante qui peut être bénéfique ▪ Accès à une technologie à laquelle les patients n'auraient probablement pas eu accès ▪ Plus grand choix de traitements 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Accès limité en cas de critères restrictifs ▪ Accès à une technologie innovante conditionnel à la participation à l'étude ▪ Accès à une technologie pouvant être néfaste ▪ Risque de perdre l'accès à une technologie déjà utilisée
Synthèse globale (partagée entre les parties prenantes)	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Réduction de l'incertitude et production de données probantes ▪ Contribution à l'introduction contrôlée d'une innovation 	<ul style="list-style-type: none"> ▪ Création d'attentes (chez les producteurs, la population générale, les patients, les politiciens et les décideurs) qui ne peuvent être satisfaites ▪ Création de délais et de coûts supplémentaires

Adapté de Briggs *et al.*, 2010; Mohr et Tunis, 2010; Stafinski *et al.*, 2010; Trueman *et al.*, 2010; Reed *et al.*, 2008.

3.3 Modalités de l'évaluation terrain avec développement de la preuve

- *Y a-t-il un besoin de faire une évaluation terrain avec développement de la preuve?*

Dans un souci d'optimisation des processus, le groupe de travail a précisé les critères sur la base desquels une évaluation terrain avec développement de la preuve s'avérera nécessaire. Trueman et ses collaborateurs [2010], Goeree et Levin [2006], les Centers for Medicare and Medicaid Services [CMS, 2006] et le Citizens Council du National Institute for Health and Clinical Excellence (NICE) [NICE Citizens Council, 2007] ont élaboré des cadres de référence pour les *évaluations terrain*, dont l'annexe D fait état.

Orientation 2 – Critères pour la mise en place d'une évaluation terrain avec développement de la preuve

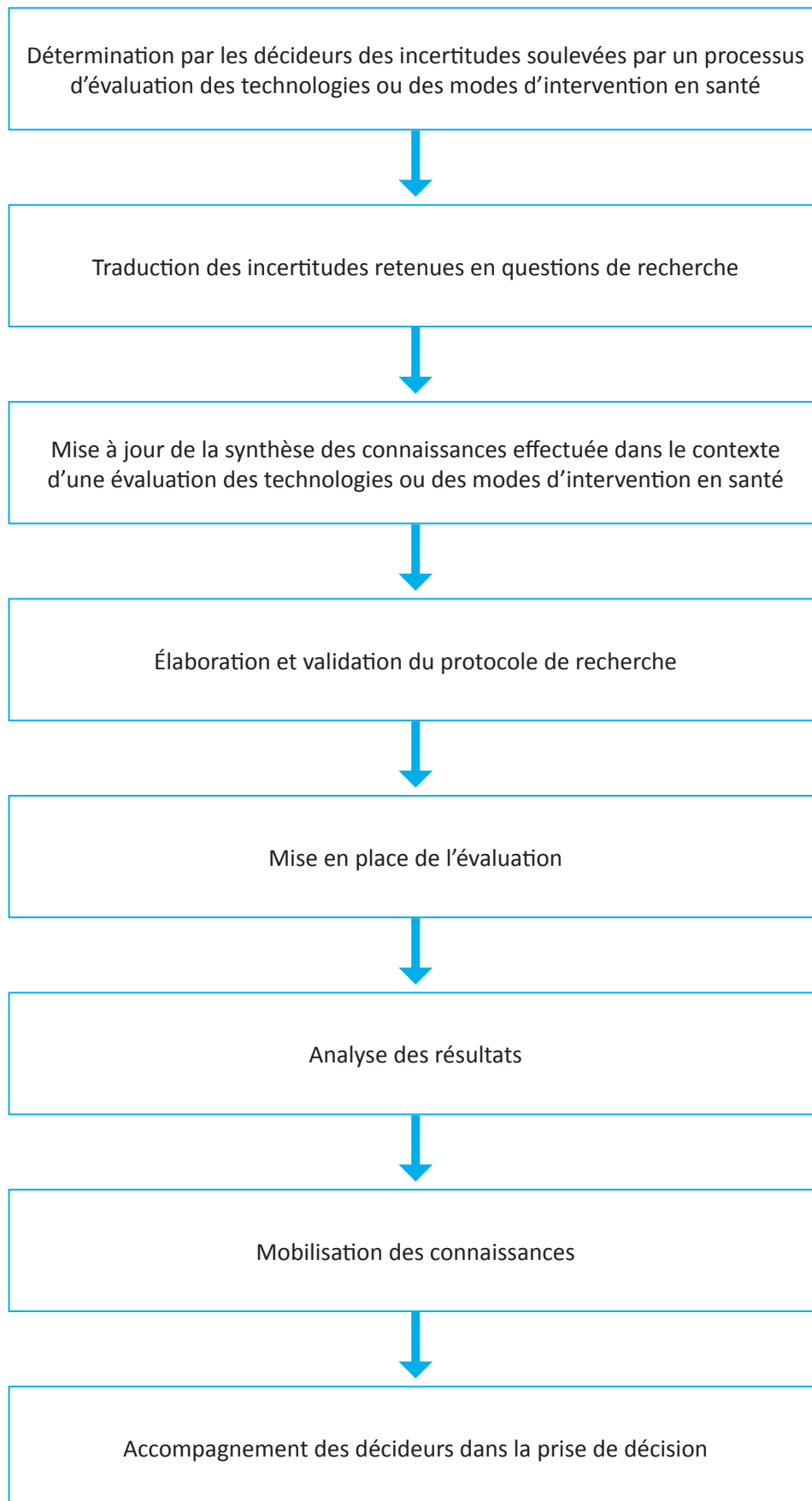
Le groupe de travail propose les critères suivants pour évaluer la nécessité d'entreprendre une évaluation terrain avec développement de la preuve :

1. Besoin décisionnel important
2. Technologie ou mode d'intervention susceptible d'avoir des répercussions importantes sur le système de santé québécois ou l'établissement de santé ou de services sociaux
3. Problème d'incertitude important quant à l'innocuité, à l'efficacité pratique, aux dimensions éthiques, psychosociales, sociales, organisationnelles, professionnelles et économiques d'une technologie ou d'un mode d'intervention, auquel un processus d'ETMI n'a pas apporté de réponses complètes
4. Collecte de données primaires constituant la solution la plus appropriée pour pallier l'incertitude
5. Collecte de données probantes réalisable dans un laps de temps déterminé

3.4 Étapes clés de l'évaluation terrain avec développement de la preuve

L'évaluation terrain avec développement de la preuve comprend plusieurs étapes clés (voir figure 3). La première consiste en l'appréciation par les décideurs des incertitudes soulevées à l'aide d'un processus d'évaluation. La deuxième comporte la traduction des incertitudes retenues en questions de recherche. Cette étape est essentielle à l'élaboration du protocole de recherche ainsi qu'à la mise en place de l'étude. L'objectif étant principalement décisionnel, il est important que la dernière étape soit l'accompagnement des décideurs dans la compréhension et l'implantation des résultats.

Figure 3. Étapes clés de l'évaluation terrain avec développement de la preuve



Orientation 3 – Étapes clés de l'évaluation terrain avec développement de la preuve

Le groupe de travail propose que toute évaluation terrain avec développement de la preuve suive les étapes ci-dessous :

1. Détermination par les décideurs des incertitudes soulevées par un processus d'ETMI
2. Traduction des incertitudes retenues en questions de recherche
3. Mise à jour de la synthèse des connaissances effectuée dans le contexte d'une évaluation des technologies ou des modes d'intervention en santé
4. Élaboration et validation du protocole de recherche
5. Mise en place de l'évaluation
6. Analyse des résultats
7. Mobilisation des connaissances
8. Accompagnement des décideurs dans la prise de décision

3.5 Éléments à considérer lors de la mise en place d'une évaluation terrain avec développement de la preuve

À la suite de la définition du concept des évaluations terrain avec développement de la preuve, le groupe de travail s'est penché sur les éléments à considérer afin de mener à bien tout projet d'évaluation et de répondre aux impératifs décisionnels en temps opportun.

McCabe et ses collaborateurs [2010] proposent un cadre de référence pour évaluer les mécanismes mis en place au cours de l'évaluation *access with evidence development* (accès conditionnel à la collecte de données). Ce cadre est issu des travaux et de la réflexion qui tenus au sommet de Banff, les 22 et 23 février 2009, sommet qui regroupait des experts aux fins de discussion sur les mécanismes de remboursement.

McCabe et ses collaborateurs [2010] proposent d'analyser la situation selon trois catégories de caractéristiques : 1) les caractéristiques à l'échelle du système de santé; 2) les caractéristiques organisationnelles de la recherche (gouvernance, financement, communication des résultats et transfert de connaissances, évaluation de l'évaluation); 3) les caractéristiques liées à l'élaboration et la mise en place du protocole (cadre, soins individuels pour les patients/clients par opposition aux soins populationnels, méthodologie, critères d'évaluation, coûts, durée de l'évaluation et résultats). Ce cadre, qui se rapproche des suggestions des membres du groupe de travail, nous proposons de l'utiliser comme base à la réflexion, tout en l'adaptant au contexte québécois.

3.5.1 Caractéristiques à l'échelle du système de santé ou de l'établissement de santé ou de services sociaux

3.5.1.1 Détermination du problème d'incertitude et élaboration des questions de recherche

- *Quelles sont les incertitudes qui posent problème pour les décideurs?*
- *Quelles sont les incertitudes auxquelles l'évaluation peut répondre?*
- *Quelles sont les questions de recherche?*

Un problème d'incertitude est sous-jacent à toute évaluation terrain avec développement de la preuve. Les décideurs à l'échelle locale, régionale (agences) et provinciale doivent se prononcer sur une technologie. Or, comme il en a été fait mention précédemment, l'incertitude qui entoure la technologie rend la prise de décision difficile. C'est pourquoi la détermination du problème constitue la base

nécessaire à l'amorce d'une évaluation terrain avec développement de la preuve. Il est essentiel, pour répondre à l'objectif 3.5.1.1., d'entreprendre au préalable une synthèse des connaissances qui sera effectuée par un processus d'évaluation des technologies ou des modes d'intervention.

De même, au vu de la multitude des technologies mises sur le marché, il est fondamental de définir au préalable les besoins prioritaires en évaluation, en fonction de l'épidémiologie, de l'urgence, des répercussions sur le système de santé, etc.

L'étape suivante consiste à convertir les demandes des décideurs en questions de recherche.

3.5.1.2 Objectifs et enjeux

- *Quelles sont les finalités de l'évaluation, ses enjeux et son utilisation, en fonction des principaux acteurs?*
 - *Besoin de données probantes par rapport à l'efficacité, à l'innocuité, aux coûts, etc.?*
 - *Conséquences organisationnelles?*
 - *Répercussions budgétaires/économiques?*
 - *Introduction d'une technologie innovante?*

L'objectif principal de toute évaluation terrain avec développement de la preuve est de répondre de façon satisfaisante à l'incertitude reliée à l'innocuité, à l'efficacité pratique ou aux coûts rattachés à une technologie ou à un mode d'intervention ainsi qu'aux dimensions organisationnelles, éthiques, juridiques, professionnelles, psychosociales et sociales. Une évaluation terrain avec développement de la preuve permet également d'observer la réalité sur le terrain, de déterminer la population cible ou même de réorganiser les processus afin d'optimiser la diffusion d'une technologie. À l'échelle d'une organisation de santé et de services sociaux, une évaluation terrain avec développement de la preuve peut orienter les décisions en matière d'allocation de ressources.

Une fois le problème décisionnel posé, la définition claire des objectifs et des enjeux de l'évaluation terrain avec développement de la preuve – ou en d'autres termes, le contexte de l'évaluation – déterminera le choix de l'approche et les questions qui seront posées.

Il est important de souligner que les enjeux étant différents de ceux d'une étude randomisée contrôlée, le questionnement est tout autre. Par exemple, la question n'est plus de se demander si cette technologie est efficace, mais de savoir si elle est efficace dans des conditions de pratique réelles, ou même de savoir quel type de patients bénéficierait le plus de son adoption ou de sa mise en place. En fait, que faut-il faire pour optimiser l'adoption et l'utilisation de la technologie dans des conditions de pratique réelles?

3.5.1.3 Cadrage

- *Qui bénéficiera de l'introduction de cette innovation? La population en général ou certains patients?*
- *À quel palier se fera l'évaluation (province, hôpital, centre de santé et de services sociaux [CSSS], etc.)?*
- *Quelles sont les perspectives à adopter?*
- *Quelles sont les dimensions importantes à considérer dans cette évaluation?*
- *Quel est l'échéancier décisionnel de cette évaluation?*

Comme pour tout protocole de recherche, il est important de clairement établir la population cible et la ou les perspectives qui seront adoptées.

3.5.1.4 Engagement/participation de toutes les parties prenantes

- Déterminer qui sont les parties prenantes (payeurs, utilisateurs, patients, etc.)
- Vérifier leur engagement

Les différentes expériences relatées dans la littérature scientifique soulignent l'intérêt de l'engagement des diverses parties prenantes. Une évaluation terrain avec développement de la preuve qui ne bénéficie pas de l'appui des décideurs, des professionnels de la santé, des chercheurs et des patients risque d'être vouée à l'échec. Dans cette perspective, il est fondamental de déterminer qui sont les parties prenantes ainsi que les moments clés au cours desquels leur contribution sera nécessaire. De plus, il est important de solliciter un engagement de leur part tout au long du processus.

Ces parties prenantes ayant pour la plupart des intérêts divergents (voir le tableau 2), il est crucial de renforcer leur engagement grâce à leur participation à un comité de pilotage dans lequel l'opinion et les intérêts des patients-utilisateurs et des citoyens sont représentés. Pour ce faire, les parties prenantes sont aussi tenues de comprendre leur rôle respectif dans l'élaboration et la mise en place de l'évaluation.

Afin de favoriser la communication entre les diverses parties prenantes, il est possible de mettre en place une structure dans laquelle elles peuvent exprimer leur opinion librement. Il se pourrait que la présence d'un modérateur facilite les entretiens.

Orientation 4 – Précision des questions de recherche et engagement des parties prenantes

Le groupe de travail propose aux mandataires et aux prestataires de toute évaluation terrain avec développement de la preuve de préciser la question ou les questions décisionnelles et les objectifs du travail de recherche.

Le cadrage du travail d'évaluation nécessite une étroite collaboration entre toutes les parties prenantes.

3.5.2 Caractéristiques organisationnelles de la recherche

3.5.2.1 Gouvernance et éthique

- *Logistique organisationnelle/transparence du processus/responsabilités :*
 - *Propriété intellectuelle*
 - *Délimitation des mandats des différentes parties prenantes*
- *Facteurs éthiques*

Afin de garantir le bon fonctionnement du processus, il est important de délimiter les rôles des différentes parties prenantes très tôt dans l'élaboration du protocole.

Dans l'éventualité où une évaluation terrain avec développement de la preuve serait mise en place en s'appuyant sur différents partenaires du réseau et dans différents centres, les questions relatives aux droits de propriété intellectuelle devraient être clarifiées.

Comme les évaluations terrain avec développement de la preuve se déroulent dans des conditions de pratique réelles, elles provoquent de nombreux questionnements éthiques, notamment en ce qui touche l'accessibilité aux soins. Les membres du groupe de travail ont insisté sur l'importance de l'engagement des comités d'éthique et de recherche très tôt dans le processus afin de bien clarifier les enjeux de l'évaluation et de mener à bien la mise en œuvre de l'évaluation. Ces considérations éthiques doivent aussi répondre à la Loi sur les services de santé et les services sociaux (LSSS) et aux directives du ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS)¹¹.

11. Pour plus d'information sur l'éthique en recherche au Québec, voir Ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS), Recueil de textes normatifs [site Web], disponible à : http://ethique.msss.gouv.qc.ca/site/fr_recueil.phtml.

3.5.2.2 Financement et coûts de l'évaluation

- Détermination des coûts inhérents à la mise en place de l'évaluation
- Détermination des sources de financement
- Détermination des ressources disponibles

L'implantation d'une *évaluation terrain* rigoureuse repose sur des ressources multiples et multidisciplinaires et elle engage des coûts importants. À titre d'exemple, en Ontario, une *évaluation terrain* coûte en moyenne 500 000 \$ CA, dont 250 000 \$ sont affectés au soutien technique [Goeree *et al.*, 2010]. Notons aussi que le maintien des registres relatifs à l'évaluation de la tomographie par émission de positons (TEP) en Ontario nécessite des fonds de 5 M\$ par an [Whicher *et al.*, 2009]. Aux États-Unis, l'étude National Emphysema Treatment Trial (NETT) a coûté à elle seule 135 M\$ US [Tunis et Pearson, 2006].

Afin de mener à bien le projet d'*évaluation terrain*, il est alors fondamental de déterminer quelles sont les ressources humaines, financières et d'infrastructure associées à l'évaluation [Goeree *et al.*, 2010; Carbonneil *et al.*, 2009]. Dans le modèle ontarien, ce sont les fonds publics qui financent l'évaluation en totalité, et ce, dans le but de garantir le lien entre la recherche et l'objectif décisionnel [Whicher *et al.*, 2009]. Par contre, aux États-Unis et en Grande-Bretagne, dans les modèles de *coverage for evidence development*, il n'est pas rare d'engager un financement conjoint entre le secteur public et le secteur privé [Chalkidou *et al.*, 2008]. Selon certains auteurs, ce recours à des sources de financement à intérêts divergents constitue un risque majeur de biais du protocole et a souvent influé sur la mise en place de l'évaluation [Mohr *et al.*, 2010].

En outre, un financement par les fonds publics pourrait inciter les producteurs de technologies à fournir des dossiers d'homologation incomplets, à effectuer des évaluations peu poussées de leur produit et à n'approfondir que superficiellement la recherche avant la mise en marché [Trueman *et al.*, 2010]. Carbonneil et ses collaborateurs [2009] préconisent la mise en place de sources de financement réservées, facteur selon eux décisif dans le succès d'une *évaluation terrain*.

Dans un objectif d'optimisation de l'utilisation des ressources, il serait plus efficient de bâtir un protocole de recherche en exploitant les ressources disponibles sur le terrain (p. ex. : système d'information d'un centre de soins, dossier médical informatisé) ainsi que les différentes expertises au Québec (p. ex. : universités, centres de recherche).

Les participants à la Table sectorielle en ETMIS ainsi que les membres du groupe de travail ont noté l'importance de discuter de la façon dont une évaluation terrain avec développement de la preuve pourrait être financée et de la manière de garantir un engagement à plus ou moins long terme de la part des bailleurs de fonds. Par exemple, le FRQS a déjà fait appel à des partenariats avec l'industrie. La mise en commun des ressources d'un même RUIS – comme le RUIS de l'Université Laval où le Centre hospitalier universitaire de Québec (CHUQ) collabore avec les différents centres de santé et de services sociaux (CSSS) sur des dossiers d'évaluation – constitue une autre possibilité de financement.

3.5.2.3 Dimensions et répercussions des résultats, transposition dans la pratique courante

- Changement organisationnel ou budgétaire?
- Communication des résultats et transfert des connaissances

L'évaluation terrain avec développement de la preuve s'inscrit dans le processus de la recherche translationnelle. Toute évaluation se doit d'informer, voire de modifier les pratiques et les modes d'organisation en cours. Il est alors capital d'établir un lien entre les résultats de l'évaluation et les stratégies organisationnelles.

McCabe, Menon et Stafinski [McCabe *et al.*, 2010; Menon *et al.*, 2010; Stafinski *et al.*, 2010] relatent le fait que le lien entre l'*évaluation terrain* et l'implantation d'une politique de santé n'est pas toujours

établi. À titre d'exemple, la décision de Medicare relative à la couverture de la chirurgie de réduction de volume pulmonaire chez les patients souffrant d'emphysème a été vivement contestée sous prétexte que l'évaluation terrain n'a pas suffisamment démontré son efficacité et son innocuité [Stafinski *et al.*, 2010; Ramsey et Sullivan, 2005; Gillick, 2004]. Par ailleurs, en Ontario, la décision quant à la couverture de l'utilisation de la tomographie par émission de positons aux fins du diagnostic de pathologies cancéreuses et cardiaques par la mise en place d'évaluations terrain a suscité de nombreuses réactions « en raison de la lenteur considérable de l'évaluation et des essais cliniques » et du « retard sur les autres provinces quant à l'utilisation de cette technologie » [Ombudsman Ontario, 2010].

De plus, les expériences internationales ont prouvé qu'il est difficile de limiter l'accès à une technologie innovante à la suite d'une évaluation, surtout si la technologie est largement diffusée dans le système de santé [Trueman *et al.*, 2010; CMS, 2006]. De même, le retrait d'une décision de couverture, même si celle-ci est conditionnelle, est difficile à mettre en place sur les plans logistique et politique, même si la technologie ne correspond pas aux critères prédéterminés d'évaluation en matière d'innocuité, d'efficacité ou de coût-efficacité [Chalkidou *et al.*, 2008]. Cela a notamment été le cas aux États-Unis, en 2007, lorsqu'un intense lobbying a contré la décision des Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS) de ne pas assurer le financement de l'angiographie par tomographie. Ainsi, à défaut de pouvoir prendre une décision à l'échelle nationale, il a été jugé préférable de laisser la décision au fournisseur de soins local (*local provider*) [Seidenfeld et Aubry, 2010; Redberg et Walsh, 2008].

De tels exemples constituent des preuves qu'en présence de fortes pressions politiques et sociales, la transposition des données probantes dans la pratique courante n'est pas sans embûches. Ces exemples témoignent aussi de la nécessité de bien penser les répercussions organisationnelles et les changements budgétaires qu'occasionneraient les résultats de l'évaluation, avant même la mise en place de toute évaluation. Cette réflexion contribuera également à orienter les décideurs qui sauront si l'implantation d'une évaluation terrain avec développement de la preuve induira un changement des pratiques courantes.

La mise en œuvre d'une veille technologique pourrait permettre d'amorcer une *évaluation terrain* très tôt dans le cycle de vie d'une technologie [Mclsaac *et al.*, 2007; CMS, 2006].

3.5.2.4 Évaluation de l'évaluation

- *L'évaluation a-t-elle répondu au problème décisionnel?*
- *La décision a-t-elle été intégrée?*
- *La technologie est-elle devenue obsolète?*

Une évaluation terrain avec développement de la preuve peut entraîner des coûts importants. Il est donc primordial qu'elle réponde au problème décisionnel. L'évaluation terrain propre à la technologie du défibrillateur automatique, implantable aux États-Unis, en constitue un exemple. En effet, la technologie continue d'être financée par l'intermédiaire d'un registre, malgré le fait que ce dernier ne collecte pas les données associées à l'objectif de recherche [Stafinski *et al.*, 2010].

Il est suggéré de revoir les résultats de l'évaluation de manière périodique, soit tous les deux ou trois ans.

Orientation 5 – Élaboration du volet organisationnel de l'évaluation terrain avec développement de la preuve

Le groupe de travail propose aux mandataires et aux prestataires de toute évaluation terrain avec développement de la preuve de discuter des volets organisationnel, éthique et juridique avant la mise en place de toute évaluation. Les questions relatives aux droits de propriété intellectuelle, de mobilisation des ressources ainsi que celles afférentes aux suites de l'évaluation devraient être abordées.

3.5.3 Caractéristiques liées au protocole de recherche

3.5.3.1 Élaboration du protocole de recherche

L'élaboration du protocole de recherche représente une étape cruciale dans la mise en place d'une évaluation terrain avec développement de la preuve, puisqu'elle permet à l'évaluateur de mener à bien son projet de recherche. Les expériences internationales ont montré que tout retard dans l'élaboration d'un protocole de recherche ou sa validation ultérieure par le comité approprié induit souvent des coûts supplémentaires [Levin *et al.*, 2011; CMS, 2006].

La mise en place d'un protocole rigoureux et transparent permettra indéniablement de rendre le travail de recherche crédible et favorisera l'implantation des résultats dans la pratique courante.

Au sommet de Banff des 22 et 23 février 2009, des experts internationaux ont établi cinq principes à considérer au moment de l'élaboration d'études de type *access with evidence development* (voir l'annexe E). Notamment : 1) le problème décisionnel est clairement spécifié; 2) les objectifs sont explicites; 3) les objectifs doivent orienter l'élaboration du protocole; 4) l'évaluation doit refléter les caractéristiques organisationnelles ainsi que les particularités du contexte; 5) l'évaluation doit être indépendante de toute influence externe [Menon *et al.*, 2010].

3.5.3.1.1 Devis

- *Quel type d'études doit être retenu? Quel genre de données doivent être collectées? Quelle doit être la durée de la collecte de données?*
- *Quel type de patients doivent être pris en considération? Quelle devrait être la taille de l'échantillon?*
- *Les patients doivent-ils participer à l'élaboration des protocoles?*

Le devis employé varie en fonction de la technologie analysée, de la pathologie, du milieu de réalisation, des questions de recherche et des objectifs de l'évaluation. Stafinski et ses collaborateurs [2010] ont recensé diverses approches méthodologiques fréquemment employées dont des études observationnelles sous forme de registre ou de cohorte, des études cliniques pragmatiques ou même, randomisées.

En effet, la collecte de données primaires peut se faire par des études contrôlées randomisées, des études observationnelles, des analyses des bases de données administratives, d'enquêtes et de sondages ainsi que des revues de dossier [Mclsaac *et al.*, 2007]. Une revue systématique récente suggère que les trois sources de données les plus fréquemment utilisées à la suite de l'introduction d'une nouvelle technologie sont les dossiers médicaux, les enquêtes et les dossiers clinico-administratifs [Varela Lema *et al.*, 2011]. Levin et ses collaborateurs [2011] suggèrent, quant à eux, l'utilisation d'essais cliniques randomisés lorsque les données probantes portant sur l'efficacité clinique sont peu ou pas suffisantes et la mise en place d'études prospectives observationnelles ou de registres lorsque l'efficacité pratique ou l'innocuité sont mises en cause ou quand la technologie a déjà été diffusée.

Cependant, toute collecte de données primaires soulève d'importantes questions méthodologiques, pratiques et éthiques qui devraient être abordées avant l'élaboration de toute évaluation afin de garantir une certaine validité externe tout en réduisant les biais et les facteurs de confusion. En effet, les essais cliniques randomisés présentent de nombreuses limites dans la pratique courante, entre autres : ils sont souvent très coûteux, la répartition aléatoire des patients pose problème sur le plan éthique en matière d'accès à la technologie, le test à l'aveugle est difficile à mettre en place dans des conditions de pratique réelles de même que la reproduction des facteurs propres aux conditions de pratique réelles (p. ex. : la courbe d'apprentissage) [Mclsaac *et al.*, 2007]. Les études observationnelles, quant à elles, sont plus sujettes aux biais et aux facteurs de confusion. Ces études moins coûteuses permettent d'observer la réalité du terrain et les pratiques courantes ainsi que de surveiller la diffusion d'une technologie innovante et de faire une analyse de coûts [Concato *et al.*, 2010; Mclsaac *et al.*, 2007]. Malgré quelques contraintes méthodologiques, l'implantation de registres offre de nombreux avantages, notamment

l'inclusion d'un nombre important de patients souvent sous-représentés dans la littérature scientifique tels que les femmes et les minorités ethniques [Bufalino *et al.*, 2011; Varela Lema *et al.*, 2011; Patrick *et al.*, 2010; Dreyer et Garner, 2009]. La valeur ajoutée des registres est d'autant plus importante que les données sont regroupées dans des bases de données médico-administratives [Bufalino *et al.*, 2011; Lambert *et al.*, 2010]. Cependant, la mise en place et le maintien d'un registre engendrent des coûts opérationnels considérables et nécessitent une grande mobilisation des ressources humaines sur le plan du temps et de la formation [Varela Lema *et al.*, 2011]. Il est alors crucial de recenser les objectifs des registres existants avant la mise en place de nouveaux registres. Le développement de dossiers de santé électroniques et de systèmes cliniques informatisés pourra diminuer, voire éliminer les enjeux d'opérationnalisation si ces registres sont conçus aux fins d'évaluation, par exemple en prévoyant des champs vides pour des besoins d'évaluation. Enfin, la mise sur pied d'enquêtes constitue une solution de rechange à la collecte de données primaires permettant d'explorer diverses perspectives. Cependant, cette solution doit reposer sur un échantillon représentatif et utiliser un instrument de collecte des données validé pour réduire les risques de recueillir des données incomplètes, voire biaisées.

Par ailleurs, le choix d'une méthodologie pour évaluer une même technologie peut varier considérablement. À titre d'exemple, l'évaluation terrain de la TEP s'est faite sous forme de registre en Australie, sous forme d'étude clinique randomisée en Ontario, et sous forme d'essai pragmatique aux États-Unis [Levin *et al.*, 2011; Stafinski *et al.*, 2010]. De plus, dans un même pays ou territoire, la même technologie peut être évaluée de différentes façons. Ainsi, en Ontario, sept évaluations terrain, dont trois essais cliniques randomisés, deux études de cohorte et deux registres, ont été conçues pour évaluer la pertinence de l'utilisation de la TEP dans l'élaboration d'un diagnostic relatif à différentes pathologies cancéreuses et cardiaques [Levin *et al.*, 2011; Evans *et al.*, 2009].

Comme dans la littérature scientifique, les expériences québécoises montrent la difficulté de standardiser le type d'étude à mettre en place pour mener une évaluation terrain avec développement de la preuve. Cependant, il n'est pas concevable de recourir à une méthodologie standard, car cette dernière se doit de refléter les besoins décisionnels et de répondre à la question de recherche en temps opportun. Il est donc nécessaire d'engager un débat sur le type d'étude à privilégier en fonction du type de technologie et du contexte. La méthodologie choisie nécessitera la même rigueur scientifique et les mêmes exigences qu'une étude randomisée afin de maintenir une validité interne (taille de l'échantillon appropriée, réduction des biais au minimum, etc.). De plus, elle se doit d'être réalisable dans les délais préétablis.

3.5.3.1.2 Indicateurs d'évaluation

- Déterminer les indicateurs d'évaluation (directs ou indirectes)
- Quelles variables seront analysées?

La définition des objectifs permet de délimiter les indicateurs sur la base desquels la technologie sera évaluée. Cependant, la diversité des parties prenantes fait en sorte qu'il est souvent difficile d'obtenir un accord sur ce qui constitue une preuve suffisante et d'arriver ainsi à un consensus [Stafinski *et al.*, 2010]. Afin de pallier cette difficulté, il est crucial que la majorité des parties prenantes valide ces indicateurs d'évaluation.

De plus, les critères choisis doivent permettre l'obtention de résultats à court terme afin de mieux répondre aux enjeux décisionnels. C'est notamment le cas en Ontario où les agences d'évaluation des technologies, telles que le Programs for Assessment of Technology in Health (PATH) Research Institute, veillent à produire des résultats intermédiaires afin de pouvoir réorienter très tôt les processus décisionnels, voire les pratiques courantes, engendrant ainsi des économies considérables pour le système. Cela a notamment été le cas lors de l'introduction d'endoprothèses à élution de médicaments. Les données probantes produites par l'évaluation ont démontré que les bénéfices de la technologie étaient surestimés et le rapport coût-efficacité différentiel élevé [McIsaac *et al.*, 2007]. Ainsi, l'évaluation terrain a permis de freiner une utilisation massive et inappropriée de la technologie novatrice.

3.5.3.1.3 Durée de l'évaluation

L'enjeu décisionnel étant le principal moteur du projet d'évaluation, l'échéancier du processus d'élaboration et de mise en place de toute évaluation terrain avec développement de la preuve représente un défi majeur.

En effet, la durée de l'évaluation dépend foncièrement des besoins en information, de la quantité d'information nécessaire à la prise de décision, du type de technologie étudié et de sa durée de vie (en sachant que certains dispositifs médicaux ont une durée de vie moyenne relativement courte, de 12 à 18 mois, selon différentes sources) [OMS, 2010; Raab et Parr, 2006]. La tomодensitométrie qui est passée de 2 à 8 et de 32 à 64 tranches en quelques années, modifiant radicalement les capacités d'imagerie, constitue l'exemple le plus flagrant de la difficulté à collecter des données probantes en un temps opportun [Murtagh et Foerster, 2009]. Par ailleurs, les enjeux décisionnels nécessitent parfois une prise de décision rapide.

Par conséquent, il est important de fixer une échéance réaliste et accessible pour toute évaluation terrain avec développement de la preuve. Une évaluation de courte durée incite les producteurs et les fournisseurs de soins à la recherche, sans pour autant freiner l'innovation, mais elle pourrait poser problème en ce qui concerne la collecte de données. En revanche, une *évaluation terrain* qui se prolonge risque d'être coûteuse et d'exposer les patients à un risque inutile si la technologie s'avère inefficace, voire dangereuse [Hailey *et al.*, 2009]. Elle constituera alors un obstacle à l'innovation.

D'après l'analyse de Stafinski, McCabe et Menon [Stafinski *et al.*, 2010], les expériences récentes dans le domaine de l'*évaluation terrain* ont une durée moyenne de 4,8 ans (de 2 à 10 ans). Goeree et ses collaborateurs [2010] ainsi que Hutton et ses collaborateurs [2007] recommandent une *évaluation terrain* d'une durée variant de 3 à 5 ans. Or, cette échéance pourrait être trop longue par rapport à l'objectif décisionnel d'une *évaluation terrain* [Hailey *et al.*, 2009].

Il est important de noter que la durée temporelle n'est pas forcément un facteur déterminant de la réussite ou de l'échec d'une évaluation. L'étude NETT, qui a duré 7 ans, a modifié la pratique des cliniciens dans le domaine de la chirurgie chez les patients souffrant d'emphysème, ce qui a engendré des économies de 150 M\$ US [Mohr *et al.*, 2010].

La solution de rechange serait alors de fixer un intervalle de temps unique pour toute évaluation, mais cela accroîtrait la complexité, l'incertitude et la pression politique, puisqu'elle serait en conflit avec le caractère spécifique de chaque projet [Pearson et Bach, 2010].

3.5.3.2 Validation du protocole de recherche

À la suite de son élaboration, le protocole de recherche devra être validé, notamment en ce qui a trait à la rigueur méthodologique ainsi qu'à l'indépendance scientifique. Le cas échéant, son approbation par un comité éthique sera nécessaire. En fonction des dimensions étudiées et des méthodologies utilisées, la validation du protocole de recherche pourra prendre différentes formes, d'un comité scientifique ad hoc jusqu'au processus de validation habituel utilisé par le Fonds de recherche du Québec. Compte tenu de l'importance de réaliser l'évaluation terrain avec développement de la preuve à l'intérieur de l'échéance décisionnelle, le processus de validation du protocole de recherche nécessite une attention particulière. En effet, plusieurs membres du comité ont rapporté des retards importants à cette étape, particulièrement dans le processus d'approbation éthique. Les membres du comité ont par ailleurs mentionné qu'il pourrait être intéressant de réfléchir à une manière de rendre explicites les enjeux éthiques particuliers aux évaluations terrain avec développement de la preuve.

3.5.3.3 Mise en place du protocole de recherche

- Déterminer quelle structure est responsable de la collecte des données, de l'analyse et de la prise de décision

Les diverses expériences québécoises et internationales ont mis en lumière de nombreuses contraintes à l'implantation de l'évaluation. La liste suivante énumère les obstacles les plus fréquents¹² :

- Difficulté à recruter des patients (ce qui, dans de nombreux cas, a mis un terme à l'évaluation [Levin et al., 2011; CMS, 2006]);
- Difficulté à mobiliser les organisations de soins et les professionnels pour qu'ils participent activement à l'étude;
- Difficulté à trouver des incitatifs pour engager les parties prenantes;
- Difficulté à collecter les données sur le terrain (besoin de former des archivistes, collecte chronophage pour les professionnels de la santé déjà débordés par leur charge de travail, etc.);
- Difficulté à mettre des bases de données en place;
- Difficulté à accéder aux données;
- Difficulté à obtenir l'approbation des divers comités (p. ex. : comité d'éthique et de recherche);
- Pression politique accrue influençant l'élaboration du protocole et sa mise en marche;
- Problèmes liés aux aspects légaux.

Afin de contrer ces difficultés et de mener à bien tout projet d'évaluation, il est nécessaire de :

- Mettre en place un protocole rigoureux et des paramètres d'évaluation bien définis;
- Veiller à la rigueur méthodologique ainsi qu'aux aspects sociaux, juridiques et éthiques;
- Engager la participation active de toutes les parties prenantes dans l'élaboration et la mise en œuvre du protocole de recherche, tout en conservant une certaine indépendance scientifique;
- Encourager la communication entre les diverses parties prenantes;
- Avoir un appui politique fort de la part des décideurs;
- Mettre en œuvre un protocole de recherche réaliste et réalisable dans les limites des échéanciers décisionnels;
- Allouer du temps et des ressources humaines, financières et matérielles au projet d'évaluation;
- Implanter une infrastructure solide qui facilite la communication et la prise de décision;
- Adopter des critères clairs quant à l'établissement des priorités.

Orientation 6 – Élaboration du protocole de recherche

Le devis de la recherche se doit d'être méthodologiquement rigoureux et adapté aux enjeux décisionnels tout en respectant l'échéancier établi relativement à ces enjeux décisionnels.

Le protocole de recherche devrait être soumis à un comité scientifique indépendant.

Le processus d'approbation du protocole de recherche devrait bénéficier d'une attention particulière aux enjeux éthiques propres aux évaluations terrain avec développement de la preuve.

12. La liste suivante est une synthèse issue de la recherche narrative, des discussions entreprises au cours des rencontres du groupe de travail ainsi que des discussions avec les représentants des agences canadiennes et internationales engagées activement dans le domaine des *évaluations terrain*.

4 Conclusion

Dans un contexte où les innovations suivent un rythme rapide de production, le niveau de preuve est souvent insatisfaisant et les coûts importants et où les bénéfices à moyen et long terme demeurent incertains, l'évaluation terrain avec développement de la preuve contribue à mieux gérer l'incertitude qui entoure les technologies novatrices.

L'évaluation terrain avec développement de la preuve est une démarche qui a pour objectif de diminuer les incertitudes décisionnelles qui persistent après un processus d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé, et ce, au moyen d'une mobilisation des connaissances et d'une collecte de données primaires et probantes dans des conditions de pratique réelles.

La mise en place d'évaluations terrain avec développement de la preuve contribuera à la génération de connaissances liées aux besoins des décideurs. Par conséquent, l'évaluation terrain avec développement de la preuve facilite l'introduction contrôlée de technologies et de modes d'intervention innovants.

Toute évaluation nécessite une bonne planification et une conception juste, la formation et l'information des diverses parties prenantes ainsi que l'implantation de mécanismes d'évaluation de la qualité dans le respect des échéanciers décisionnels. Pour ce faire, toutes les parties prenantes (les décideurs politiques et administratifs, les épidémiologistes, les économistes de la santé, les éthiciens, les chercheurs, les cliniciens et l'industrie, etc.) doivent prendre part au processus afin de mieux répondre aux questions de recherche et d'obtenir des résultats de qualité qui permettront d'orienter la prise de décision.

D'une manière générale, le processus se doit : 1) de répondre aux problèmes formulés par les décideurs dans un délai relativement court; 2) d'être adapté aux besoins des requérants; 3) d'être accepté par toutes les parties prenantes; 4) d'être méthodologiquement rigoureux, reproductible et transparent.

La définition du concept des évaluations terrain avec développement de preuve s'est faite avec des intervenants de différents milieux. Le cadre méthodologique, les méthodes de financement et les aspects juridiques et d'assurance qualité, quant à eux, restent à définir en collaboration avec tous les acteurs du système de santé, étant donné que la collecte de données primaires peut constituer un long processus et peut exiger la mobilisation de nombreuses ressources humaines, financières et matérielles.

Annexe A

Mandat du groupe de travail sur les évaluations terrain de la Table sectorielle des RUIS en ETMIS

Mandat approuvé le 1^{er} décembre 2010¹³

Contexte

La pratique des Unités d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé (UETMIS) au Québec varie d'un établissement à l'autre en fonction de la mission de ceux-ci, mais aussi des besoins formulés par les gestionnaires et de l'orientation donnée à l'UETMIS à sa création. Ainsi, outre des évaluations des technologies et des modes d'intervention classiques, basées sur une revue systématique des données scientifiques et la considération des éléments contextuels, certaines UETMIS réalisent aussi des « évaluations terrain ».

Au cours de la dernière rencontre de la communauté de pratique en ETMIS, deux unités ont fait une présentation sur des évaluations terrain qu'elles ont réalisées. Plusieurs constats ont découlé de ces présentations : il existe différentes façons de comprendre ce qu'est une évaluation terrain, les raisons pour lesquelles une telle évaluation devrait être faite et la portée des résultats qu'elle génère.

Ailleurs dans le monde, on s'interroge aussi sur l'utilisation de l'évaluation terrain pour guider l'introduction d'innovations dans les systèmes de santé, tant à l'échelle macro qu'à l'échelle des établissements.

Dans ce contexte, il apparaît donc important de poursuivre la réflexion au Québec afin de clarifier ce qu'on entend par « évaluation terrain » et de se donner une vision commune pour décrire les activités qui sont liées à un tel concept.

Mandat

Le mandat du groupe de travail qui porte sur l'évaluation terrain sera :

1. De susciter une réflexion quant à la définition d'une évaluation terrain, ses objectifs, son utilité et ses limites;
2. D'étudier les aspects méthodologiques associés à la réalisation d'une évaluation terrain de qualité et des outils qui s'y rattachent;
3. De discuter des particularités d'évaluations sur le terrain aux différents paliers décisionnels (établissements comparativement au MSSS);
4. De déterminer les éléments permettant d'assurer la transposition des résultats des évaluations favorables dans la pratique courante; et
5. De discuter de méthodes et de processus relatifs à la mise en place des évaluations terrain, y compris du rôle des différents acteurs et des sources de financement.

13. À la suite de la révision linguistique du document, certains changements ont été apportés au mandat.

Membres

Le groupe de travail pourrait être composé des personnes suivantes :

- Une personne appartenant à chacun des quatre RUIS, qui a une expérience ou un intérêt particulier en évaluations terrain;
- Un représentant du Fonds de recherche du Québec – Santé;
- Un représentant du ministère de la Santé et des Services sociaux;
- Reiner Banken, directeur général associé aux relations extérieures, partenariats et réseaux;
- Pierre Dagenais, directeur du soutien et du développement méthodologique, Institut national d'excellence en santé et en services sociaux;
- Dima Samaha, chercheure consultante, responsable du projet, INESSS.

Le groupe peut s'adjoindre l'aide de toute personne utile à ses travaux.

Produits livrables

Le groupe de travail fera rapport de ses réflexions et travaux à la Table sectorielle des RUIS en ETMIS. Un premier rapport est prévu en mars 2011.

Organisation et ressources

L'INESSS coordonnera les activités du groupe de travail et fournira le personnel nécessaire, notamment un chercheur, responsable du projet, pour soutenir ces travaux.

Annexe B

Les différents volets de l'évaluation terrain, perspectives canadienne et internationale

Les activités du groupe de travail se sont appuyées sur la littérature internationale repérée dans les bases de données MEDLINE par PubMed et Google Scholar à partir des termes : *field evaluation*, *coverage with evidence development*, *conditionally funded field evaluation*, *évaluation terrain*, *access with evidence development*, *only in research* et *real world evidence*. Les références d'articles, les sites Web de diverses agences internationales en évaluation des technologies ainsi que la littérature grise ont également été consultés. De plus, des représentants des agences canadiennes et internationales engagées activement dans les *évaluations terrain* ont été interviewés pour étoffer l'analyse.

Les diverses *évaluations terrain* relatées dans la littérature scientifique révèlent les multiples facettes de ce type d'études. Celles-ci sont le plus souvent mandatées dans le contexte du financement d'une technologie innovante ou d'un mode d'organisation de soins ou services, mais elles peuvent également contribuer à la conception d'outils qui favorisent l'implantation de la technologie.

Évaluation terrain et financement de prestations

Le volet le plus documenté dans la littérature est celui des *évaluations terrain* mandatées dans le contexte du financement d'une prestation de soins. Ces dernières années, les concepts de *conditionally funded field evaluation* (Ontario), de *coverage* (ou *access*) *for field evaluation* (États-Unis/Australie), d'*access with evidence generation* ou même de *comparative effectiveness research* sont apparus dans le domaine de l'évaluation des technologies de la santé [Stafinski *et al.*, 2010; Trueman *et al.*, 2010; Carboneil *et al.*, 2009].

De manière similaire, dans certains pays tels que la Grande-Bretagne, l'Espagne ou la France, certaines technologies reçoivent une autorisation conditionnelle sous l'étiquette *Only in Research* (Grande-Bretagne) ou *Monitored use* (Espagne), commandant alors la mise sur place d'une *évaluation terrain* [Briggs *et al.*, 2010].

L'étiquette signifie que le payeur décide de financer une technologie, la plupart du temps innovante, pendant une durée déterminée, à condition que patients et soignants participent à la collecte de données supplémentaires, nécessaires à la réduction des incertitudes entourant une décision de couverture.

Stafinski, McCabe et Menon ont ainsi repéré 32 cas de *coverage for field evaluation* mis en place en Australie, au Canada (Ontario), aux États-Unis, en Italie et aux Pays-Bas [Stafinski *et al.*, 2010]. À titre d'exemple, aux États-Unis, les Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS) paient la tomographie par émission de positons pour établir le diagnostic de certains types de cancer, à condition que les patients participent à une étude prospective ou soient inscrits à un registre national (National Oncologic PET Registry) [Juwaid et Cheson, 2006].

De la même manière, l'étude états-unienne NETT a permis de fournir les preuves suffisantes pour justifier le financement par les CMS de la chirurgie de réduction de volume pulmonaire chez les patients souffrant d'emphysème [CMS, 2005].

Que l'on parle d'accès et de poursuite de la collecte de données, de couverture conditionnelle à la collecte de données ou d'évaluation sur place, le but est le même, à savoir la diffusion, le plus tôt possible, de technologies de la santé prometteuses [Constant *et al.*, 2011].

Évaluation terrain et efficacité pratique

Force est de constater que la plupart des *évaluations terrain* sont mandatées pour répondre à des questions portant sur l'efficacité pratique de technologies innovantes. En effet, le marché des technologies de la santé n'étant pas aussi réglementé que celui des médicaments, de nombreuses technologies sont diffusées dans le système sans qu'un processus formel d'évaluation ait été appliqué. L'*évaluation terrain* vient ainsi combler ce manque.

À défaut de données probantes suffisantes et prédisant les retombées qu'aurait l'introduction d'endoprothèses à élution de médicaments sur le système de santé, le ministère de la Santé et des Soins de longue durée de l'Ontario a consenti au financement conditionnel de la technologie dans le cadre d'une vaste étude, sur près de 20 000 patients, ayant pour objectif de déterminer son efficacité clinique auprès de différents types de patients. L'*évaluation terrain* a ainsi permis de prouver l'efficacité clinique de la technologie chez un sous-groupe de patients, à savoir ceux à haut risque de récurrence de sténose (les diabétiques et les patients présentant des lésions longues et étroites) et par la même occasion, à justifier une couverture conditionnelle de la technologie [Bowen *et al.*, 2007].

Ce type d'*évaluation terrain* est répandu de par le monde. Ainsi, le financement du traitement endovasculaire de l'anévrisme de l'aorte abdominale a été validé par les autorités sanitaires publiques, en Australie et en Ontario [Stafinski *et al.*, 2010]. De plus, en Ontario plus particulièrement, l'évaluation du traitement endovasculaire de l'anévrisme de l'aorte abdominale a permis de déterminer quelles populations cibles n'ayant pas pu être circonscrites dans une étude clinique bénéficieraient de l'introduction de l'intervention [Goeree *et al.*, 2010].

Évaluation terrain et apprentissage

L'introduction d'une innovation constitue une occasion d'apprentissage; l'*évaluation terrain* revêt de l'importance en ce qui touche la planification, l'implantation et la dissémination d'une technologie ou d'un mode d'intervention en santé à l'échelle provinciale, mais aussi dans les hôpitaux, cliniques et centres de soins de longue durée. L'*évaluation terrain* permet de mettre des normes en place et de développer une certaine expertise, ce qui n'aurait pas été possible avec une diffusion aléatoire [Evans *et al.*, 2009].

Ainsi, en Ontario, le ministère de la Santé et des Soins de longue durée a commandité une *évaluation terrain* à l'University Health Network Usability Lab afin de favoriser l'implantation d'un système de pompes intelligentes qui permettent l'administration de médicaments [Trbovich *et al.*, 2009]. De la même manière, l'*évaluation terrain* de la mise en place des pompes à insuline chez les enfants et les adolescents atteints de diabète de type 1 au Québec permettra d'orienter la mise en œuvre d'un programme à l'échelle provinciale et servira d'exemple national [UETMIS CHU Sainte-Justine, 2011]. L'établissement qui a effectué une *évaluation terrain* pourrait même servir de centre de formation pour d'autres établissements désireux d'implanter la technologie [Levin *et al.*, 2007].

Évaluation terrain et innovation

L'*évaluation terrain* propose les mécanismes appropriés pour soutenir et consolider l'introduction d'une innovation technologique dans le système de santé, ce qui lui donne une autre valeur ajoutée. En Grande-Bretagne, le NHS Technology Adoption Center (NTAC) encourage l'adoption de technologies innovantes en relatant les expériences des établissements dans lesquels la technologie a été implantée sous forme de guides « *How to why to*¹⁴ ». Ce type d'*évaluation terrain* permet d'observer les balbutiements de l'implantation d'une nouvelle technologie dans un établissement. De plus, l'analyse permet de déterminer quels seront les ressources nécessaires, les barrières à l'accès, les stratégies efficaces ainsi que les facteurs de réussite liés à l'implantation d'une innovation.

Évaluation terrain et établissement des pratiques courantes

Les autorités sanitaires ne contrôlent pas toujours l'introduction d'une technologie (par exemple, une technologie peut être introduite par l'intermédiaire des fondations). Aussi, une *évaluation terrain* informe les décideurs sur la réalité du milieu. L'*évaluation terrain* est alors garante de la sécurité et de l'optimisation des processus et des pratiques courantes. Par exemple, en Ontario, l'introduction d'appareils d'imagerie médicale tels que le tomодensitogramme et l'appareil d'IRM a nécessité une *évaluation terrain*. L'analyse a permis aux autorités sanitaires de faire ressortir les pratiques courantes ainsi que les questions clés et d'examiner le niveau de sécurité maintenu dans les établissements offrant ce type de services. Sur la base du rapport, des recommandations pouvant s'appliquer à l'ensemble de la province ont été formulées [HHFG, 2006a; 2006b].

À l'échelle des organisations en santé et en services sociaux, la détermination des pratiques peut orienter les décisions d'achat d'un centre de soins (hôpital, clinique, CSSS) et permet de trouver les ressources et les mécanismes nécessaires à l'adoption d'une technologie dans le domaine de la santé. Ainsi, le rapport de l'Ontario Health Technology Advisory Committee (OHTAC), qui porte sur les pompes intelligentes servant à l'administration intraveineuse de médicaments (qui s'appuie sur une *évaluation terrain*), a permis de déterminer l'infrastructure physique (comme l'implantation d'un réseau sans fil), humaine (notamment la formation des professionnels) et organisationnelle (par exemple la normalisation des doses) nécessaires au bon fonctionnement de la technologie [Trbovich *et al.*, 2009; HHFG, 2006b].

Une meilleure orientation du processus décisionnel permet de faire des économies considérables. En Ontario, en déterminant quelle était la population cible des endoprothèses à élution de médicaments, l'*évaluation terrain* a freiné une utilisation massive et inappropriée de la technologie novatrice, engendrant en 2007 des économies à hauteur de 22 M\$ CA [Goeree *et al.*, 2010]. Il en est de même pour l'étude NETT, aux États-Unis, dont les résultats ont entraîné des changements dans la pratique et en conséquence, une économie de 125 M\$ US par année [Mohr et Tunis, 2010].

14. Les guides « *How to why to* » sont disponibles à : <http://www.ntac.nhs.uk/HowToWhyToGuides/How-to-Why-to-Guides.aspx> (consulté le 22 septembre 2011).

Annexe C

L'évaluation terrain au Québec

Au Québec, l'appellation « *évaluation terrain* » a été utilisée dans le cadre de diverses études qui ont trait à différents volets. L'évaluation se fait à l'échelle provinciale et hospitalière, dans le contexte des activités de l'INESSS et de celles des UETMIS.

Au cours de la première rencontre du 7 avril 2011, le groupe de travail s'intéressant aux *évaluations terrain* a discuté de trois exemples récents, dont deux associés à une technologie et un, lié à un mode d'organisation. Ces expériences constituent un modeste échantillon de l'expérience des UETMIS.

L'utilisation de la pompe à insuline en milieu pédiatrique est le premier exemple de ce type d'évaluation au Québec auquel l'AETMIS a participé. Dans ce contexte, en novembre 2005, le ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS) a proposé de mener un projet pilote d'implantation d'un programme portant sur les pompes à insuline dans trois centres hospitaliers pédiatriques. Une *évaluation terrain* comprenant plusieurs aspects déterminants pour l'introduction d'un tel programme a également été commandée. L'efficacité clinique, l'amélioration de la qualité de vie, l'utilisation des ressources ainsi que les répercussions économiques et organisationnelles du traitement ont été analysées. Quatre centres hospitaliers ont été engagés dans le projet d'évaluation : le CHU Sainte-Justine, le CHU de Québec, le CHU de Sherbrooke et l'Hôpital de Montréal pour enfants du Centre de santé McGill. Le CHU Sainte-Justine était le centre coordonnateur du projet d'évaluation. Les résultats de l'évaluation ont permis à l'équipe du CHU Sainte-Justine d'énoncer des recommandations qui serviront à l'élaboration d'une politique de couverture des pompes à insuline [UETMIS CHU Sainte-Justine, 2011]. En avril 2011, à la suite des résultats de l'évaluation, le ministre de la Santé et des Services sociaux, le docteur Yves Bolduc, annonçait un programme d'accès universel aux pompes à insuline destiné aux enfants atteints de diabète de type 1¹⁵.

Au Québec, les *évaluations terrain* ne concernent pas exclusivement les technologies de la santé; les modes d'organisation de soins sont également touchés. L'*évaluation terrain* d'une clinique interdisciplinaire musculosquelettique par l'unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé du Centre hospitalier universitaire de Sherbrooke en est l'exemple le plus frappant. L'*évaluation terrain* a permis de faire un état de situation et, par conséquent, de déterminer les mesures organisationnelles nécessaires à l'optimisation du mode d'intervention afin d'améliorer l'accès aux traitements orthopédiques pour les patients qui en ont le plus besoin [Poder *et al.*, 2010].

L'utilisation préopératoire de l'imagerie par résonance magnétique en neurochirurgie montre une nouvelle tendance québécoise. Dans ce cas de figure, étant donné le coût élevé de la technologie, le MSSS a demandé à l'unité d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé du Centre hospitalier universitaire de Québec d'effectuer une *évaluation terrain* dans le but d'obtenir des données pertinentes concernant l'utilisation de cette technologie ainsi que sa possibilité de diffusion dans d'autres milieux de neurochirurgie.

15. « Le ministre Yves Bolduc annonce un programme universel d'accès aux pompes à insuline pour les enfants atteints de diabète de type 1 ». Communiqué de presse du 16 avril 2011. Disponible à : <http://communiqués.gouv.qc.ca/gouvqc/communiqués/GPQF/Avril2011/16/c4604.html> (consulté le 23 septembre 2011).

Annexe D

Critères proposés dans d'autres provinces et pays pour mandater la mise en place d'évaluations terrain

- *Trueman et ses collaborateurs [2010] proposent six critères pour évaluer si une couverture, dans le cadre de la production de données probantes, est nécessaire :*
 1. *High unmet clinical need or significant improvement in outcomes is still required.*
 2. *The value proposition for the product in question is logical and theoretically valid, but one or more pieces of evidence are still lacking. In some cases, the evidence that is lacking may relate to the impact of the treatment on long-term outcomes, and stakeholders may need to identify one or more suitable interim markers of effectiveness that will help resolve the uncertainty.*
 3. *Data collection is the best solution to resolve the uncertainty (and can be done in a “fit for purpose” manner, such as a RCT, observational study, registry, or other well-designed study).*
 4. *More traditional coverage tools are not appropriate (e.g., price-volume agreements) to resolve the clinical or cost-effectiveness uncertainty.*
 5. *The primary concern is uncertainty surrounding clinical or cost-effectiveness outcomes and not purely financial/budget impact.*
 6. *Stakeholders agree that the evidence development can be achieved in a timely manner to ensure that the context of the findings is still relevant within the current operating environment.*

- *Critères nécessaires à la mise en place d'une évaluation de terrain (Conditionally funded field evaluation) en Ontario [Goeree et Levin, 2006] :*
 1. *The quality of evidence is conflicting or too questionable;*
 2. *There are concerns about the ‘real world’ effectiveness of the technology in the Ontario setting;*
 3. *Trials have focused only on a subgroup of patients likely to benefit from the technology and where there is concern that the technology would likely be diffused to other patient subgroups with unproven effectiveness;*
 4. *The number needed to treat and the unit cost of the technology are high;*
 5. *Available follow-up data do not extend over long enough periods of time;*
 6. *There are unresolved questions regarding patient safety.*

- *Conditions pour la mise en place d'une couverture Coverage with Study Participation par les CMS des États-Unis [CMS, 2006] :*
 1. *Available evidence may be a product of otherwise methodologically rigorous evaluations but may not have evaluated outcomes that are relevant to Medicare beneficiaries.*
 2. *The available clinical research may have failed to address adequately the risks and benefits to Medicare beneficiaries for off-label or other unanticipated uses of a drug, biologic, service or device.*
 3. *Available clinical research studies may not have included specific patient subgroups or patients with disease characteristics that are highly prevalent in the Medicare population.*
 4. *New applications may exist for diagnostic services and devices that are already on the market, but there is little or no published research that supports a determination of reasonable and necessary for Medicare coverage at the time of the request for an NCD.*
 5. *Sufficient evidence about the health benefits of a given item or service to support a reasonable and necessary determination is available only for a subgroup of Medicare patients with specific clinical criteria and/or for providers with certain experience or other qualifications. Other patient subgroups or providers require additional evidence to determine if the item or service is reasonable and necessary.*

- *Recommandations du NICE Citizens Council [2007] pour que NICE puisse justifier la mise en place d'une étude Only in Research :*

Note des auteurs : These are the circumstances that we think should be taken into account when NICE considers whether or not to make an "only in research" (OIR) recommendation. Most of us felt that all but one of these was uncontentious. Many of our conclusions were unanimous; where there was a division of opinion the voting figures are recorded.

1. *Whether at least one appropriate, relevant study is either:*
 - planned (e.g. the study will definitely start within 6 months of the guidance publication date);*
 - in progress (e.g. recruitment to the study is open, and is expected to last at least 1 year beyond the guidance publication date); or could be established quickly.*
2. *Whether the question addressed by the study will contribute to reducing the uncertainties identified during the preparation of NICE guidance.*
3. *Whether the research is feasible (in terms of numbers of patients, recruitment etc.) and is likely to deliver results within an appropriate time period.*
4. *Whether the study will be multi-centre with broad coverage of the relevant geographical area and population to ensure that as many eligible patients as possible can realistically access the technology within a study setting. (Agree: 21, Disagree: 4, Don't know: 2)*
5. *Whether further research is good value for money.*
6. *Whether a fully supportive decision would lead to significant irretrievable fixed costs of implementation.*
7. *Whether a fully supportive decision, instead of an "only in research" recommendation, would lead to the termination of research in progress or prevent new research from beginning and thus have a negative impact on future collection of relevant information.*
8. *Whether it is realistic to hope that research can be carried out to the satisfaction of NICE. Factors to be considered include: the timeliness of the research; potential number of patients able to participate in research; the pace of the current research; the precise nature of the questions to be answered.*

In addition to this list of “circumstances” we wish to add the following:

- 9. An OIR decision should not be used as a way of ducking the need to say “no” to interventions that are excessively costly.*
- 10. NICE should resist the attempts of patient groups, the media and other bodies that may wish to pressurise it into choosing an OIR decision when a “no” decision is the more appropriate response.*
- 11. Patients already receiving a treatment should continue to do so even if that treatment is then categorised as OIR.*
- 12. When making an OIR decision NICE should define the questions it wants answered through research, and also prescribe the methodology to be used.*
- 13. NICE may wish to consider how OIR could be used as means of encouraging innovation.
(Agree: 23, Disagree:4, Don’t know:0)*
- 14. With treatments for life-threatening conditions where there is no other remedy available, NICE should consider granting it the “benefit of the doubt” with an OIR decision rather than a “no”. (Agree:25, Disagree:1, Don’t know: 1)*
- 15. NICE should be mindful of the risk of discriminating against groups perceived to have a low quality of life as measured by the QALY system. (Agree: 22, Disagree: 1, Don’t know: 4)*
- 16. NICE should do what it can to ensure that the findings of research are fed back to the clinicians who can benefit from them*
- 17. The AIR (“also in research”) option proposed by one of the speakers should not be adopted.
(Agree: 24, Disagree:2, Don’t know:1)*

The Citizens’ Council would also like NICE to note one other topic on which we voted. By a large majority (24 out of 27 voting) we felt that the assessment of cost- effectiveness and the use of the QALY system should be the subject of a future Citizens Council meeting.

Annexe E

Principes à considérer lors de l'élaboration d'études Access with Evidence Development (AED)

Principes établis au sommet de Banff, en Alberta, les 22 et 23 février 2009 [Menon *et al.*, 2010] :

1. *The decision problem that the AED is designed to address should be clearly specified*
2. *The objective(s) of the AED should be stated*
3. *The objective(s) of the AED should inform the design of the study*
4. *The design of the AED should reflect the organizational characteristics and objectives of the healthcare system in which it operates*
5. *The AEDs governance should ensure the independence of the scheme from any parties with a vested interest in its outcomes*

Références

- Bowen JM, Hopkins R, Chiu M, Blackhouse G, Charles Lazzam, Ko D, et al. Clinical and cost-effectiveness analysis of drug eluting stents compared to bare metal stents for percutaneous coronary interventions in Ontario: Final report. Hamilton, ON : Program for Assessment of Technology in Health (PATH); 2007. Disponible à : <http://www.path-hta.ca/Libraries/Reports/DESreportMay2007.sflb.ashx>.
- Briggs A, Ritchie K, Fenwick E, Chalkidou K, Littlejohns P. Access with evidence development in the UK: Past experience, current initiatives and future potential. *Pharmacoeconomics* 2010;28(2):163-70.
- Brousselle A, Champagne F, Contandriopoulos A-P, Hartz Z. L'évaluation : concepts et méthodes. Montréal, Qc : Presses de l'Université de Montréal; 2009.
- Bufalino VJ, Masoudi FA, Stranne SK, Horton K, Albert NM, Beam C, et al. The American Heart Association's recommendations for expanding the applications of existing and future clinical registries: A policy statement from the American Heart Association. *Circulation* 2011;123(19):2167-79.
- Busse R, Orvain J, Velasco M, Perleth M, Drummond M, Gürtner F, et al. Best practice in undertaking and reporting health technology assessments. *Int J Technol Assess Health Care* 2002;18(2):361-422.
- Carbonneil C, Quentin F, Lee-Robin SH. A common policy framework for evidence generation on promising health technologies. *Int J Technol Assess Health Care* 2009;25(Suppl 2):56-67.
- Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS). National coverage determinations with data collection as a condition of coverage: Coverage with evidence development Baltimore, MD : CMS; 2006. Disponible à : <http://www.allhealth.org/briefingmaterials/cmscoveragewithdevelopment-422.doc>.
- Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS). CMS manual system. Pub. 100-04 Medicare claims processing. Transmittal 768. December 2, 2005. Change request 4149. Baltimore, MD : Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS) ; Department of Health and Human Services (DHHS); 2005. Disponible à : <https://www.cms.gov/transmittals/downloads/R768CP.pdf>.
- Chalkidou K, Lord J, Fischer A, Littlejohns P. Evidence-based decision making: When should we wait for more information? *Health Aff (Millwood)* 2008;27(6):1642.
- Concato J, Peduzzi P, Huang GD, O'Leary TJ, Kupersmith J. Comparative effectiveness research: What kind of studies do we need? *J Investig Med* 2010;58(6):764-9.
- Constant A, Petersen S, Mallory CD, Major J. Synthèse de recherche sur les générateurs de coûts dans le secteur de la santé et possibilités d'action. Ottawa, ON : Fondation canadienne de la recherche sur les services de santé (FCRSS); 2011. Disponible à : http://www.fcrss.ca/Libraries/Commissioned_Research_Reports/CHSRF_Synthesis_on_Cost_Drivers_FR-final.sflb.ashx.
- Dreyer NA et Garner S. Registries for robust evidence. *JAMA* 2009;302(7):790-1.
- Evans WK, Laupacis A, Gulenchyn KY, Levin L, Levine M. Evidence-based approach to the introduction of positron emission tomography in Ontario, Canada. *J Clin Oncol* 2009;27(33):5607-13.
- Gillick MR. Medicare coverage for technological innovations—Time for new criteria? *N Engl J Med* 2004;350(21):2199-203.

- Goeree R et Levin L. Building bridges between academic research and policy formulation: The PRUFE framework—An integral part of Ontario’s evidence-based HTPA process. *Pharmacoeconomics* 2006;24(11):1143-56.
- Goeree R, Chandra K, Tarride J-E, O’Reilly D, Xie F, Bowen J, et al. Conditionally funded field evaluations: PATHs coverage with evidence development program for Ontario. *Value Health* 2010;13(Suppl 1):S8-11.
- Goeree R, Levin L, Chandra K, Bowen J, Blackhouse G, Tarride J, et al. Health technology assessment and primary data collection for reducing uncertainty in decision making. *J Am Coll Radiol* 2009;6(5):332-42.
- Groupe d’étude sur l’évaluation des technologies de santé. Stratégie sur les technologies de la santé 1.0. Ottawa, ON : Comité consultatif sur l’information et les nouvelles technologies (CCINT); 2004. Disponible à : <http://www.hc-sc.gc.ca/hcs-sss/pubs/ehealth-esante/2004-tech-strateg/index-fra.php>.
- Hailey D, Jonsson E, Jacobs P. Comparative effectiveness: An overview. Edmonton, AB : Institute of Health Economics (IHE); 2009. Disponible à : <http://www.ihe.ca/documents/ComparativeEffectivenessBriefPRESS.pdf>.
- Healthcare Human Factors Group (HHFG). Computed tomography radiation safety issues in Ontario. Toronto, ON : Centre for Global eHealth Innovation, University Health Network; 2006a. Disponible à : http://www.ehealthinnovation.org/files/CT_radiation_safety.pdf.
- Healthcare Human Factors Group (HHFG). Magnetic resonance imaging environment safety in Ontario. Toronto, ON : Centre for Global eHealth Innovation, University Health Network; 2006b. Disponible à : http://www.ehealthinnovation.org/files/MRI_Environment_Safety_in_Ontario.pdf.
- Hutton J, Trueman P, Henshall C. Coverage with evidence development: An examination of conceptual and policy issues. *Int J Technol Assess Health Care* 2007;23(4):425-32.
- Juweid ME et Cheson BD. Positron-emission tomography and assessment of cancer therapy. *N Engl J Med* 2006;354(5):496-507.
- Lambert L, Brown K, Segal E, Brophy J, Rodes-Cabau J, Bogaty P. Association between timeliness of reperfusion therapy and clinical outcomes in ST-elevation myocardial infarction. *JAMA* 2010;303(21):2148-55.
- Levin L, Goeree R, Levine M, Krahn M, Easty T, Brown A, Henry D. Coverage with evidence development: The Ontario experience. *Int J Technol Assess Health Care* 2011;27(2):159-68.
- Levin L, Goeree R, Sikich N, Jorgensen B, Brouwers M, Easty T, Zahn C. Establishing a comprehensive continuum from an evidentiary base to policy development for health technologies: The Ontario experience. *Int J Technol Assess Health Care* 2007;23(3):299-309.
- Longworth L, Sculpher MJ, Bojke L, Tosh JC. Bridging the gap between methods research and the needs of policy makers: A review of the research priorities of the National Institute for Health and Clinical Excellence. *Int J Technol Assess Health Care* 2011;27(2):180-7.
- McCabe CJ, Stafinski T, Edlin R, Menon D. Access with evidence development schemes: A framework for description and evaluation. *Pharmacoeconomics* 2010;28(2):143-52.
- Mclsaac ML, Goeree R, Brophy JM. Primary data collection in health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 2007;23(1):24-9.

- Menon D et Stafinski T. Health technology assessment in Canada: 20 years strong? *Value Health* 2009;12(Suppl 2):S14-9.
- Menon D, McCabe CJ, Stafinski T, Edlin R. Principles of design of access with evidence development approaches: A consensus statement from the Banff Summit. *Pharmacoeconomics* 2010;28(2):109-11.
- Mercier C et Perreault M. L'évaluation de programme : notions de base. Dans : Dorvil H et Mayer R, réd. *Problèmes sociaux – Tome 1. Théories et méthodologies*. Sainte-Foy, Qc : Presses de l'Université du Québec; 2001 : 413-30.
- Ministère de la Santé et des Services sociaux (MSSS). Rapport du Groupe de travail sur le processus d'évaluation des médicaments anticancéreux. Québec, Qc : MSSS; 2011. Disponible à : <http://msssa4.msss.gouv.qc.ca/fr/document/publication.nsf/0/3465e970756b0d5485257896006b5af9?OpenDocument>.
- Mohr PE et Tunis SR. Access with evidence development: The US experience. *Pharmacoeconomics* 2010;28(2):153-62.
- Mohr P, Tunis S, Sabharwal R, Montgomery R, Bergthold L. The comparative effectiveness research landscape in the United States and its relevance to the Medicare program. Baltimore, MD : Center for Medical Technology Policy (CMTTP); 2010. Disponible à : <http://htaiced.files.wordpress.com/2011/02/cer-and-ced-in-medicare.pdf>.
- Murtagh J et Foerster V. Managing technology diffusion. Ottawa, ON : Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH); 2009. Disponible à : http://www.cadth.ca/media/policy_forum_section/Managing_Technology_Diffusion_e.pdf.
- NICE Citizens Council. "Only in research". Londres, Angleterre : NICE; 2007. Disponible à : <http://www.nice.org.uk/media/129/29/OIRReport300407.pdf>.
- Ombudsman Ontario. Rapport annuel 2009-2010. Toronto, ON : Ombudsman Ontario; 2010. Disponible à : <http://www.ombudsman.on.ca/Ombudsman/files/ef/ef4d0d8b-f9d1-4f6c-ae2c-dca18d10e307.pdf>.
- Organisation mondiale de la santé (OMS). Medical devices: managing the mismatch: An outcome of the priority medical devices project. Genève, Suisse : OMS; 2010. Disponible à : http://whqlibdoc.who.int/publications/2010/9789241564045_eng.pdf.
- Patrick H, Gallagher S, Czoski-Murray C, Wheeler R, Chattle M, Marlow M, et al. Usefulness of a short-term register for health technology assessment where the evidence base is poor. *Int J Technol Assess Health Care* 2010;26(1):95-101.
- Pearson SD et Bach PB. How medicare could use comparative effectiveness research in deciding on new coverage and reimbursement. *Health Aff (Millwood)* 2010;29(10):1796-804.
- Poder TG, Bellemare C, Bédard SK, He J, Lemieux R. New design of care: Assessment of an interdisciplinary orthopaedic clinic with a pivot nurse in the province of Quebec. *Orthop Nurs* 2010;29(6):381-9.
- Raab GG et Parr DH. From medical invention to clinical practice: The reimbursement challenge facing new device procedures and technology—Part 1: Issues in medical device assessment. *J Am Coll Radiol* 2006;3(9):694-702.

- Ramsey SD et Sullivan SD. Evidence, economics, and emphysema: Medicare's long journey with lung volume reduction surgery. *Health Aff (Millwood)* 2005;24(1):55-66.
- Redberg RF et Walsh J. Pay now, benefits may follow—The case of cardiac computed tomographic angiography. *N Engl J Med* 2008;359(22):2309-11.
- Reed SD, Shea AM, Schulman KA. Economic implications of potential changes to regulatory and reimbursement policies for medical devices. *J Gen Intern Med* 2008;23(Suppl 1):50-6.
- Ridde V et Dagenais C. *Approches et pratiques en évaluation de programme*. Montréal, Qc : Presses de l'Université de Montréal; 2009.
- Seidenfeld J et Aubry W. How the Institute of Medicine report on comparative effectiveness research will impact imaging research and practice. *Imaging Med* 2010;2(3):357-61.
- Stafinski T, McCabe CJ, Menon D. Funding the unfundable: Mechanisms for managing uncertainty in decisions on the introduction of new and innovative technologies into healthcare systems. *Pharmacoeconomics* 2010;28(2):113-42.
- Trbovich PL, Jeon J, Easty A. *Smart medication delivery systems: Infusion pumps*. Toronto, ON : Healthcare Human Factors Group (HHFG), Centre for Global eHealth Innovation, University Health Network; 2009. Disponible à : http://www.ehealthinnovation.org/files/SmartMedicationDeliverySystems_FullReport.pdf.
- Trueman P, Grainger DL, Downs KE. Coverage with Evidence Development: Applications and issues. *Int J Technol Assess Health Care* 2010;26(1):79-85.
- Tunis SR et Pearson SD. Coverage options for promising technologies: Medicare's 'coverage with evidence development'. *Health Aff (Millwood)* 2006;25(5):1218-30.
- UETMIS CHU Sainte-Justine. *Évaluation de l'implantation de pompes à insuline chez les enfants et les adolescents atteints de diabète de type 1*. Montréal, Qc : UETMIS CHU Sainte-Justine; 2011. Disponible à : <http://www.chu-sainte-justine.org/documents/Pro/Pompes%20à%20insuline.pdf>.
- Unités d'évaluation des technologies et des modes d'intervention en santé et services sociaux (UETMISSS). *Guide méthodologique pour l'évaluation des technologies et modes d'intervention en santé et services sociaux à l'IRD PQ*. Québec, Qc : Institut de réadaptation en déficience physique de Québec (IRD PQ); 2011. Disponible à : http://www.irdpq.qc.ca/communication/publications/documents_disponibles.html.
- Varela Lema L, Ruano Ravina A, Cerdá Mota T. Observation of health technologies after their introduction into clinical practice: A systematic review on data collection instruments. *J Eval Clin Pract* 2011 [Epub ahead of print].
- Whicher DM, Chalkidou K, Dhalla IA, Levin L, Tunis S. Comparative effectiveness research in Ontario, Canada: Producing relevant and timely information for health care decision makers. *Milbank Q* 2009;87(3):585-606.