



# *Catherine Beauchemin*

« Intégration des mesures intermédiaires de survie  
dans les évaluations économiques  
en cancer du sein métastatique »

**Jeudi, le 16 juin 2016  
À 10h00 – Salle S1-131  
Pavillon Jean-Coutu**

## **Jury de thèse**

**Président-rapporteur : Isabelle Chabot**

**Directeur : Jean Lachaine**

**Membre du jury : Jean-Éric Tarride**

**Examineur externe : Helen-Maria Vasiliadis**

**Représentant du doyen de la FESP : À déterminer**

## Résumé

De nos jours, il est de plus en plus fréquent de recourir à des mesures intermédiaires d'efficacité telles que la survie sans progression (SSP) et le temps avant la progression de la tumeur (TPT) afin d'estimer l'efficacité d'un nouvel agent anticancéreux. Cependant, l'absence de mesures finales comme la survie globale (SG) complexifie la prise de décision par rapport au remboursement des nouveaux traitements anticancéreux. Ainsi, cette thèse se concentre sur différents aspects de l'intégration des mesures intermédiaires d'efficacité dans les évaluations économiques en oncologie, spécifiquement en cancer du sein métastatique.

Une première étude a évalué la relation entre la SSP/TPT et la SG dans le contexte du cancer du sein métastatique. Une revue systématique de la littérature a identifié les études cliniques randomisées portant sur l'efficacité d'un traitement anticancéreux chez les femmes atteintes d'un cancer du sein métastatique et rapportant des données de SSP/TPT et de SG. Les résultats de cette étude ont démontré qu'il existe une relation statistiquement significative, d'une part, entre la SSP/TPT médiane et la SG médiane ( $r = 0.428$ ;  $p \leq 0,01$ ), et d'autre part, entre l'effet de traitement sur la SSP/TPT et l'effet de traitement sur la SG ( $r = 0.427$ ;  $p \leq 0,01$ ). Selon les résultats obtenus, la SSP/TPT pourrait être considérée comme un substitut valide de la SG, justifiant ainsi son utilisation dans les évaluations économiques en cancer du sein métastatique.

Une deuxième étude a évalué l'utilisation des mesures intermédiaires de survie dans les évaluations économiques en cancer avancé et identifié les méthodes utilisées pour intégrer ces mesures en l'absence de données de SG. Une revue systématique de la littérature a été réalisée pour recenser les évaluations économiques de type coût-efficacité et coût-utilité ayant intégré des mesures intermédiaires de survie. Cette étude a démontré l'ampleur de l'utilisation des mesures intermédiaires de survie dans les évaluations économiques en cancer avancé. Par ailleurs, plusieurs approches ont été identifiées pour pallier l'absence de données de SG, notamment l'utilisation d'un risque de décès post-progression équivalent pour les groupes à l'étude, le recours à des comparaisons indirectes basées sur de nombreuses hypothèses, l'utilisation d'une mesure intermédiaire comme proxy de la SG, le recours à l'opinion d'experts et l'utilisation de données associées à un traitement différent ou une ligne de traitement différente.

Enfin, une troisième étude s'est penchée sur le développement d'un modèle pharmacoéconomique générique canadien intégrant les mesures intermédiaires de survie en cancer du sein métastatique. Ce modèle de Markov inclut des paramètres spécifiques aux traitements sous évaluations (coût de traitement, données de survie et incidence des effets indésirables) de même que des paramètres globaux qui ne dépendent pas des traitements évalués (caractéristiques des patientes, valeurs d'utilité associées aux états de santé du modèle, pertes d'utilité et coûts des effets indésirables, coûts d'administration des traitements, coûts de suivi médical et coûts des soins prodigués en fin de vie). Le modèle a été validé en évaluant sa capacité à répliquer des résultats d'études existantes. Ce modèle permet d'uniformiser l'évaluation économique des nouveaux traitements en cancer du sein métastatique et pourrait par conséquent, devenir un outil d'aide à la décision de référence pour les organismes responsables du remboursement des médicaments au Canada.

Bref, les résultats de ces trois études répondent à une problématique importante dans l'évaluation économique des traitements en oncologie et pourront contribuer à faciliter la prise de décision en santé.

## Publications durant le doctorat

**Beauchemin C**, Letarte N, Mathurin K, Yelle L, Lachaine J. *A global economic model to assess the cost-effectiveness of new treatments for advanced breast cancer in Canada*. J Med Econ. 2016;19(6):619-29. (Article publié)

**Beauchemin C**, Lapierre ME, Letarte N, Yelle L, Lachaine J. *Use of Intermediate Endpoints in the Economic Evaluation of New Treatments for Advanced Cancer and Methods Adopted When Suitable Overall Survival Data are Not Available*. PharmacoEconomics. 2016. (Article publié)

**Beauchemin C**, Cooper D, Lapierre ME, Yelle L, Lachaine J. *Progression-free survival as a potential surrogate for overall survival in metastatic breast cancer*. Onco Targets Ther. 2014;7:1101-10. (Article publié)

**Beauchemin C**, Letarte N, Mathurin K, Yelle L, Lachaine J. *A global economic model to assess the cost-effectiveness of new treatments for advanced breast cancer in Canada*. Value in Health. 2016. (Présentation par affiche dans le cadre du 21<sup>e</sup> congrès annuel de l'« *International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)* », 24 mai 2016)

**Beauchemin C**, Lapierre M, Letarte N, Yelle L, Lachaine J. *How To Conduct Economic Evaluations Of New Treatments For Advanced Cancer When Overall Survival Data Are Not Available? Results From A Systematic Literature Review*. Value in Health. 2015;18(7):A682. (Présentation par affiche dans le cadre du 18<sup>e</sup> congrès européen de l'« *International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)* », 11 novembre 2015)

**Beauchemin C**, Cooper D, Lapierre ME, Yelle L, Lachaine J. *Progression-free survival as a surrogate for overall survival in metastatic breast cancer*. Annals of Oncology. 2012;23(9) : ix116-ix143. (Présentation par affiche dans le cadre du congrès « *European Society for Medical Oncology (ESMO)* », 28 septembre 2012)

**Beauchemin C**, Cooper D, Lachaine J. *Use of surrogate measures of survival in economic evaluations of metastatic breast cancer treatments*. Value in Health. 2011;14 (7):A469. (Présentation par affiche dans le cadre du 14<sup>e</sup> congrès européen de l'« *International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR)* », 8 novembre 2011)

**Beauchemin C**, Cooper D, Lachaine J. *Intégration des mesures intermédiaires de survie dans les évaluations économiques en cancer du sein*. Journal of Population Therapeutics and Clinical Pharmacology. 2011 ;18(2): e275-e314. (Présentation par affiche dans le cadre du 7<sup>e</sup> colloque annuel du Réseau Québécois de Recherche sur l'Usage des Médicaments (RQRUM), 1<sup>er</sup> juin 2011)