

# HAR PATIENTEN RÄTT ATT VÄLJA?

**En förväntat fortsatt hög innovationstakt i sjukvården i kombination med ekonomiska restriktioner gör det angeläget att diskutera behovet av prioriteringar och nya former för utvärdering och finansiering av nya behandlingsmetoder. För att illustrera dagens och framtidens utmaningar har ett antal exempel på aktuella beslutsproblem hämtats från urologin.**

I artikeln på föregående sidor i detta nummer av Läkartidningen har vi visat att läkemedelskostnaderna inom urologin har ökat kraftigt under senare år, delvis som en följd av introduktionen av nya läkemedel. Då det medicinska värdet av dessa behandlingar i relation till alternativa metoder är osäkert kommer läkaren ofta i ett dilemma. Besparingar i sjukvården och planerade förändringar i finansieringen av läkemedel skärper kravet på prioriteringar.

## Rätt att välja en likvärdig men dyrare behandlingsmetod?

Metastaserad prostatacancer och symtomgivande lokaliserad prostatacancer hos män äldre än ca 70 år behandlas vanligen hormonellt. Många studier visar att farmakologisk kastration med läkemedel (GnRH-analoger) och kirurgisk kastration (orkektomi) har en likvärdig medicinsk effekt. Det gäller både typ och omfattning av biefekter och effekt på tumören.

Kostnaden för en orkektomi uppgår till mellan 7 000 och 15 000 kronor, vil-

ket motsvarar läkemedelskostnaden för mellan fem och tio månaders GnRH-medicinering. Eftersom medelöverlevnaden vid skelettmetastaser är ca 21 månader blir den farmakologiska behandlingen, om den pågår livet ut, mellan två och fyra gånger så dyr för samhället. Fördyringen blir mycket högre för lokaliserade tumörer eller patienter med enbart lymfkörtelmetastaser där överlevnaden oftast är mellan fem och femton år [1].

Ett argument för att välja ett förväntat dyrare alternativ är att patienten uttryckt önskemål om att få just denna behandling. Vilken behandling föredrar då patienterna? Wijma och medarbetare [2] gav patienterna en standardiserad, neutral information och lät dem välja mellan farmakologisk och kirurgisk kastration. Hälften av patienterna valde den ena metoden och hälften den andra.

Läkemedelsutgiften för hormonell behandling vid prostatacancer varierar med en faktor 2,8 i olika delar av landet. Variationen beror antagligen bara till en liten del på olika värderingar hos patienterna. En viktigare förklaring är skillnader i uppfattning hos enskilda läkare, liksom olikheter i de vårdprogram som styr behandlingsvalet. Wijma och medarbetare inkluderade inte ekonomiska faktorer i informationen till patienterna i sin studie. Gör man det – eller helt enkelt säger att kirurgisk kastration förordas för att den är lika bra och billigare – accepterar antagligen de flesta patienterna att genomgå detta ingrepp.

Försäljningen av läkemedel för behandling av prostatacancer har ökat med 77 miljoner från 1992 till 1995. Till största delen beror denna ökning på att man börjat använda GnRH-preparat i stället för orkektomi. En annan faktor som ytterligare kan öka läkemedelskostnaderna dramatiskt är ett ökat intresse för total androgen blockad, dvs tillägg av antiandrogen till kastration. Nya data har, till skillnad från tidigare studier, visat att total androgen blockad förlänger tiden till progress jämfört med enbart kastration, åtminstone för patienter med liten tumörbörda [3].

Årskostnaden för tillägg av antiandrogen är ca 19 000 kr, för antiandrogen i kombination med GnRH-preparat



## SERIE Hälsoekonomi

ca 36 000 kr. Eftersom värdet av total androgen blockad är begränsat jämfört med enkel kastration kan man ifrågasätta om den extra patientnyttan står i rimlig proportion till merkostnaden.

Ytterst handlar ökade läkemedelskostnader för en patientgrupp om att resurser tas från en annan grupp. I vilken utsträckning skall patienternas egna önskemål få styra valet när detta leder till ökade kostnader och krav på omfördelning av resurser? Bör man i stället överväga att låta patienterna själva betala en del av mellanskillnaden när det finns ett val mellan medicinskt likvärdiga alternativ? Ett sådant system finns redan för synonympreparat när fabrikanterna tillämpar olika prissättning.

Det faktum att kostnader för läkemedel, som till skillnad från operationer förskrivs i öppen vård, finansieras av en annan budget (sjukförsäkringens) än den egna klinikens, kan spela roll för urologens ställningstagande. I en situation med ansträngd sjukvårdsekonomi kan besparingar lokalt prioriteras framför samhällsekonomisk effektivitet. Om sjukvården som helhet skall fungera rationellt krävs därför samordning av kostnaderna för läkemedel och annan behandling.

## Var går gränsen för samhällets åtagande?

Ett annat dilemma inom urologin gäller den kraftigt ökade användningen av alprostadil (Caverject), som fördubblades mellan 1994 och 1995. Medlet, som används för behandling av erektionssvikt, försäljs i engångssprutor. Patienten lär sig injicera läkemedlet i svällkroppen och får en temporär erektion. Behandlingen betraktas som ett genombrott för patienter med erektionssvikt.

Användningen av detta läkemedel

## Författare

PER CARLSSON

docent, Centrum för utvärdering av medicinsk teknologi, Universitetet i Linköping, och Socialstyrelsen, Stockholm

ANDERS SPÅNGBERG

med dr, biträdande överläkare, urologiska kliniken, Universitetssjukhuset, Linköping.

skiljer sig åt i olika delar av landet. Försäljningsvärdet i olika län utslaget per 10 000 män äldre än 45 år under 1995 varierar mellan ca 125 000 kronor på Gotland och ca 360 000 kronor i Malmöhus län.

Hur efterfrågan kommer att utvecklas under kommande år är svårt att bedöma. Ökningen kommer sannolikt att fortsätta. Preparatet är effektivt för sitt syfte, men reser frågan om det är rimligt att nästan hela kostnaden finansieras med skattemedel. Endast ett fåtal patienter är unga med klar kärleksjukdom, hormonell rubbning eller neurologisk sjukdom. Majoriteten är över 60 år, många över 70 år, och genesen är oftast multifaktoriella åldersförändringar vilka är svåra att påvisa.

Var går gränsen för hälso- och sjukvårdens åtagande? Om denna typ av behandling betraktas som sjukvård, hur skall användningen ransoneras? Finns det andra metoder än ekonomiska som urologer/allmänläkare kan utnyttja? Hur garanteras en rättvis tillgång till sjukvård när ökade läkemedelskostnader tenderar att tränga ut andra insatser? [4]

### **Högeffektiv högriskbehandling – lågeffektiv lågriskbehandling?**

Vid behandling av benign prostatahyperplasi (BPH) är ett stort problem för beslutsfattare att information om de nya metodernas totala kostnader på lång sikt saknas, medan de är dokumenterade för transuretral prostataresektion (TURP) [5]. Livstidskostnaden för respektive alternativ känner vi inte till idag, men den kan bli mycket hög för alternativ som har hög frekvens ombehandling. Trots osäkerhet om framtida kostnader och effekter, och trots bristen på kortsiktiga hälsoekonomiska utvärderingar, har användningen av både läkemedel och låginvasiva kirurgiska procedurer ökat snabbt i Sverige. Det finns praxisskillnader mellan olika länder; alfablockerare används t ex mindre än finasterid i Sverige. I flera andra länder är förhållandet det omvända. Spridningen av mikrovågsbehandling har varit snabbare i Sverige än i andra länder, vilket avspeglas i antalet inköpta apparater. Sjukvårdsstatistik visar att användningen redan håller på att minska.

Osäkerheten om nyttan av läkemedelsbehandling kan avläsas i form av betydande skillnader i kostnader mellan olika län med en faktor 3,5. Dessa skillnader avspeglar sannolikt en effekt av olika syn på värdet av behandling över huvud taget, liksom olika syn på läkemedel och andra låginvasiva metoder. Introduktionen av läkemedel till behandlingen av BPH har inneburit att allmänläkarna blivit en ny aktör som påverkar kostnaderna. Avsaknaden av såväl enhetliga diagnostiska kriterier som

tillförlitliga diagnosmetoder vid BPH ökar svårigheterna att skapa en enhetlig praxis på området.

Införande av nya metoder med lägre risk och lägre kostnad brukar leda till att fler patienter behandlas på grund av vidgade indikationer. Inte sällan resulterar detta i högre kostnader, vilket nu sker för BPH. Vinsten är ett ökat välbefinnande för patienterna. Mycket sällan vet vi om kostnaden för de tillkommande patienterna är rimlig i förhållande till det ökade välbefinnandet. För att klarlägga detta vid olika BPH-behandlingar krävs fler jämförande studier som följer patienterna under lång tid.

### **Vilken behandlingsmetod är mest kostnadseffektiv?**

Vilka av de nya metoderna som kommer att visa sig vara kostnadseffektiva är det svårt att med säkerhet uttala sig om. Inte heller är det möjligt att bedöma hur många innovationer som står för dörren. Vissa mönster i de senaste årens utveckling kan vi dock se. Inga läkemedel med principiellt nya egenskaper är under introducering. Ett flertal preparat med huvudsaklig effekt på det hormonella systemet håller på att avföras på grund av oacceptabla biverkningar. Intresset för olika typer av växtextrakt och andra sk naturläkemedel är fortfarande stort i övriga Europa. Ett ökat intresse för vetenskapliga utvärderingar hos företagen kan på lite längre sikt leda till en ökad uppmärksamhet på dessa preparat och eventuellt bidra till en ökad användning även i Sverige.

Användningen av finasterid och alfablockerare kan komma att påverkas av resultatet i långtidsuppföljningar. Det är mycket angeläget att företagsberoende sådana kommer till stånd. Kunskapen ökar nu snabbt om mekanismerna bakom och effekterna av olika alfablockerare. Detta kan resultera i preparat med mer selektiv effekt på urinvägarna. Härigenom förmodas biverkningarna kunna nedbringas.

En anhopning av nya tekniker, ibland med små skillnader, försvårar organisering av gemensamma systematiska studier, på grund av att metoderna ibland är dåligt definierade och spridda på många individer. Metoderna skiljer sig åt avseende biverkningar, behandlingskostnader och effekt. För urologerna handlar det om att väga kostnader mot behandlingseffekt för olika typer av patienter med olika grad av obstruktion eller symtom i nedre urinvägarna. Utvärderingar som startas är ofta så små att de inte ger underlag för säkra bedömningar. Många är dessutom okontrollerade. Situationen inom vården av BPH ställer extra stora krav på forskarna att söka samarbete för att koordinera utvärderingar inom landet. Utöver ut-

värderingar av korttidsresultat behöver kostnadseffektivitet studeras under minst fem till tio år efter ingreppet/behandlingen.

### **Ombehandlingar**

En väsentlig kostnad för de olika behandlingsmetoderna som hittills inte berörts är den som uppstår på grund av ombehandlingar. Man kan misstänka att metoder med låg effektivitet oftare kommer att fordra ny behandling med samma, eller sannolikt oftast annan, metod. Förutom den ökade kostnaden har patienten då kanske också levt ett antal år med endast partiell förbättring av sina symtom.

Många av de nya metoderna har begränsad effektivitet, och det behövs stora studier för att skilja denna från placeboeffekten. Om man liberalt använder billiga lågeffektiva metoder till patienter med lindriga besvär kan man misstänka att många personer som egentligen inte behövt någon behandling consumerar sjukvårdsresurser. Detta är en faktor som negativt påverkar kostnadseffektiviteten för dessa metoder. För att lågeffektiva metoder skall göra nytta till rimlig kostnad fordras alltså att man i förväg med relativt stor säkerhet kan identifiera de patienter det kommer att gå bra för även utan behandling, samt dem som behöver behandling med en högeffektiv metod. För BPH utan urinretention kommer det inte att finnas sådana kriterier inom den närmaste framtiden. Irrationella faktorer kommer då delvis att bestämma vilka patienter som inte behandlas, vilka som opereras och vilka som behandlas med alternativa metoder.

Är det bättre att en patient behandlas med en billig, nästan riskfri metod och blir partiellt förbättrad än att han behandlas med en dyr metod med högre risk men samtidigt större chans att bli helt botad?

Denna fråga är nästan omöjlig att besvara, och svaret beror förstås på hur stora skillnaderna är i effektivitet, risker och kostnad. Antagligen är inte behandlande läkare, dvs urologer och kirurger, bäst skickade att göra denna bedömning, utan man bör genomföra stora studier där patienterna t ex får ange hur mycket de skulle kunna tänka sig att betala för att uppnå symtomlindring och livskvalitetsförbättring och undvika komplikationer eller obehag i samband med behandlingen. Vidare bör man utveckla informationen till patienten för att förbättra dennes förutsättningar att medverka i behandlingsbeslutet.

### **Gränsdragning mellan forskning och rutinsjukvård**

Till skillnad från de flesta typer av marknader utmärks sjukvården av att en

nyckelgrupp som styr konsumtionen, läkarna, själva är involverade i utveckling av nya metoder både som innovatörer och bärare av nya idéer. Härigenom kan det uppstå intressekonflikter som hindrar genomförandet av allsidiga utvärderingar.

För att tillförsäkra sjukvården en fortsatt hög utvecklingstakt måste individuella avvikelser och utprövning av metoder med osäker nytta accepteras. Men i tider med förhållandevis stora sparbetning i sjukvården och en fortsatt volymminskning bör gränsen mellan forskning/utvärdering och rutinsjukvård tydliggöras. Den medicinska professionen måste mer explicit bestämma när en ny metod skall anses etablerad. Endast i undantagsfall bör detta ske utan studier som visar att metoden är kostnadseffektiv i förhållande till existerande metoder. Så länge vetenskapliga bevis och en bred enighet saknas om en metods patientnytta i förhållande till dess kostnader vid rutinmässig användning bör verksamheten betraktas som experimentell.

Hur »överföringen» från experiment till etablering av en metod skall ske i praktiken för läkemedel respektive procedurer är svårt att avgöra. I stor utsträckning måste denna gränslinje utformas lokalt mellan sjukvårdens producenter och finansiärer/beställare på basis av nationella utvärderingar och rekommendationer.

Landstingens beställarnämnder eller motsvarande finansiärrepresentanter borde i samråd med den medicinska professionen kunna formulera krav på resultatbeskrivningar och adekvata beslutsunderlag inför beslut som rör införandet av nya metoder.

### **Brist på samhällsrelevanta utvärderingar**

Användningen av icke etablerade metoder skall dokumenteras, helst inom ramen för randomiserade kliniska studier. Detta är inget nytt, så här fungerar det väl redan inom sjukvården? Tyvärr är allsidiga utvärderingar fortfarande ytterst sällsynta. En alltför stor andel av den sk kliniska forskningen ägnas åt läkemedelsprövningar i vilka nya preparat studeras under extraordinära förhållanden på starkt selekterade patientgrupper. Inte sällan syftar studierna till att försöka klarlägga relativt marginella skillnader i effekt.

Denna typ av forskning leder säkert till intressanta resultat ur ett begränsat medicinskt biologiskt perspektiv. Från policysynpunkt är studier av medicinska metoder i rutinmässig användning av större intresse. Dessa bör kombineras med någon typ av rutinmässig uppföljning av hela patientgrupper. Detta sker företrädesvis genom registerstudier,

t ex i nationella kvalitetsregister. Ett sådant diskuteras för uppföljning av patienter med BPH. Ytterligare register eller nationella uppföljningsstudier som diskuteras inom urologi avser blåscancer, prostatacancer och njursten.

### **Hinder för rationell användning av nya metoder**

Utvecklingen av strukturerade och datorlagrade patientjournaler inom sjukhusen är i det långa loppet ett villkor för att de stora informationsmängder som erfordras skall kunna hanteras. I avvaktan på att dessa system finns i praktiken är det viktigt att utforma modellsystem och ena sig om kriterier och termer inom olika specialiteter.

Ett stort hinder för prioriteringsarbetet i sjukvården är bristen på relevant information om kostnader och effekter av olika insatser. Ett annat hinder är bristen på personer som har tid och kunskap att genomföra allsidiga utvärderingar. Ett tredje problem är bristen på finansiella resurser för att genomföra samhällsekonomiskt relevanta studier. En dominerande finansiär av såväl utvärderingar som klinisk forskning är läkemedelsindustrin, som härigenom i hög grad styr kunskapsutveckling och forskningsprioriteringar. Ett fjärde problem är bristen på uthållighet hos dem som uppdrar åt forskarna att göra utvärderingar. Utvärderingar kan bli ointressanta när de är dåligt integrerade i de beslutsprocesser som berör fördelningen av resurser i hälso- och sjukvården.

### **Förslag till åtgärder**

Följande konkreta åtgärder föreslås för att bygga upp en infrastruktur för uppföljning och utvärdering:

1. Regionala utvärderingsenheter tillskapas. De bör ge stöd till lokala projekt och delta i nationella och internationella utvärderingar. Detta förslag har framförts tidigare i en utvärdering av Statens beredning för medicinsk utvärdering (SBU), men ännu inte realiserats [6]. Förutom att medverka i utvärderingar bör regionala enheter t ex utveckla en god kompetens på att sammanställa och sprida de resultat som finns i internationella faktadatabaser. Vidare kan de spela en viktig roll vid det praktiska genomförandet av de nationella rekommendationer som bland andra SBU och Socialstyrelsen producerar.

2. Antalet utvärderare bör ökas. För detta krävs att kliniskt verksamma läkare, övrig vårdpersonal, sjukvårdsekonomer m fl erbjuds utbildning i klinisk forskning och utvärderingsmetodik. Samtidigt bör man kräva av all sjukvårdspersonal att de utför kvalitetsarbete genom att i sitt dagliga arbete beakta resursavvägningar.

3. Staten, tillsammans med lands-

tingen, bör ekonomiskt stödja uppbyggnaden av nationella kvalitetsregister för kvalitetssäkring och resultatjämförelser inom landet. Registeransvaret bör åligga respektive professionell grupp som omfattas av ett sådant register [7].

4. Med tanke på såväl den risk som finns för snedvridning mot företagsintressen som bristen på medel för utvärdering av andra teknologier än dem som berör läkemedel bör en eller flera fonder bildas som stödjer samhällsrelevanta utvärderingsprojekt inom hälso- och sjukvård. Fonden bör finansieras av staten, landstingen och den biomedicinska industrin.

### **Referenser**

1. Varenhorst E, Carlsson P, Pedersen K. Clinical and economic consideration in treatment of prostate cancer. *PharmacoEconomics* 1994; 6: 127-41.
2. Wijma K, Varenhorst E, Hjertberg H, Elfving P, Lundgren R, Norming U et al. Studie om prostatacancer. Patienten kan få bestämma själv: medicinsk eller kirurgisk behandling. *Läkartidningen* 1992; 89: 1659-61.
3. Janknegt RA, Abbou CC, Bartoletti R, Bernstein-Hahn L, Bracken B, Brisset JM et al. Orchiectomy and nilutamid or placebo as treatment of prostatic cancer in a multinational double-blind randomised trial. *J Urol* 1993; 149: 77-83.
4. Socialdepartementet. Vårdens svåra val. Slutbetänkande av prioriteringsutredningen. SOU 1995:5.
5. Ahlstrand C, Carlsson P, Jönsson B. An estimate of life-time cost of surgical treatment of patients with benign prostatic hyperplasia in Sweden. *Scand J Urol Nephrol* 1996; 30: 37-43.
6. Socialdepartementet. Utvärdering av SBU, Statens beredning för utvärdering av medicinsk metodik. Slutbetänkande av SBU-kommittén. SOU 1991:6.
7. Garpenby P, Carlsson P. Nationella kvalitetsregister inom hälso- och sjukvården – en uppföljande studie. Linköping: Linköpings universitet, 1996. CMT Rapport 1996:7.

*Se även medicinsk kommentar i detta nummer.*