

Hälsoekonomisk utvärdering vid rekommendation av läkemedel

Även vid terapirekommendationer är det angeläget att avväga kostnader och effekter, eftersom kunskap om behandlingars hälsoekonomiska konsekvenser innebär ökad möjlighet att använda vårdens begränsade resurser på bästa möjliga sätt. Dessa aspekter förbigicks i Läkartidningens intervjuserie om läkemedel i nr 9/02, varför det finns anledning att uppmärksamma dem här.

STEFAN JENDTEG
fil kand (*sj@ihe.se*)

ULF PERSSON
fil lic

ANDERS ANELL
docent; samtliga projektledare vid IHE,
Institutet för hälso- och sjukvårdseko-
nomi, Lund

II Terapirekommendationer avser beslut om hur många individer som bör behandlas och anger vilka kriterier som ska vara uppfyllda, exempelvis vilken kombination av riskfaktorer som individerna ska ha för att ingå i behandlingspopulationen.

Rekommendationerna avser ofta stora populationer vilket innebär att de hälsoekonomiska konsekvenserna, och därmed konsekvenserna för sjukvårdsbudgeten, kan vara betydande.

Det innebär att dessa beslut skiljer sig från beslut om godkännande och registrering respektive pris och subventionering. Vid godkännande är det randomiserade kliniska prövningar med strikta inklusionskriterier som är norm. Viktigt här är att nå hög intern validitet för att vara säker på att det är en effektiv och säker ny substans. Vid beslut om pris och subventionering behövs hälsoekonomisk information om bästa alternativa terapi, om resursförbrukning och hälsoeffekter i normalsituationer, och förväntningar om efterfrågan på läkemedlet för att bedöma kostnadseffektivitet och budgetpåverkan. Gemensamt för besluten är att de tas tidigt i läkemedlets livscykel och att kunskapen om långsiktiga konsekvenser och effekter för normalbefolkningen är begränsad.

Besluten om behandlingsriktlinjer har ofta bättre förutsättningar eftersom de kan fattas senare och kan baseras på erfarenhet från förskrivning i förhållanden som inte är ideala, samt med möjlighet att få kunskap om långsiktiga konsekvenser. Vad betyder då detta för möjligheterna att använda hälsoekonomiska

studier? Ska vi kräva olika typer av analyser för olika användningsområden?

Hälsoekonomisk utvärdering en process

Beslut om pris och subvention måste ske inom 180 dagar efter registrering enligt EUs transparensdirektiv. Det ställer krav på hälsoekonomisk information som lämpligen kan genereras med modellanalys. Sådana studier kan inkludera jämförelse med bästa tillgängliga terapi i en naturalistisk situation, och de kan också visa förväntade långsiktiga konsekvenser. Resultat från kortsiktiga randomiserade interventioner kan kombineras med kliniska data från långsiktiga kohortstudier, journalstudier och kostnadsberäkningar i en kostnad-effektmodell. I denna simuleras antaganden om följsamhet, terapibyte och symptomvariation, och såväl använda data som antaganden och modellkonstruktion kvalitetsäkras av en medicinsk expertpanel. Detta är ofta så långt man kan komma i kunskap om hälsoekonomiska konsekvenser vid tidpunkten för beslut. Ofta är information från långsiktiga naturalistiska randomiserade kliniska studier inte tillgänglig förrän flera år efter det att det nya läkemedlet tagits i kliniskt bruk.

Hälsoekonomisk modellanalys i tidiga skeden av ett läkemedels livscykel är en accepterad metod för ekonomisk utvärdering av exempelvis långsiktig prevention av komplikationer. Flera analyser har även använts för att besvara frågor om vilka kostnader och hälsoeffekter som kan väntas av ändrade vårdprogram eller riktlinjer för intervention.

Exemplet statiner är belysande: Från sent 1980-tal och långt in på 1990-talet fanns bara modellstudier för att belysa de ekonomiska konsekvenserna av statinbehandling. Först 1994 publicerades 4S-studien med långtidsuppföljning av hjärt-kärlsjukdom. Vid American Heart Association's möte 1995 presenterades den första ekonomiska analysen baserad på resultat från 4S. Ungefär samtidigt publicerades ekonomiska studier av mer

naturalistisk karaktär som visade hur följsamhet, behandlingskostnader, effekter på kolesterolnivåer och biverkningar utvecklades under ett år i en normalpopulation som samtidigt lider av andra besvär och som själva får betala för sin medicinering, se till exempel Oster och medarbetare [1]. Ingen av dessa studier – modellanalyser, långsiktiga uppföljningar baserade på kliniska prövningar eller naturalistiska uppföljningar – ger ensam en fullständig bild av en terapirapids kostnadseffektivitet. Alla tillför dock varsin pusselbit och tillsammans ger de en relativt god bild av terapins värde. Hälsoekonomisk utvärdering ska därför betraktas som en process, där nya studier successivt förtydligar läkemedlens roll som behandlingalternativ.

Hälsoekonomi vid rekommendationer

Antalet utvärderingar ökade kraftigt under 1990-talet, och i databaser som Health Economics Evaluations Database (<http://www.ohe.org/HEED.htm>) finns idag omkring 23 500 referenser. En enkät om vilka informationskällor och kriterier som svenska läkemedelskommittéer ser som viktiga för sina rekommendationer visar att medlemmarna är intresserade av hälsoekonomiska aspekter, men kunskapen i ämnet och tillgången på relevanta utvärderingar anses fortfarande vara för dålig [2]. Svårigheterna att använda resultaten för rekommendationer på lokal nivå och att jämföra olika utvärderingar bedöms av forskarna vara barriärer mot ökad användning. På central nivå är dock förutsättningarna för att finna och tolka hälsoekonomiska studier bättre. Exempel på att detta görs finns i SBUs, Läkemedelsverkets och Socialstyrelsens publikationer.

Problem finns emellertid när resultat, inte minst från modellbaserade studier, ska förmedlas till vårdens beslutsfattare. Ofta ifrågasätts relevans, evidens och tillgänglighet, och krav ställs på mer lättberäknade hälsoekonomiska variabler som ligger närmare den kliniska vardagen [3, 4]. Liknande erfarenheter finns från England, där beslutsfattare dessutom efterlyser sammanfattande kritiska kommentarer och poängbedömning av studiers kvalitet [5]. Är detta uttryck för en önskan att slippa läsa artiklarna? Oviljan att ta till sig hälsoekonomiska studiers resultat kan bero på dålig kännedom om vad som finns tillgängligt och hur publicerade studier ska tolkas. Det

finns därför skäl för forskrivare att öka sin förståelse för de olika studier som behövs för att underlätta beslut om nya läkemedel.

Rimlig hälsoekonomisk evidens

Det skulle naturligtvis förbättra kunskapen om de ekonomiska konsekvenserna om det alltid fanns klinisk evidens från randomiserade långtidsstudier med relevanta effektmått, gärna utifrån lokala förhållanden. Att kräva detta för all hälsoekonomisk analys innebär dock betydande problem för såväl patienter och skattebetalare som för det praktiska genomförandet av studierna. Att inte behandla för att exempelvis påverka riskfaktorer, därför att terapin ännu inte studerats i randomiserade långtidsprövningar med uppföljning av relevanta effektmått, är en restriktiv hållning som skulle orsaka betydande hälsoförluster för patienter.

Att basera den hälsoekonomiska analysen på den lokala kliniska vardagen är inte alltid genomförbart, då stora studier kräver patientunderlag som ofta bara kan nås i multicenterstudier. Som exempel kan nämnas flera diabetesstudier (AHEAD, DCCT, DPP, UKPDS) med syfte att mäta effekterna av olika läkemedel eller intensifierad terapi på ett stort antal individer över lång tid. Dessa studier har varit mycket kostsamma och har huvudsakligen finansierats av amerikanska National Institutes of Health. AHEAD sägs ha kostat 160 miljoner och DPP 80 miljoner amerikanska dollar. Ingen av dessa har för övrigt studerat ett enskilt läkemedel utan inriktats på att mäta långsiktiga effekter av intensiv behandling där flera mediciner ingår.

Finns genuint intresse för hälsoekonomi?

Det finns bra och mindre bra exempel på hälsoekonomiska analyser, liksom metodologiska styrkor och svagheter. Två sätt att hantera problemen är att, som i vissa länder, utfärda formella riktlinjer för utvärderingar [6] eller att frivilligt använda av hälsoekonomer sammansatta checklistor för att bedöma olika studiers kvalitet [7]. Därutöver finns det alltid goda skäl att öka tydligheten i redovisningen av utvärderingars upplägg, genomförande och resultat.

Brister i användningen av hälsoekonomiska studiers resultat behöver inte enbart bero på analysernas utgångspunkter eller uppläggning. Det är också relevant att ställa frågan om beslutsprocesserna i sjukvården leder till ett genuint intresse för kostnadseffektivitet, eller om andra mål vägleder verksamheten. Vi vet inte hur bra eller dåligt beslutsprocesserna i svensk sjukvård fungerar, men vi vet att hälsoekonomi i en del be-

slutsunderlag snarast sätts lika med prisjämförelser. Att inte undersöka kostnadseffektiviteten innebär att man inte vet i vilken mån knappa vårdresurser används effektivt med hänsyn till hur olika behandlingar påverkar hälsa och livskvalitet [8]. Det finns skäl för läkemedelskommittéer, terapigrupper och forskrivare att öka förståelsen för de olika hälsoekonomiska studier som behövs för att underlätta beslut om nya läkemedel och nå optimal användning av vårdens resurser.

*

Potentiella bindningar eller jävsförhållanden: Inga uppgivna.

Referenser

1. Oster G, Borok GM, Menzin J, Heyse JF, Epstein RS, Quinn V, et al. Cholesterol-reduction intervention study (CRIS). A randomized trial to assess effectiveness and costs in clinical practice. *Arch Intern Med* 1990;156:731-9.
2. Anell A, Svarvar P. Pharmacoeconomic and clinical practice guidelines – A survey of attitudes in Swedish formulary committees. *Pharmacoeconomics* 2000;17:175-85.
3. Pålsson Å, Ohlsson O, Ericsson B. Forskrivaren får själv avgöra vilket preparat som är lämpligt. *Dagens Medicin* 2001;(25-33):4.
4. Ericsson B. Hälsoekonomiska studier kan bli mycket bättre. *Pharma Industry* 2001;3:50-3.
5. Hoffmann C, Stoykova BA, Nixon J, Glanville JM, Misso K, Drummond MF. Do health-care decision makers find economic evaluations useful? The findings of focus group research in UK health authorities. *Value in Health* 2002;5:71-9.
6. Hjelmgren J, Berggren F, Andersson F. Health economic guidelines - Similarities, differences and some implications. *Value in Health* 2001;4:225-50.
7. Drummond MF, Jefferson TO. Guidelines for authors and peer reviewers of economic submissions to the BMJ. *BMJ* 1996;313:275-83.
8. Kobelt G. Health economics – An introduction to economic evaluation. Second edition. London: Office of Health Economics; 2002.

Särtryck

Läkartidningen

När konsensus saknas om hur läkaren bör behandla, spelar den beprövade erfarenheten stor roll. Det 48-sidiga häftet innehåller 32 korta, praktiskt inriktade artiklar med anknytning till vårdens vardag och vänder sig till alla kliniskt verksamma läkare. Förutom diagnostik med terapi speglas goda exempel på prevention, ledningsfrågor och administration.

Priset är 45 kronor

Enligt min erfarenhet



Beställer härmed.....ex
av "Enligt min erfarenhet"

.....
namn

.....
adress

.....
postnummer

.....
postadress

Insändes till Läkartidningen
Box 5603
114 86 Stockholm

Faxnummer: 08-20 74 35

www.lakartidningen.se
under särtryck, böcker