

Samhällsekonomisk nytta bör avgöra läkemedelspris

Ny lag om läkemedelsförmåner kräver studier av hälsoekonomisk effekt

Enligt det nya regelverket för läkemedelsförmåner ska läkemedel visas vara kostnadseffektiva och ge ett nyttotillskott för att subventioneras via skatterna. Vilken inriktning Läkemedelsförmånsnämnden kommer att ha i detta arbete är oklart. Ett bra underlag för förhandlingar om pris och subventionering förutsätter att hälsoekonomiska aspekter beaktas i kliniska prövningar av läkemedel redan på ett tidigt stadium.

FREDRIK BERGGREN

fil dr i nationalekonomi, forskarassistent i hälsoekonomi, samhällsmedicinska institutionen, Universitetssjukhuset MAS, avdelningen för hälsoekonomi, Lunds universitet, Centrum för hälsoekonomi (LUCHE)
(fredrik.berggren@lu.se)

■ Med införandet av Läkemedelsförmånsnämnden sällar sig Sverige till den rad av länder som separerat det medicinska godkännandet av ett läkemedel från prissättning och subventionering. För att få underlag till pris och subventionering behövs hälsoekonomiska resultat.

Dessa resultat tas ofta fram med delvis andra studier än de som behövs för det medicinska godkännandet. Hälsoekonomiska studier bör i detta sammanhang exempelvis studera den population som behandlingen är avsedd för i den kliniska vardagen utan avgränsande inklusions- och exklusionskriterier. För att ge ett gott beslutsunderlag bör hälsoekonomiska aspekter beaktas inom ramen för kliniska utvecklingsprogram som syftar till subventionering.

Internationella krav på hälsoekonomi

För nästan tio år sedan var Australien först ut med att formalisera och ge ut riktlinjer för hur hälsoekonomiska resultat ska användas i processen för prissättning och subventionering av läkemedel. Liknande formella tillämpningar finns sedan dess även i exempelvis Kanada, Finland, Holland och Portugal samt inom olika organisationer på den fragmenterade marknaden i USA [1].

Ytterligare ett sätt att beakta hälsoekonomiska aspekter i kliniskt besluts-

fattande är de aktiviteter som National Institute of Clinical Excellence (NICE) bedriver i England. Att påverka genom rekommendationer är även målet för Statens beredning för utvärdering av medicinsk teknologi (SBU) i Sverige. NICE har dock strävat efter en tydligare roll vad gäller att påverka hälso- och sjukvårdssystemet i England beträffande behandlingsrekommendationer baserade på klinisk effekt och kostnadseffektivitet [2]. Sägans ska dock att SBU var en av förebilderna när NICE inrättades. Begreppsmässigt bör det noteras att data som beaktas av NICE syftar till att avspegla skeendet i den kliniska vardagen. Syftet är inte att beakta samma data som primärt används för det medicinska godkännandet av exempelvis ett läkemedel med dubbelblindade placebostudier med avgränsande inklusions- och exklusionskriterier.

Sverige har nu, som sagt, sällat sig till de länder som har ett regelverk som separerar det medicinska godkännandet från prissättning och subventionering av läkemedel. Det finns här en viktig skillnad, som beror på när resultaten tas fram.

Hälsoekonomiska resultat som tas fram för pris- och subventioneringsförhandlingar genereras i regel inom eller parallellt med det kliniska utvecklingsprogrammet. Att ta fram hälsoekonomiska resultat efter det att pris- och subventioneringsförhandlingar är avslutade och behandlingen har funnits tillgänglig har andra förutsättningar när det gäller forskningsmetoder. Det är i detta, det sistnämnda, sammanhang som utvärderingar utförs av exempelvis SBU och NICE.

När det gäller pris- och subventioneringsförhandlingar för nya behandlingar

tenderar tillgången till resultat att vara väsentligt mer begränsad.

Den nya lagen

Den 1 oktober 2002 trädde en ny lag i kraft om ett nytt regelverk för läkemedelsförmånerna [3]. Det som är nytt är att det formaliseras att ett läkemedel måste kunna påvisas vara kostnadseffektivt för att få ingå bland läkemedelsförmånerna och för att subventioneras via skatterna.

Den nya lagen ersätter den tidigare situationen med att godkända och receptbelagda läkemedel regelmässigt subventioneras. Fortfarande utgör människovärde, behov och solidaritet enligt Hälso- och sjukvårdslagen de grundläggande utgångspunkterna för att ett läkemedel ska ingå i läkemedelsförmånen. Förändringen är att det nya läkemedlet ska ge ett nyttotillskott och vara kostnadseffektivt. I nämndens uppgift ingår även att gå igenom alla befintliga läkemedel.

Det nya regelverket innebär vidare att ett läkemedel som skrivits ut av en läkare kan bytas ut mot det billigaste alternativet, baserat på Läkemedelverkets rekommendationer. Undantag kan ges av medicinska skäl. Patienten kan också själv betala prisskillnaden mellan vad som förskrivits och det billigaste alternativet. Lagstiftningen avser ytterst att kunna påverka både vilka läkemedel som finns tillgängliga för allmänheten och vilket av dessa som patienten får i sin hand på apoteket. Begrepp som nyttotillskott och kostnadseffektivitet hör i dessa sammanhang ihop med beslut som rör fördelning av resurser.

Bakgrunden till denna nya ordning är att pengar som avsätts till hälso- och sjukvården ska användas effektivt så att samhället får ut mesta möjliga vård för pengarna och att angelägna vårdbehov kan tillfredsställas utan att behöva skjutas på framtiden.

Samhällsekonomiskt fokus önskvärt

Vilket fokus kommer Läkemedelsförmånsnämnden att hålla? Det är teoretiskt riktigt och många gånger önskvärt att se på saken i ett samhällsekonomiskt perspektiv, där alla kostnader beaktas, oavsett vem som bär dem, samt att produk-

tivitetsförluster på grund av ohälsa räknas in i kalkylen [4]. Ett alternativ är att bara kostnader för hälso- och sjukvårdssektorn beaktas. Detta innebär att man inte tar hänsyn till kostnader som drabbar patienten i samband med ohälsa eller under sjukdomstiden. Detta är en klar begränsning, men samtidigt kan det vara svårt nog i budgetsytem som är »silobetonade« att ta till sig även denna typ av resultat. Det värsta alternativet är det som är rena jämförelser med prislister. Införandet av Läkemedelsförmånsnämnden kan rimligen ses som ett medel att undvika denna typ av jämförelser.

Det mest önskvärda är att de samhällsekonomiska konsekvenserna av en behandling dokumenteras inom ramen för ett kliniskt utvecklingsprogram för att kunna vara tillgängliga vid en prissättningsprocess. I detta skede kan väl utformade studier ge underlag för prissättning av ett läkemedel. De kliniska utvecklingsprogrammen ger möjlighet till insamling av data om resursförbrukningen. Dessa data kan sedan ställas mot effekterna i studierna av de ekonomiska utvärderingarna. Rätt utfört och sakligt presenterat ska det vara möjligt för var och en att ur en studie med samhällsekonomiskt perspektiv ta ut den information som behövs för det egna perspektivet.

Kliniska studier som utgångspunkt

Betyder ett formellt krav på att ta fram hälsoekonomiska resultat något för hur man genomför kliniska studier? Vad har Läkemedelsförmånsnämnden för roll vad gäller att rekommendera vilken typ av studier som behövs för prissättning och subventionering? I samband med kliniska studier är det möjligt att samla in uppgifter kring resursanvändningen från olika behandlingsalternativ för att kunna göra hälsoekonomiska analyser [5]. Att sätta pris på de resursdata som samlats in behövs för att kunna ta fram resultat rörande kostnader och effekter av en behandling.

En komplicerande faktor är att priser för olika typer av resurser kan variera betydligt, både mellan och inom länder. Ett möjligt sätt att reducera osäkerheten på detta område är att Läkemedelsförmånsnämnden utfärdar rekommendationer om vilka priser som bör användas i olika sammanhang, exempelvis per sjukdomsgrupp eller per indikation. Det finns internationella initiativ på detta område, men omfattningen av tillgängliga prisuppgifter är för närvarande bristfällig.

Kliniska resultat genereras ofta via multicenterstudier, som dessutom ofta föreligger från olika länder. Detta är ett klassiskt problem för hälsoekonomiska

Det värsta alternativet är det som är rena jämförelser med prislister. Införandet av Läkemedelsförmånsnämnden kan rimligen ses som ett medel att undvika denna typ av jämförelser.

utvärderingar. Så länge som behandlingsmönster och priser är någorlunda likartade kan användbar kunskap ofta utvinna. Möjligheten att studera kliniska och hälsoekonomiska aspekter i samma studie är något som får avgöras från studie till studie. När kostnader och effekter analyseras i kliniska studier bör de behandlingsalternativ som jämförs vara kliniskt relevanta beträffande såväl behandlingsmönster som population [2, 6]. Detta är inte alltid så självklart; ett läkemedel som genomgår ett utvecklingsprogram jämförs exempelvis ofta med framför allt placebo, och det finns avgränsande inklusions- och exklusionskriterier. Syftet med denna utformning av de kliniska utvecklingsprogrammen är att tillgodose det medicinska godkännandet. Vidare varierar klinisk praxis ofta i stor utsträckning mellan länder. Detta är en trolig orsak till att studier som görs för det medicinska godkännandet i ett hälsoekonomiskt perspektiv ofta har ett snävt utförande. För att få användbara hälsoekonomiska resultat är det i det här skedet av grundläggande betydelse att studien är »rätt« utformad och att den visar den faktiskt tänkta och praktiskt använda behandlingssituationen. Därigenom ska det gå att värdera en behandling samhällsekonomiskt redan innan behandlingen är godkänd, prissatt, subventionerad och lanserad.

Vikten av effektmått

Vad kan sägas om vilket/vilka effektmått som bör användas? Ett av hälsoekonomerna ofta rekommenderat mått är kvalitetsjusterade levnadsår, QALY (quality adjusted life years). Detta mått har den fördelen att det är generellt jämförbart mellan olika sjukdomar. Många gånger används även olika sjukdoms-specifika effektmått. En genomgång av litteraturen på det sjukdomsområde som

studeras och av riktlinjerna för berörd behandling innehåller regelmässigt vägledning för viktiga effektmått. När ett nytt behandlingskoncept ska implementeras eller ett nytt läkemedel dokumenteras kan det vara aktuellt att nogsamt säkerställa att nya effektmått är tillgängliga; detta för att mäta den ytterligare effekt som det nya läkemedlet förmodas åstadkomma och att måttet är accepterat i så hög grad att såväl medicinskt godkännande som prissättning kan baseras på resultat från detta mått.

Flera av de internationella riktlinjer som finns för hälsoekonomiska studier efterfrågar data rörande kliniska behandlingseffekter. Resultat ska i dessa sammanhang inte komma från effekter påvisade i kliniska prövningar med inklusions- och exklusionskriterier som selekterar ut vissa typer av patienter från den grupp av patienter som läkemedlet är avsett att användas för i en klinisk vardag. Studier från den kliniska vardagen är viktiga för att påvisa att läkemedlet har relevant effekt och inte bara selekterad effekt utifrån specifika kriterier. Studier med påtagliga avgränsningar i populationen har begränsat informationsinnehåll när det gäller att bedöma det samhällsekonomiska värdet av ett läkemedel. Att utforma en studie för att ge ett gott underlag för de samhällsekonomiska konsekvenserna av ett läkemedel har ofta inverkan på studiens utformning.

Modeller – alternativ till klinisk prövning

Det finns andra möjligheter än kliniska prövningar vad gäller att producera resultat som underlag för prissättning och subventionering. Olika typer av modeller är vanliga när man vill påvisa kostnader och effekter av en behandling jämfört med något alternativ [7, 8]. Det finns en rad påtagliga fördelar med modeller. Ofta kan modeller vara den enda framkomliga vägen, t ex för många kroniska sjukdomar, där behandlingen av patienten kan tänkas fortgå under lång tid.

Den möjlighet en modell ger är att man kan länka samman intermediära kliniska variabler till variabler som har betydelse för såväl patienterna som hälso- och sjukvården och samhället. I arbetet med en modell går det att överföra och samla data från olika länder och studier rörande kliniska, epidemiologiska och ekonomiska faktorer för att genomföra en analys. Skillnaden mellan vad som är data och vad som är antaganden måste dock tydliggöras i en analys med en modell. Vidare kan modeller vara praktiska att ta fram när det av olika skäl inte finns tid att genomföra en protokollstyrd studie.

Sammantaget är modeller ett omistligt verktyg för hälsoekonomerna. Model-

ler ger möjlighet att både kombinera olika informationskällor och generera relevant information i rätt tid. Att använda modeller och få tillförlitliga resultat ställer dock krav på modellen och de data som används i modellen.

Konklusion

Införandet av formella krav på hälsoekonomiska studier bör innebära att hälsoekonomiska aspekter beaktas i utformningen av studier som är tänkta att användas i pris- och subventioneringsförhandlingar – detta för att bidra till ett sakligt beslutsunderlag och för att försöka förse samhället med så mycket vård som möjligt inom ramen för befintliga resurser.

*

Potentiella bindningar eller jävsförhållanden: Författaren är anställd av AstraZeneca R&D Lund.

Referenser

1. Hjelmgren J, Berggren F, Andersson F. Health economic guidelines – similarities, differences and some implications. *Value in Health* 2001;4(3):225-50.
2. National Institute of Clinical Excellence. Guide to technology appraisal process. *Technology Appraisal Process Series 2001: no 1.*
3. Läkemedelsförmånsnämndens författningssamling (LFNFS) 2003:1 5 §.
4. Drummond MF, O'Brien B, Stoddart LG, Torrance GW. *Methods for the economic evaluation of health care programmes.* 2nd ed. Oxford: Oxford University Press; 1997.
5. Gold RG, editor. *Cost-effectiveness in health and medicine.* New York: Oxford University Press; 1996.
6. *Economic analysis of health care technology. A report on principles.* Task force on principles for economic analysis of health care technology. *Ann Intern Med* 1995; 123:61-70.
7. Siegel JE, Torrance GW, Russell LB, Luce BR, Weinstein MC, Gold MR. Guidelines for pharmacoeconomic studies. Recommendations from the panel on cost-effectiveness in health and medicine. Panel of Cost-Effectiveness in Health and Medicine. *Pharmacoeconomics* 1997;11:159-68.
8. Soto J. Health economic evaluations using decision analytic modeling. Principles and practices – utilization of a checklist to their development and appraisal. *Int J Technol Assess Health Care* 2002;18(1):94-111.

Särtryck

Läkartidningen

I samband med 1994 års handikappreform beslutade riksdagen att stimulera utvecklingen av rehabilitering och habilitering med 1,4 miljoner kronor, bidrag som Socialstyrelsen fördelade och följde upp. Ett axplock av de medicinskt fokuserade projekt som bedömts vara av riksintresse har presenterats som separata artiklar i Läkartidningen under 1996 och 1997 och i serieform under 1999–2001.

Denna serie har nu samlats i ett särtryck, som av Socialstyrelsens projektgrupp kompletterats med två rapporter som inte redovisats i tidningen.

Särtrycket täcker ett brett spektrum av rehabilitering och habilitering, t ex vid slaganfall, demens och svåra hjärnskador, för barn med särskilda behov och de många små grupperna med ovanliga funktionshinder. Skriften har distribuerats av Socialstyrelsen. En mindre upplaga finns att beställa från Läkartidningen.

Priset är 85 kronor



Habilitering och rehabilitering

Beställer härmed.....ex av
Habilitering och rehabilitering

.....
namn

.....
adress

.....
postnummer

.....
postadress

**Insändes till Läkartidningen
Box 5603
114 86 Stockholm**

Faxnummer: 08-20 74 35

www.lakartidningen.se
under särtryck, böcker