

# Taloudellinen arviointi

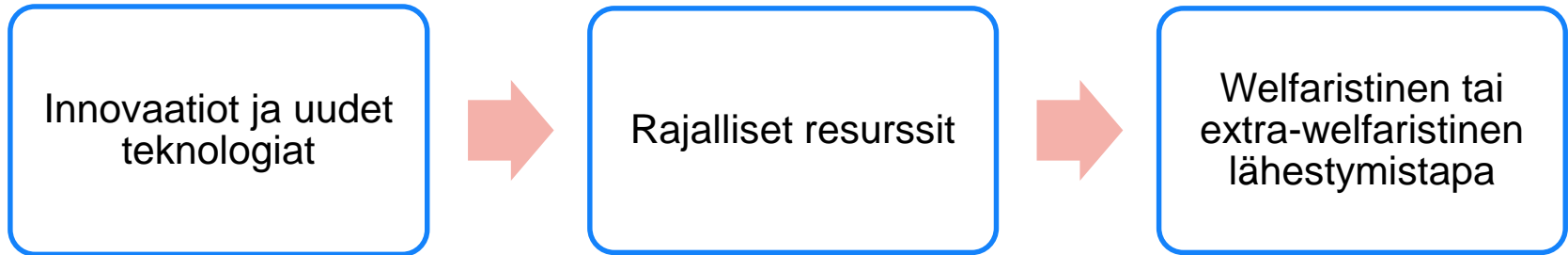
PROSHADE-seminaari 1.11.2023

Juha Laine  
Real World Data Lead & Health Economics Advisor, Roche Oy  
Työelämäprofessori, InFLAMES, Turun yliopisto

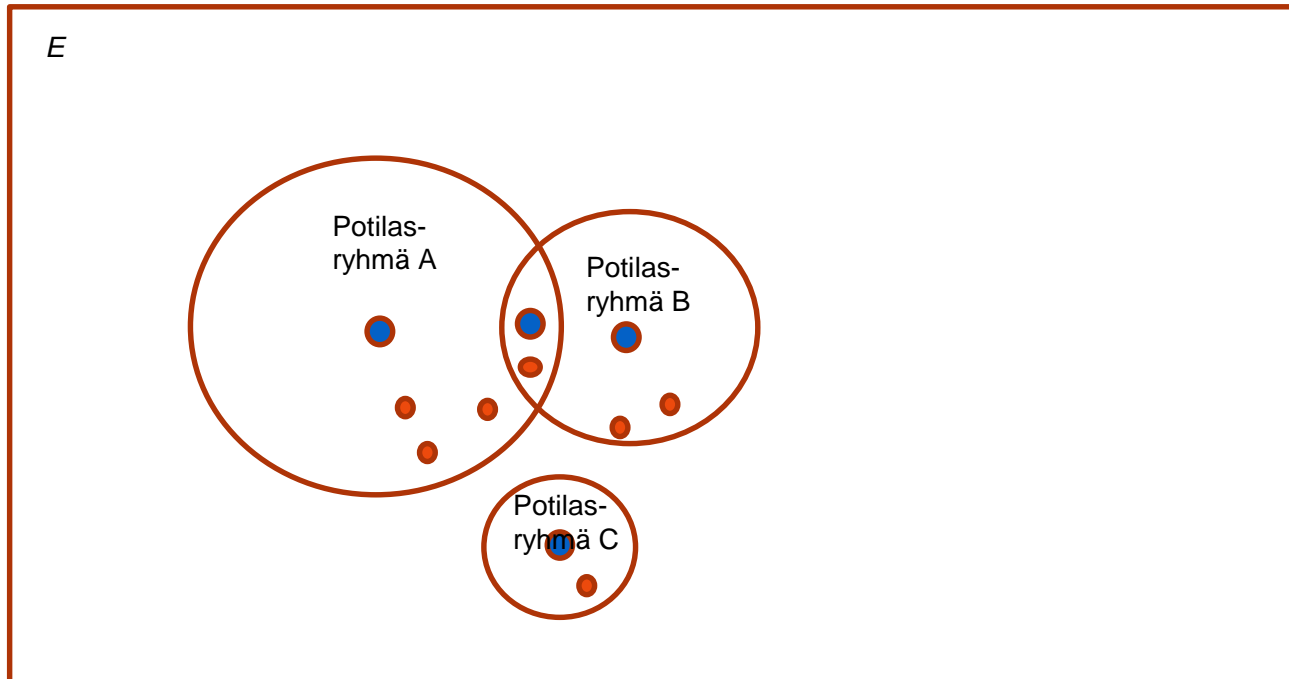
# Kustannushyötyanalyysia ja vaikutusten arviointia käytetään päätöksenteon tukena yhteiskunnan eri sektoreilla

- Kustannushyötyanalyysissa vaikutukset yhteismitallistetaan maksuhalukkuuksina
- Suomessa politiikkatoimenpiteiden vaikutusten arviointia tehdään sektoriministeriöissä ja osin VM:ssä
- Yleensä tilanne on seuraava: poliittinen tahtotila uudistukselle → mitä se maksaa?
- Formaalia kustannushyöty-analyysia sovelletaan lähinnä vain liikennehankkeiden vaikutusten arviointiin
- Etuuksien kohdalla, jossa käytössä yksilötason dataa ja mikrosimulointi, päästään myös pidemmälle

**Resurssien allokaatiopäätöksiä ei terveydenhuollossakaan voi välttää – päätöskriteerit ovat joko implisiittisiä tai eksplisiittisiä ja päätöksiä tehdään eri tasoilla**



**Eri päätöksentekijät (esim. sosiaalinen suunnittelija, sairaalan johto, yksittäinen lääkäri) havaitsevat eri asiat, heillä on käytössään eri informaatio ja heillä on myös erilaiset tavoitteet ja rajoitteet**



# Taloudellinen arviointi terveydenhuollossa

*Since the effects of choosing one course of action over another will not only have **effects on health**, but also on health care resources as well as other effects **outside health care**, informing health care decisions requires consideration of **costs and benefits**. For this reason this type of evaluation is most commonly referred to as economic evaluation. The purpose of economic evaluation, however, is **to inform decisions, so the key inputs to any economic evaluation are evidence about the effects of alternative courses of action.***

Drummond et al 2015

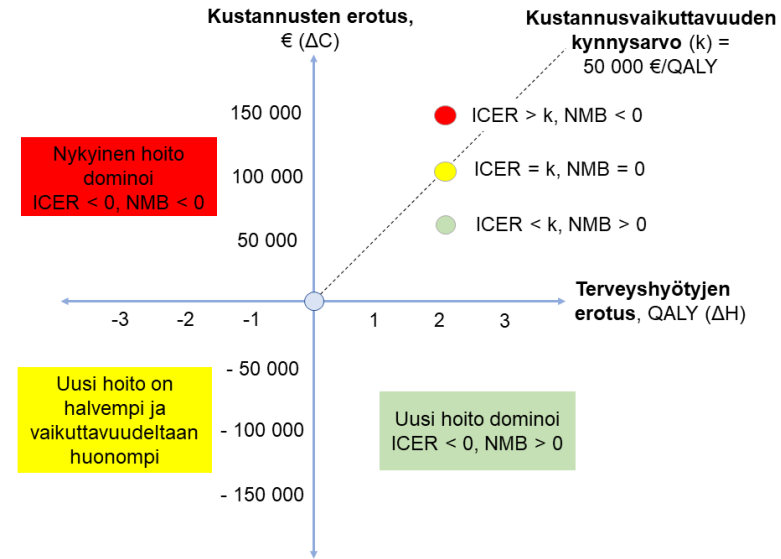
# Lääkkeiden kustannusvaikuttavuusarviointi on vakiintunein ja kehittynein taloudellisen arvioinnin sovellusalue

*In the absence of well-functioning markets, cost-effectiveness analyses can convey information to payers about the **value** that therapies deliver.*

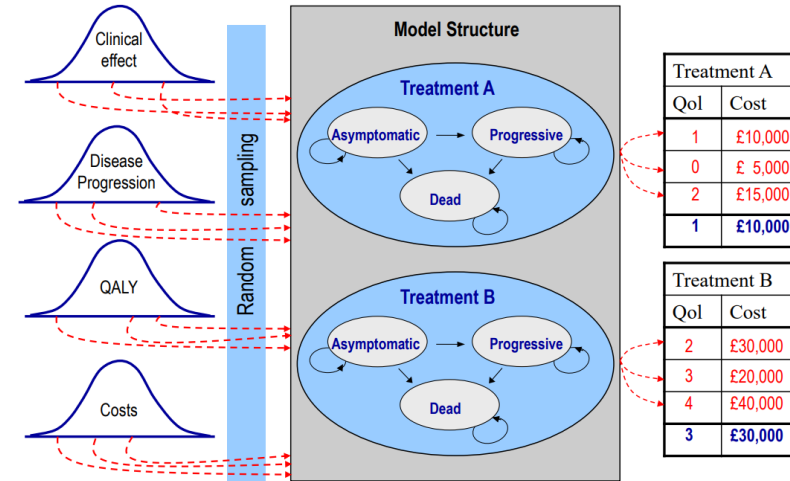
*Cost-effectiveness analysis simply tries to make **explicit what is otherwise implicit**. The alternative is to rely on intuition about a drug's benefits and costs, an approach that is faulty and vulnerable to the undue influence of various interest groups. Cost-effectiveness analysis merely **informs** pricing deliberations, rather than dictating prices, providing **one input for a decision-making process** that draws on multiple factors. It also allows users to test the **robustness of assumptions**.*

□ Tyypillisessä taloudellisessa arvioinnissa tarkastellaan

- ❖ Kustannusvaikuttavuutta
  - Esim. onko 5000 € / kk maksava lääke hintansa väärtti suhteessa siihen mitä lisähyödystä ollaan valmiita maksamaan, ts. kuinka todennäköisesti nettohyöty on odotusarvoisesti  $> 0$
- ❖ Onko jokin alaryhmä, jossa hoito on (erittäin) kustannusvaikuttavaa?
- ❖ Mikä on riski tehdä virhepäätelmä kustannusvaikuttavuudesta tutkimustiedon valossa ja miltä osin lisätiedon kerääminen on perusteltua epävarmuuden vähentämiseksi?



- Kyse on tyypillisesti ennustemallista, jolla pyritään arvioimaan mitä populaation potilaille keskimäärin odotetaan tapahtuvan vaikuttavuuden ja kustannusten kannalta, jos hoidetaan hoitomenetelmällä X tai hoitomenetelmällä Y...n
  - ❖ Tiedon synteesi: malli pitää sisällään monesti systemaattisia kirjallisuuskatsauksia (tautitaakka, elämänlaatu), suhteellisen vaikuttavuuden arviointia (suora / epäsuora), tosielämän resurssikäyttö- ja kustannustietoa, kuvauksen taudin luonnollisesta kulusta, disutiliteetit jne.
- Mallinnustavan valinnalla on usein pienempi vaikutus tuloksiin kuin valitun lähestymistavan soveltamisessa tehdyillä oletuksilla (Williams et al 2017).
- Lisäksi voidaan arvioida budjettivaikutusta ym. tavoilla tarkastella kustannuksia ja terveysvaikutuksia





# Lääkkeiden taloudellinen arviointi on yleistä, mutta kriteerit ovat vaihtelevia, kustannusvaikuttavuuden rooli ja soveltaminen on vaihtelevaa, järjestelmä on pirstaleinen, prosessi on osin ennakoimaton ja hinta-arvioinnin/-päätöksen asema vaihtelee

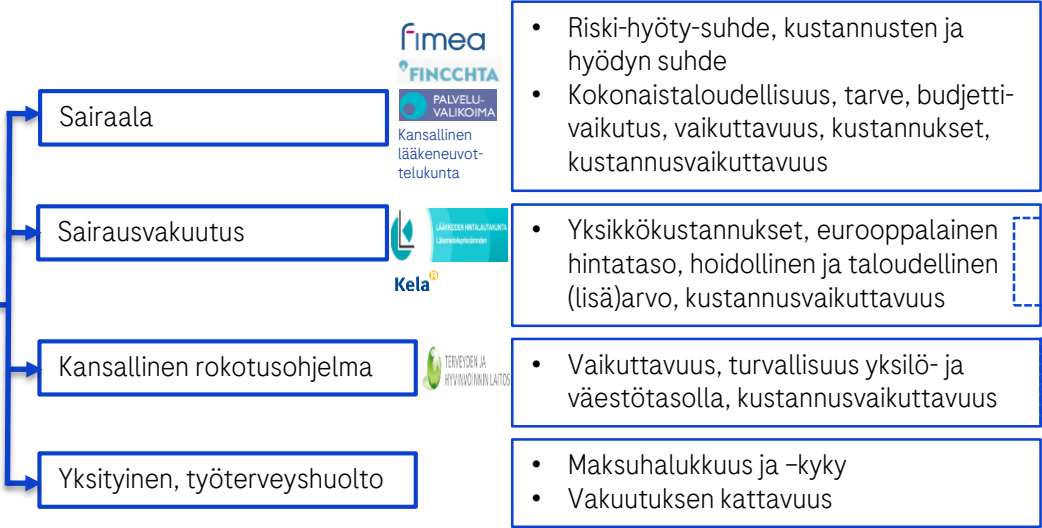
## Myyntilupavaihe

## HTA-vaihe

### Tarjontakanavat

### Arviointi- / suositus- / päätöksentekokriteerit

Turvallisuus  
Teho  
Laatu



Hintaneuvottelu/-päätös

Hintaneuvottelu/-päätös

Hintaneuvottelu/-päätös

Terveydenhuollon ammattilainen, jaettu päätöksenteko  
ja  
Potilasryhmä-/lääkeaineryhmäkohtainen päätöksenteko

- Neljästä taloudellisen arvioinnin menetelmästä (KUA, KVA, KMA, KHA) Suomessa on käytössä käytännössä vain kaksi. Miksi, millä oletuksilla ja mitä siitä seuraa?

## Tutkimusyksikön lausunnot 2010–2021 hakemuksen terveystalousselvityksen tyypin mukaan



Vuonna 2021 KUA:n osuus oli 66 %, KMA:n 29 % ja muiden 5 %.

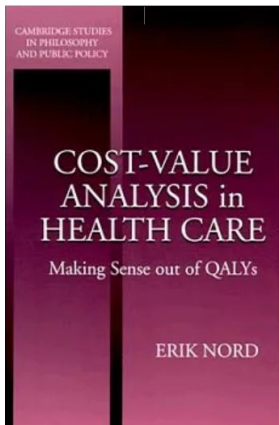
Toisin sanoen KVA ei kelpaa ja KHA:a ei käytetä.

Fimean HTA-arvioinneissa ja rokotearvioinneissa käytetään KUA:a.

Hakemus saattaa myös sisältää useamman terveystaloudellisen selvityksen, esimerkiksi eri käyttöaiheille.

# QALY:n ja kustannusutiliteettianalyysin kritiikillä on pitkä historia ja viime vuosina(kin) on tehty kiinnostavia kehitysehdotuksia

NBER WORKING PAPER SERIES



## HEALTH AFFAIRS FOREFRONT

### RELATED TOPICS:

QUALITY-ADJUSTED LIFE-YEARS | QUALITY OF LIFE | COMPARATIVE EFFECTIVENESS | POPULATION HEALTH  
| VALUE | COST-EFFECTIVENESS ANALYSIS | CANCER PATIENTS | PHARMACEUTICALS | PAYMENT | PATIENT CARE

## Alternatives To The QALY For Comparative Effectiveness Research

[Sean D. Sullivan](#), [Darius N. Lakdawalla](#), [Beth Devine](#), [Jens Grueger](#), [Louis P. Garrison, Jr.](#), [Josh J. Carlson](#), [David L. Veenstra](#), [Charles E. Phelps](#), [Anirban Basu](#)

APRIL 21, 2023

10.1377/forefront.20230419.896238

## EVALUATION OF MEDICAL TECHNOLOGIES WITH UNCERTAIN BENEFITS

Darius N. Lakdawalla  
Charles E. Phelps

Working Paper 26058  
<http://www.nber.org/papers/w26058>

NATIONAL BUREAU OF ECONOMIC RESEARCH  
1050 Massachusetts Avenue  
Cambridge, MA 02138  
July 2019



## COMMENTARY

### The Use of MCDA in HTA: Great Potential, but More Effort Needed

Kevin D. Marsh, PhD<sup>1,\*</sup>, Mark Sculpher, PhD<sup>2</sup>, J. Jaime Caro, MD, MCh, FRCP<sup>3</sup>, Tommi Tuovonen, PhD<sup>3</sup>  
<sup>1</sup>Evidera, London, UK; <sup>2</sup>Centre for Health Economics, University of York, UK; <sup>3</sup>Evidera, Waltham, MA, USA; McGill University, Montreal, PQ, Canada

### ABSTRACT

The potential for multi-criteria decision analysis (MCDA) to support health technology assessment (HTA) has been much discussed, and various HTA agencies are piloting or applying MCDA. Alongside these developments, good practice guidelines for the application of MCDA in health care have been developed. An assessment of current applications of MCDA to HTA in light of good practice guidelines reveals, however, that many have methodologic flaws that undermine their usefulness. Three challenges are considered: the use of additive models, a lack of connection between criteria scales and weights,

and the use of MCDA in economic evaluation. More attention needs to be paid to MCDA good practice by researchers, journal editors, and decision makers and further methodologic developments are required if MCDA is to achieve its potential to support HTA.

**Keywords:** multi-criteria decision analysis, health technology assessment, reimbursement, good practice.

Copyright © 2018, International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research (ISPOR). Published by Elsevier Inc.



ScienceDirect

Contents lists available at [sciencedirect.com](http://sciencedirect.com)  
Journal homepage: [www.elsevier.com/locate/jval](http://www.elsevier.com/locate/jval)

### Brief Report

## The History and Future of the "ISPOR Value Flower": Addressing Limitations of Conventional Cost-Effectiveness Analysis

Peter J. Neumann, ScD, Louis P. Garrison, PhD, Richard J. Willke, PhD

### ABSTRACT

**Objective:** Since its publication as part of the 2018 ISPOR Special Task Force (STF) on US Value Assessments, the "ISPOR value flower," with its petals highlighting elements that may be overlooked or underappreciated in conventional drug value assessments, has been discussed and debated. We review the history of the value flower, describe recent developments, and consider implications for future value assessments.

**Methods:** We discuss various antecedents to the value flower, as well as conceptual and empirical articles published in the past 4 years.

**Results:** Since the publication of the ISPOR STF report, researchers have provided more rigorous theoretical and mathematical foundations for certain novel value elements (eg, severity of illness, value of insurance, value of hope) through "generalized risk-adjusted cost-effectiveness analysis," which incorporates risk aversion in people's preferences and uncertainty in treatment outcomes. Empirical estimates are also emerging to support key elements, such as insurance value, real option value, value of hope, and value of knowing. Although health technology assessment bodies have applied or are considering certain elements (eg, severity modifiers to cost-effectiveness thresholds), other elements have yet to gain traction.

**Conclusions:** Five years after the STF began its work, the development of novel value measures continues to evolve. Although it is encouraging to see supporting empirical studies emerging, more are needed. Additional efforts are also needed to illustrate how the estimates can be used in the deliberative processes that are integral to health technology assessments.

**Keywords:** cost-effectiveness analysis, health insurance, Institute for Clinical and Economic Review, uncertainty, value assessment.

VALUE HEALTH 2022; 25(4):558-565

## HEALTH ECONOMICS

Health Econ. 24: 742-754 (2015)

Published online 2 May 2014 in Wiley Online Library (wileyonlinelibrary.com). DOI: 10.1002/hec.3058

## DISTRIBUTIONAL COST-EFFECTIVENESS ANALYSIS OF HEALTH CARE PROGRAMMES – A METHODOLOGICAL CASE STUDY OF THE UK BOWEL CANCER SCREENING PROGRAMME

MIQDAD ASARIA<sup>a,\*</sup>, SUSAN GRIFFIN<sup>a</sup>, RICHARD COOKSON<sup>a</sup>, SOPHIE WHYTE<sup>b</sup> and PAUL TAPPENDEN<sup>b</sup>

<sup>a</sup>Centre for Health Economics, University of York, York, UK  
<sup>b</sup>School of Health and Related Research, University of Sheffield, Sheffield, UK

# Arvon (value) arvioinnin viitekehyksiä on useita. Mikä on oikea arviointikehys ja näkökulma missäkin kontekstissa? Mikä voi ylipäätään teoreettisesti ja empiirisesti toimia? Mihin suuntaan ne vievät kokonaisuutta?

## Kustannukset

- Diagnose related groups (DRG) –kustannuslaskenta
- Yksikkökustannuslaskenta

## Kustannukset ja vaikuttavuus yhteismitallisesti

- Taloudellinen arviointi (kustannusutiliteetti-analyysi, kustannushyötyanalyysi)



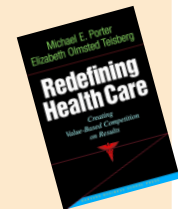
## Vaikuttavuus potilasryhmä- ja sairauskohtaisesti

- Näyttöön perustuva lääketiede (Evidence Based Medicine, EBM)
- International Consortium for Health Outcomes Measurement (ICHOM) –vaikuttavuusmittarit



## Vaikuttavuus ja kustannukset potilasryhmä- ja sairauskohtaisesti

- Arvoperusteinen terveydenhuolto (Value-Based Healthcare, VBHC)
- Monikriteerinen päätöksenteko (Multi Criteria Decision Analysis, MCDA)
- Sairauskohtaiset arviointiviitekehykset
- Tehokkuusrintama
- Taloudellinen arviointi (kustannusvaikuttavuusanalyysi)



# Ylipäättään kannattaa mennä sinne missä merkityksellistä kustannusvaikuttavuutta olisi etsittävässä ja löydettävissä ottaen huomioon erilaiset sääntelymekanismit ja –kriteerit ja niiden soveltamisen



10.05.2023 | Timo Seppälä, yhteiskuntasuhdejohtaja, Amgen Ab sivuliike Suomessa, ja Juha Laine, Real World Data Lead & Health Economics Advisor, Roche Oy

## Kustannusvaikuttavuuden kompuromintapahtuu pimeässä, ei lampun alla

### Hyvinvointialueilla ei ole edellytyksiä hyödyntää kustannusvaikuttavuustietoja resurssien allokoinnin perusteena

Resurssien allokoinnin systemaattinen toteutus kaikilla järjestelmän tasoilla voi vaikuttaa palveluiden kustannuskehitystä hillitsevästi<sup>64</sup>. Kaikkia niitä toimintoja, joilla muutetaan resurssien allokointia, voidaan nimittää myös priorisoinniksi. On selvää, että tässä tarkoituksessa toteutettu kustannusvaikuttavuuden ja vaihtoehtoiskustannusten arviointi edellyttää terveystaloustieteellistä osaamista ja perehtyneisyyttä sosiaali- ja terveyspalveluiden tuotantoon. Viimeaikaisessa kirjallisuudessa on kiinnitetty huomiota siihen, että resurssien uudelleenallokoointipäätöksiin ei kuitenkaan tulisi perustua vain kustannusvaikuttavuustietoon<sup>65</sup>. Erityistä huomiota tulee kiinnittää itse päätöksentekoprosessiin ja sen läpinäkyvyyteen.

Nyt tarkastelun kohteena olleiden kolmen hyvinvointialueen osalta voidaan todeta, ettei näillä ole tällä hetkellä edellytyksiä hyödyntää kustannusvaikuttavuustietoa resurssien allokoinnin perusteena. Näin ollen voidaan yleistää, ettei hyvinvointialueilta voida vielä edellyttää kustannusvaikuttavuustiedon tuottamista tai käyttämistä päätöksenteon tukena. Tiedot sekä kustannuksista ja vaikuttavuudesta olivat selvityksen tekohetkellä puutteellisia kaikilla kolmella hyvinvointialueella. Jatkossa on tarpeen saada lisää näkyvyyttä asiakaskohtaisten kustannusten syntyyn, sisältäen tiedot palveluiden käytöstä eri toimialueilla.

63 O'neil et al. (2021) Leadership and community healthcare reform: Competing Values Framework

64 <http://urn.fi/URN:ISBN:978-952-383-397-5>

65 Daniels N. (2016) Resource Allocation and Priority Setting. In: H. Barrett D, W. Ortmann L, Dawson A, et al., editors. Public Health Ethics: Cases Spanning the Globe [Internet]. Cham (CH): Springer; 2016. Chapter 3.

# Historiakatsaus: € / hoitotavoitteeseen hoidettu potilas -analyysia on kokeiltu politiikkamuutoksen yhteydessä v. 2006



Lääkärilehti

Ota yhtä

KLIININEN TYÖ TERVEYDENHUOLTO TIEDE ÄÄSEN MIELEPIDE ELÄMÄÄ JA

TIED

LEHTI 42, TERVEYDENHUOLTO 19.10.2007, 42/2007 ssk 62, s. 3899 - 3905

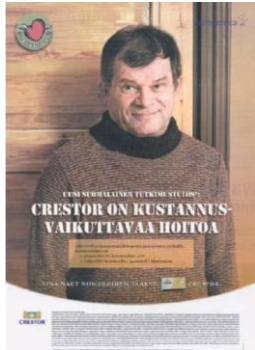
## Statiinien teho ja kustannusvaikuttavuus

### Lähtökohdat

Tutkimuksen tarkoituksena on arvioida eri statiinien tehoa ja kustannusvaikuttavuutta LDL-kolesterolitason alentamisessa.

- ❑ Päivitettiin kirjallisuuskatsaus ja placebokontrolloitujen kokeiden lisäksi huomioitiin aktiivilääkkeiden vertailutkimukset käyttämällä bayesilaista hierarkkista satunnaisefektien meta-analyysia
- ❑ Otettiin huomioon useita eri lähtötilanteina (LDL-taso), hoitotavoite 2,5 mmol/l LDL-kolesterolipitoisuus, statiinien teho LDL-kolesterolipitoisuuden laskussa (% lähtötasosta) ja Käypä Hoito -hoitotavoitetasojen saavuttaminen (% potilaista)
- ❑ Laskettiin inkrementaaliset kustannusvaikuttavuussuhteet tehokkuusrintaman määrittämien hoitojen välille

## Tutkimustuloksen viestintää lääkäreille



## Lokakuun 2006 alussa tuli voimaan lääkkeiden hintalautakunnan päätökseen perustuva Kelan ohje statiinihoidosta

mediuutiset.fi/uutiset/simvastastatiini-kahmaisi-kolesterolin-hoidon/5dc68e74-421d-4a25-8b23-961c1205aeb



### Simvastastatiini kahmaisi kolesterolin hoidon

79.2007 00:00

SYÖNÄ JA VERISUONTAUDET STATIINIT KORVATTAVUUS LÄÄKEKORVAUKSET HILA

Lääkärilehti

Ota yhteyttä Lähti

KLIININEN TYÖ TERVEYDENHUOLTO TIEDE ÄÄSEN MIELEPIDE ELÄMÄÄ JA IHMISSÄ P

LEHTI LÄÄKKEIDEN 25.1.2008, 4/2008 ssk 63, s. 282 - 284

## Statiini vaihdetaan harvoin edullisemmasta takaisin alkuperäiseen

Lokakuussa 2006 tehdyn korvattavuuden muutoksen jälkeen yli puolet atorva- ja rosuvastatiinilääkityksistä vaihdettiin edullisempaan statiiniin. Lähes 90 % statiinivalmistetta vaihtaneista jatkoi edullisemmän statiinin käyttöä vielä 10 kuukautta korvattavuuden muutoksen jälkeen.