

# Kustannusvaikuttavuus ei yksin riitä priorisoinnin perustaksi

Kustannusvaikuttavuutta on ehdotettu ainoaksi eettiseksi priorisointijärjestelmien perusteeksi. Yleensä terveystaloustieteen menetelmät voivat olla hyödyksi erityyppisissä päätöksentekotilanteissa. Suomalainen terveydenhuoltojärjestelmän rakenne ja kustannusvaikuttavuuden soveltamiseen liittyvät arvovalinnat tekevät hyödynnettävyydestä kuitenkin luultua vaikeampaa. Kustannusvaikuttavuusanalyysia kannattaa hyödyntää, mutta terveystaloustieteen päätöksentekokriteereitä ja menetelmiä ei voida valjastaa välineiksi teknokraattiseen päätöksentekoon. Arvovalinnoista on käytävä laajaa julkista keskustelua.

**Terveystaloustieteen** yksi suurimmista saavutuksista ovat olleet sellaiset mittaamenetelmät, joiden avulla hoitomenetelmien aikaansaamia hyötyjä voidaan mitata esimerkiksi terveyteen liittyvän elämänlaadun kannalta. Terveystaloustieteilijät ovat tuottaneet muun muassa käsitteen laatupainotettu lisäelinvuosi (QALY, quality-adjusted life year). Se on jo pitkään ollut käyttökelpoinen väline kustannusvaikuttavuusanalyseissa. Terveystaloustieteen menetelmät ja käsitteet ovat viimeisen kymmenen vuoden aikana tulleet yhä enemmän tutuksi suomalaiselle lääkärikunnalle.

Aika ajoin esitetään, että kustannusvaikuttavuus olisi ainoa eettinen priorisointiperuste ja että priorisointijärjestelmien tulisi perustua kustannusvaikuttavuuteen (1). Tätä on myös käytännössä yritetty joissakin maissa. Terveystaloustieteen päätöksenteon tueksi tuottamat mittarit ja terveyshyödyn maksimointiin perustuvat tehokkuuskriteerit ovat yleensä hyödyksi pyrittäessä vastaamaan priorisointikysymyksiin. Tällöin tavoitteena voi olla se,

että ainakin vähiten hyödylliset hoidot voitaisiin tunnistaa kustannusvaikuttavuusanalyysien avulla ja hyödyttömistä hoidoista olisi mahdollista näin luopua. Vaikuttavuus on helposti hyväksyttävä kriteeri. Luopumalla hyödyttömistä hoidoista ei ehkä tarvitsisi tehdä vaikeita päätöksiä ja säännöstelyä.

Terveystaloustiede – kuten mikään muukaan tieteenala – ei ole kuitenkaan käytännössä osoittautunut yksinään riittäväksi työkaluksi priorisointiin. Esitän artikkelissa jatkokeskustelun pohjaksi tekijöitä, jotka olisi otettava huomioon, kun keskustellaan kustannusvaikuttavuuden käyttämisestä priorisoinnissa ja yleensäkin päätöksenteossa. Käytän esimerkkinä lääkehoitoja. Ne mainitaan useimmiten alueena, jolta löytyisi paljon karsittaviksi sopivia hyödyttömiä hoitoja. Toiseksi lääkehoitojen kohdalla kustannusvaikuttavuuden soveltaminen päätöksenteossa on Suomessa huomattavasti tavanomaisempaa kuin muualla terveydenhuollossa. Periaatteessa kustannusvaikuttavuusanalyysia olisi tarkoituksenmukaista käyttää kaikkien terveydenhuollon interventtioiden kohdalla.

## Järjestelmätason tekijät

**Voimavarat.** Kansainväliset tieteelliset kriteerit täyttävän kustannusvaikuttavuusanalyysin tekeminen on vaativaa. Se edellyttää monen tieteenalan harjoittajan yhteistyötä ja erityisesti terveystaloustieteen menetelmien hyvää hallintaa. Yhden kustannusvaikuttavuusanalyysin (tai laajemmin terveydenhuollon menetelmäarvioinnin) tekeminen vie kuu-kausista vuosiin riippuen siitä, tarkastellaanko vain yhtä lääketta tai kaikkia mahdollisia vertailuhoitoja ja missä määrin arvioinnissa tukeudutaan aiemmin tuotettuun materiaaliin. On mahdotonta tuottaa nopeasti kattavaa tie-

toa uusien ja jo käytössä olevien hoitomenetelmien kustannusvaikuttavuudesta. Lisäksi on varsin tavanomaista, että menetelmäarvioinnit päätyvät siihen, että tarvittaisiin lisätutkimuksia ja -näyttöä epävarmuuden vähentämiseksi. Arvioinnit ovat toistuvia prosesseja, tulokset eivät ole yksiselitteisiä ja tehtyjä arviointeja on päivitettävä.

Suomessa esimerkiksi Fimean lääkehoitojen arviointiyksikön henkilöstöresurssit kaikkiin lakisääteisiin tehtäviin ovat arviolta noin 11 henkilötyövuotta, joista noin neljä kohdentuu menetelmäarviointiin. Syksystä 2010 alkaen yksikössä on osallistuttu kahteen EUnetHTA-verkoston pilottiarviointiin ja tuotettu kuusi arviointiraporttia. Raportit ovat olleet joko pilottiarviointeja, lyhyitä arviointikoosteita tai laajoja tai lääkekohtaisia arviointeja.

Käytännössä menetelmien arvioinnissa joudutaan aina tasapainoilemaan nopeuden ja laajuuden välillä. Kaikkien uusien lääkehoitojen yksittäinen nopea arviointi esimerkiksi Scottish Medicines Consortiumin (SMC) tapaan mahdollistaisi tiedon nopean tuottamisen päätöksenteon tueksi mutta sekään ei poista muita kustannusvaikuttavuuden soveltamiseen liittyviä ongelmia.

**Intressit ja monikanavarahoitus.** Suomalaisen terveydenhuoltojärjestelmän rakenne korostaa intressiritiriitoja. Eri osapuolet, kuten kunnat, Kela ja sairaalat tekevät päätöksiä ensisijaisesti omasta näkökulmastaan. Tästä aiheutuu tehottomuutta ja oikeudenmukaisuusongelmia (2).

Eri terveydenhuollon rahoituskanavissa käytetään erilaisia päätöksentekokriteerejä ja kustannusvaikuttavuuden painoarvo vaihtelee (3). Vain sairausvakuutuskorvausjärjestelmään ja kansalliseen rokoteohjelmaan tulevien uusien lääkkeiden ja rokotteiden kustannusvaikuttavuutta arvioidaan Suomessa systemaattisesti. Vanhojen lääkehoitojen tai sairaalalääkkeiden kohdalla näin ei tehdä. Tämä voi johtaa siihen, että uutta lääkettä ei hyväksytä esimerkiksi heikon kustannusvaikuttavuuden vuoksi korvausjärjestelmään, vaikka toisaalta kaikkien jo käytössä olevien

ja käyttöön edelleen jäävien lääkehoitojen kustannusvaikuttavuudesta ei ole mitään käsitystä. Yhtenä erityispiirteensä mainittakoon se, että korvattavien lääkkeiden kohtuullisen tukkuhinnan ja korvattavuuden arviointikriteereissä huomioidaan sairaalassa käytettäviä vertailuvalmisteita vain niiltä osin kuin ne on sisällytetty lääkkeiden hintalautakunnalle toimitettavaan terveystalousselvitykseen.

Toisinaan kustannusvaikuttavuusanalyysien perusteella hyödyllisiksi osoitettuja ja hoitokäytäntöjä merkittävästi muuttavia uusia lääkehoitoja ei saada käyttöön. Olemassa oleviin hoitoihin ja käytäntöihin voi liittyä ammatillisia intressejä ja rakenteita, jotka jarruttavat uusien erittäin kustannustehokkaidenkin hoitoteknologien käyttöönottoa. Nämä intressit ja rakenteet, muiden päätöksentekoon vaikuttavien seikkojen ohella, voivat tulla näkyviksi, silloin kun uusi hoitoteknologia muuttaisi eri ammattiryhmien työnjakoa ja hoidon toteuttamistapoja tai kun hoidon kustannusten kohdentumisen painopiste muuttuu potilaan, kunnan ja sairausvakuutuksen välillä.

## Analyysitason tekijät

**Arvovalinnat.** Kustannusvaikuttavuusanalyysin kohteen valintaan ja varsinaiseen toteuttamiseen liittyy merkittäviä arvovalintoja (4), johon osaltaan myös johtaa edellä mainittu voimavarojen niukkuus. Arvovalintoja on tehtävä ainakin seuraavista asioista: mikä terveydenhuollon menetelmä tai menetelmät valitaan arviointikohteeksi, keille valinnan teko delegoidaan, miten vaikuttavuutta mitataan, miten potilaan preferenssit tulevat otetuksi huomioon, mikä katsotaan riittäväksi ja hyväksyttäväksi näytön asteeksi, mikä painoarvo annetaan muille kuin satunnaistetuille tutkimuksille, miten näytön puute tulkitaan ja

***Hoitoihin ja käytäntöihin voi liittyä ammatillisia intressejä, jotka jarruttavat uusien kustannustehokkaidenkin hoitoteknologien käyttöönottoa***

mitä merkityksiä tuloksille annetaan. Näistä seikoista voidaan olla perustellusti erimielisiä. Siksi ei voida sanoa, että parhaallakaan tiedolla varustettu päätöksentekijä (politiikko, virkamies tai lääkäri) voisi toimia puhtaan objektiivisesti ilman vaikutteita ja arvoja. Kustannusvaikuttavuusanalyysia tekevän terveystaloustieteilijän arvoja ei myöskään voida pitää muiden arvoja parempina (5).

**Elämänlaadun mittaamisen ja QALYn haasteet.** Laaturapainotettua lisäelinvuotta pidetään parhaana terveyshyödyn mittarina. Sen avulla moniulotteinen terveyshyödyn käsite

**Erilaiset elämänlaatumittarit tuottavat huomattavan erilaisia tuloksia elämänlaadusta**

voidaan operationalisoida yhdeksi lukuarvoksi. Teoreettisesti ja empiirisesti on kuitenkin jo pitkään pystytty osoittamaan, että QALY tai ylipäätään vaikuttavuus ei ole operationalisoitavissa arvovaruksittomaksi ja yksiselitteiseksi välineeksi käytettäväksi päätöksenteossa tai hoitojen hyötyjen arvioinnissa (4, 6). Eri-laiset elämänlaatumittarit tuottavat huomattavan erilaisia tuloksia elämänlaadusta ja kustannusvaikuttavuudesta, tulokset vaihtelevat suuntaan ja toiseen eri sairauksien kohdalla ja mittareiden osatekijöihin liittyvä arvovalintoja (7, 8, 9). QALYjen maksimointitavoite ei myöskään käytännössä ole pystynyt ottamaan riittävästi huomioon oikeudenmukaisuuskysymyksiä (4, 6). Näistä teemoista käydään terveystaloustieteen tiedeyhteisössä jatkuvaa keskustelua.

Kustannusvaikuttavuuskriteerin käyttäminen priorisoinnissa yhdenmukaisesti edellyttäisi sitä, että Suomessa olisi hyväksyttävää käyttää vain yhtä geneeristä elämänlaatumittaria ja vain yhtä niin sanottua terveydentilojen arvotusmenetelmää. Olisi myös päätettävä käytetäänkö, potilaiden vai väestön arvotuksia. Viime vuosina kolmannen vaiheen kliinisissä lääketutkimuksissa on tullut tavaksi kerätä tietoa vaikuttavuudesta erilaisilla PRO-mittareilla (patient reported outcomes). Lähes poikkeuksetta tiedot terveyteen liittyvästä elämänlaadusta kerätään kansainvälisesti käytetyimmällä EQ-5D-mittarin avulla. Suomessa

tuskin ollaan valmiita siihen, että maassamme kehitetyn ja laajasti käytetyn 15D-elämänlaatumittarin (10) sijaan jouduttaisiin teoriassa käyttämään kaikissa tilanteissa EQ-5D-mittaria, jonka ominaisuudet, kuten erottelukyky ovat muita geneerisiä elämänlaatumittareita heikompia.

**Maksuhalukkuuden raja-arvo ja monikriteerinen päätöksenteko.** Kustannusvaikuttavuuskriteerin käyttäminen päätöksenteossa edellyttää päätöksentekijöiltä käsitystä siitä, paljonko yhdestä laaturapainotetusta lisäelinvuodesta ollaan tarvittaessa valmiita maksamaan. Maksuhalukkuus voidaan ilmaista selkeästi tai se voi määriytyä empiirisesti. Kustannusvaikuttavuuden kohdalla viitataan liian usein mekaanisesti siihen, että esimerkiksi Englannissa NICE (National Institute for Health Care Excellence) pitää hoitoja kustannustehokkaina, jos yhden laaturapainotetun lisäelinvuoden hinta on 20 000–30 000 puntaa. Empiirisesti on kuitenkin osoitettu, että NICE:n soveltama raja-arvo syöpähoidoille on käytännössä keskimäärin noin 50 000 puntaa/QALY ja muille hoidoille se on noin 38 000 puntaa/QALY. Lisäksi NICE on pohtinut harvinaislääkkeiden ja elämää pidentävien lääkehoitojen arviointikriteerien täsmentämistä (11).

Käytännössä maksuhalukkuuden raja-arvon määrittäminen on oikeudenmukaisuuden kannalta vaikeaa. Yhtä yksittäistä yleispätevää kustannusvaikuttavuuden raja-arvoa ei voida määrittää yksiselitteisesti. Se on dynaaminen käsite, johon vaikuttavat muun muassa sairauden ilmaantuvuus ja vallitsevuus alueella, hoidon käyttöönoton budjettivaikutus, hoitomenetelmän innovatiivisuus, lääketieteellinen tarve, epävarmuus, joka tutkimusnäyttöön sisältyy ja kansantalouden taloudellinen suorituskyky (12).

Aivan viime vuosina terveystaloustieteilijöiden keskuudessa on yhä enemmän keskusteltu siitä, millä tavalla kustannusvaikuttavuusanalyysista voitaisiin siirtyä enemmän kohti monikriteeristä päätöksentekoa. Edellä esitetyt näkökulmat ja päätöksenteon vaihtelevat kriteerit indikoivat sitä, että todellisuudessa päätöksenteko jonkin uuden hoitomenetel-

män käyttöön otosta pohjautuu moniin painoarvoltaan erilaisiin kriteereihin. Niitä kaikkia ei välttämättä voida tavanomaisen kustannusvaikuttavuusanalyysin avulla ottaa eksplisiittisesti huomioon.

**Lääketaksa.** Suomessa sairaalat voivat hankkia lääkkeitä lääketukusta tukkuhintaan tai mahdollisesti kilpailuttamisen perusteella alennettuun tukkuhintaan. Vallitsevan lainsäädännön mukaan sairaalassa annettavat lääkkeet kuuluvat osaksi sairaalahoitoa. Kun potilas hankkii lääkkeet apteekista, lisätään lääkkeen tukkuhintaan lääketaksa ja arvonlisävero (10 %). Tällöin esimerkiksi tukkuhinnaltaan 100 euron reseptilääkkeen vähittäismyyntihinta on apteekissa 143,59 euroa, ja tukkuhinnaltaan 1 500 euron lääke maksaa apteekissa 1 855,32 euroa. Kelan sairausvakuutuskorvaus maksetaan potilaille vähittäismyyntihinnasta. Hallinen ja Soini (13) ovat osoittaneet, että lääketaksa aiheuttaa kustannusvaikuttavuusanalyysissä laskennallista harhaa ja vääristää kalliiden (ja uusien) lääkkeiden kustannusvaikuttavuusarvioita. Oman kokemukseni mukaan lääketaksa hankaloittaa sairaala- ja apteekkilääkkeiden vertailua. Pelkästään lääketaksa voi nostaa inkrementaalista kustannusvaikuttavuussuhdetta (euroa/QALY) kymmenillä tuhansilla euroilla.

## Lopuksi

Edellä kirjoitetun perusteella on välttämätöntä myöntää kustannusvaikuttavuusanalyysin ja euroa/QALY-suureen käytännön sovellettavuuden rajoitteet. Terveystaloustiedekään ei tarjoa yksiselitteistä vastausta siihen, miten pitäisi tai kannattaisi toimia. Kustannusvaikuttavuusanalyysia kannattaa ehdottomasti hyödyntää, mutta terveystaloustieteen päätöksentekokriteereitä ja menetelmiä ei voida valjastaa välineiksi teknokraattiseen päätöksentekoon. Tarvittaessa terveystaloustieteen tarjoamat eksplisiittiset päätöksentekokriteerit voidaan ohittaa ja näin monessa maassa tehdäänkin vaikka taloudellista arviointia laajamittaisesti sovellettaisiin (esimerkiksi syöpälääkkeiden rahoitus Cancer Drug Fundista Englannissa). Jotta kustannusvaikuttavuusarviointi hyödyt-

## YDINASIAT

- ▶ Terveystaloustiede ja kustannusvaikuttavuusarviointit eivät yksinään tarjoa ratkaisua priorisointiin.
- ▶ Avoin keskustelu arvovalinnoista ja menetelmiin liittyvistä rajoitteista on välttämätöntä.
- ▶ Terveystaloustieteen joudutaan hyväksymään päätöksenteon moniulotteisuus ja kontekstisidonnaisuus kuten kaikessa yhteiskuntapoliittisessa päätöksenteossa.

täisi priorisointia ja muuta päätöksentekoa parhaimmalla mahdollisella tavalla, on välttämätöntä käydä julkista keskustelua aiemmin mainituista arvovalinnoista ja löytää ratkaisuja esitettyihin haasteisiin. Vaikka artikkelissa käsiteltiin aiheita lääkehoitojen näkökulmasta, ovat edellä esitetyt näkemykset monilta osin huomion arvoisia myös muiden terveydenhuollon menetelmien kohdalla.

Suomessa kustannusvaikuttavuuden arviointi nyky muodossaan ja nykyisen kaltaisessa toimintaympäristössä tuskin voi toimia ainoana eettisenä priorisointiperusteena. Rakenteisiin ja analyyseihin liittyvät tekijät voivat nykyisellään johtaa tieteellisesti kyseenalaiseen ja legitimitetiltään heikkoon päätöksentekoon. Kuten Saarni (4) toteaa, niin viime kädessä ”Kyse on siitä, miten, millä perusteilla ja kenen toimesta terveydenhuollon tieteellinen ja taloudellinen oikeuttaminen toteutetaan. Konkreettisesti kyse on siitä, millä perusteilla lääkärit ja potilaat saavat yhdessä päättää hoidosta – ja millä perusteella jokin muu taho voi ohittaa tämän oikeuden.” ■

JUHA LAINE, FT, terveystaloustieteen dosentti,  
terveystaloustaloustieteen päällikkö  
Pfizer Oy

**SIDONNAISUDET**  
Työsuhde (Pfizer Oy)

**KIRJALLISUUTTA**

1. Kukkonen J, Myllykangas M. Terveysterveystuollossa on pakko priorisoida. Helsingin Sanomat 14.3.2014.
2. Pekurinen M, Puska P, ym. Terveysterveystuollossa menojen hillintä: rahoitusjärjestelmän ja ennaltaehkäisymerkitys. Valtioneuvoston kanslian julkaisusarja 4. Helsinki: Valtioneuvoston kanslia 2007.
3. Kanniainen V, Laine J, Himberg K, Männik T. Potilaiden oikeudet, priorisointi ja terveydenhuollon menetelmien arvioinnin legitimiteetti – elämää suurempia kysymyksiä. Julkaisussa: Mäklin S, toim. Terveystaloustiede 2014: Työpäperi 3/2014. Helsinki: Terveystuollossa ja hyvinvoinnin laitos 2014, s. 77–81.
4. Saarni S. Vaikuttavuuden huomiointi terveydenhuollon päätöksenteossa: eettinen analyysi. Väitöskirja. Turun yliopisto sekä Terveystuollossa ja hyvinvoinnin laitos 2010.
5. Cookson R, Claxton K, toim. The humble economist: Tony Culyer on health, health care and social decision making. York: University of York and Office of Health Economics 2012.
6. Nord E. Cost-value analysis in health care – making sense out of QALYs. Cambridge: Cambridge University Press 1999.
7. Vainiola T, Pettilä V, Roine RP, Räsänen P, Rissanen AM, Sintonen H. Comparison of two utility instruments, the EQ-5D and the 15D, in the critical care setting. Intensive Care Med 2010;36:2090–3.
8. Vainiola T, Roine RP, Pettilä V, Kantola T, Räsänen P, Sintonen H. Effect of health-related quality-of-life instrument and quality-adjusted life year calculation method on the number of life years gained in the critical care setting. Value Health 2011;14:1130–4.
9. Saarni S. Health-related quality of life and mental disorders in Finland. Helsinki: National Public Health Institute A9/2008.
10. Sintonen H. The 15-D Measure of health-related quality of life: reliability, validity and sensitivity of its health state descriptive system. Working paper 41. Melbourne: Centre for Health Program Evaluation 1994.
11. National Institute for Health and Care Excellence. Appraising Orphan Drugs: draft v3 [verkkodokumentti]. NICE 2006. [www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/smt/120705item4.pdf](http://www.nice.org.uk/niceMedia/pdf/smt/120705item4.pdf).
12. Devlin N, Parkin D. Does NICE have a cost-effectiveness threshold and what other factors influence its decisions? A binary choice analysis. Health Econ 2004;13: 437–52.
13. Hallinen T, Soini EJ. The impact of the pharmaceutical pricing system on cost-effectiveness results: Finnish analysis. Open Pharmacoecoon Health Econ J 2011;3:6–10.

**Summary****Cost-effectiveness alone is not sufficient as basis for prioritization**

Cost-effectiveness has been suggested as the sole ethical basis for prioritization systems. The methods of health economics per se may be beneficial in decision making situations of various types. The structure of Finnish healthcare system and value-based choices associated with the application of cost-effectiveness make, however, utilization more difficult than thought. Analysis of cost-effectiveness is worth using, but criteria and methods of decision making of health economics cannot be harnessed as tools for technocratic decision-making. Value-based choices should be subjected to wide public debate.