

Prioritering og betalingsvillighed

Workshop 6. September 2024





DSSØ
DANSK SELSKAB FOR SUNDHEDSØKONOMI

Program

- 09:00 Velkommen og introduktion v. Rasmus Trap Wolf
- 09:20 Betalingsvillighed i Sverige og alternativomkostninger v. Martin Henriksson
- 10:10 Betalingsvillighed og -kriterier i Norge v. Jan Abel Olsen
- 11:00 Pause
- 11:15 Praktisk erfaring med lægemiddelansøgninger på tværs af norden v. Signe Thybo
- 11:55 Beslutningstagning og betalingsvillighed i praksis v. Dorte Gyrd-Hansen
- 12:20 Debat med oplægsholdere
- 12:50 Tak for i dag - frokost to-stay / to-go

Betalingsvillighed i Danmark?

- Spørgsmålet om værdisætning af interventions effekter gælder ikke kun Medicinrådet

Betalingsvillighed i Danmark?

- Samfundsøkonomiske analyser jvf. FMs ”Vejledning i samfundsøkonomiske konsekvensvurderinger”
 - Fx påvirkning af luftforurening eller trafiksikkerhed
 - Cost-benefit tilgang
 - Værdien af et statistisk liv (VSL) og værdien af et statistisk leveår (VOLY)
 - Baseret på dansk hypotetiske WTP studie fra 2016
 - Villighed til at betale særlig skat pr. år for at mindske egen risiko for at dø i trafikken
 - Fx 5 til 3 ud af 10.000 over 10 år (800 færre trafikdræbte)

Værdien af leveår (VOLY) (2023-priser)	1,6 mio. kr./år	~1,6 mio. kr./0,9 = 1,8 mio. kr./QALY
Værdien af statistisk liv (VSL) (2023-priser)	41 mio. kr.	

Betalingsvillighed i Danmark?

- Ikke-medicinske interventioner
- Behandlingsrådet - Medicoteknisk udstyr
 - Først: Teknologien må ikke medføre meromkostninger eller giver mindre kvalitet
 - Siden: Effekten af en teknologi skal stå mål med omkostningerne
- Andre typer interventioner
 - Fx psykoterapi, kirurgi, fysioterapi
 - Ingen faste nationale processer
- Medicintilskudsnettet
 - Mulighed for cost-utility
 - Indikation 250.000 kr

Referat af Medicintilskudsnetnets møde nr. 455, tirsdag den 20. September 2016

Ansøger har medsendt en sundhedsøkonomisk analyse. Analysen finder en pris pr vunden QALY på ca. 240.000 kr.

(red. KORA vurderer) forholdet mellem effekt og omkostninger ikke usædvanligt højt i forhold til anden ny medicin

Nævnet... bemærker... at prisen pr vunden QALY ligger tæt på grænsen for, hvad der normalt betragtes som omkostningseffektivt

Betalingsvillighed i Danmark?

- Medicinrådet
 - Ingen eksplicit betalingsvilje
 - 7 Principper

Betalingsvillighed i Danmark?

- 1. Faglighed: Ved vurdering af lægemidler skal der ske en grundig og systematisk vurdering af den behandlingsmæssige gevinst for patienterne samt den dokumentation, der ligger til grund herfor. Ved vurderingen af lægemidler skal der inddrages den nødvendige og tilstrækkelige faglige ekspertise.
- 2. Uafhængighed: Vurdering af lægemidler skal ske ud fra objektive kriterier og på baggrund af faglige vurderinger, således at der sikres et uafhængigt udarbejdet beslutningsgrundlag og derved armslængde til det politiske niveau.
- 3. Geografisk lighed: Der skal ske en ensartet ibrugtagning og anvendelse af lægemidler på tværs af hele landet. Der skal desuden være entydighed i, hvordan de forskellige regioner og sygehuse håndterer de tilfælde, hvor lægemidler afvises til ibrugtagning som standardbehandling.
- **4. Åbenhed: Der skal være størst mulig åbenhed i vurderingen af lægemidler.** Dvs. at der skal være åbenhed om både processer, metoder, kriterier og det materiale, der udarbejdes i forbindelse med vurderingen af lægemidler. Det skal således være **muligt for alle at se grundlaget og begrundelserne for at til- eller fravælge nye lægemidler**, jf. også Transparensdirektivets krav i forhold til objektivitet og gennemsigtighed. **Åbenheden har også til formål at facilitere en offentlig debat.**
- 5. Hurtig ibrugtagning af ny, effektiv medicin: Patienter skal have gavn af behandlingsmæssige fremskridt. Danmark skal fortsat være et af de lande, der hurtigst ibrugtager nye lægemidler, hvor der er dokumenteret mereeffekt. Den 31. marts 2016 Side 2 Side 2
- 6. Mere sundhed for pengene: Midlerne i sundhedsvæsenet, herunder til sygehuslægemidler, skal bruges med omtanke, da det ellers kan få konsekvenser for forebyggelse, behandling eller pleje i andre dele af sundhedsvæsenet. Nye lægemidler, som har en veldokumenteret mereeffekt skal ikke afvises alene på grund af økonomi. **Såfremt et nyt lægemiddel skal være standardbehandling, skal der således være et rimeligt forhold mellem prisen på det nye lægemiddel og den merværdi, som lægemidlet vurderes at kunne tilbyde sammenlignet med eksisterende standardbehandling.**
- 7. Adgang til behandling: Der skal sikres lige adgang for både store og små patientgrupper og tages højde for patienters individuelle behov. Det skal være muligt ud fra en konkret lægefaglig vurdering at behandle med lægemidler, som er afvist til standardbehandling. Det gælder eksempelvis i forhold til at kunne yde behandling af høj kvalitet til patienter med sjældne sygdomme eller i forhold til at kunne behandle for at undgå funktionsnedsættelse.

+ Alvorlighed = højere betalingsvilje

+ Forsigtighed = budget impact

Betalingsvillighed i Danmark?

- Ingen officiel betalingsvillighed eller officielle moderatører af betalingsvillighed
- Hvad så?
- Erfaringsbaseret betalingsvillighed (hvad plejer vi at gøre)?



Cost-effectiveness threshold in Denmark's new health technology assessment process: what do we know so far?

Rebecka Svensson¹, Ismahan Shire¹, Catarina Vitor², Peter Carlqvist²
rebecka.sve@hotmail.com, ismahan-shire@hotmail.com, catarina.vitor@nordicmarketaccess.com,
peter.carlqvist@nordicmarketaccess.com

¹Karolinska Institutet, Stockholm, Sweden; ²Nordic Market Access NMA AB, Stockholm, Sweden.



gpm@n

- ~ 450.000 – 970.000 DKK/QALY
- ~ 330,000 – 460.000 DKK/QALY

Can We Elicit a Willingness to Pay Threshold for Oncology Treatments in Denmark?

Willingness to pay, health opportunity costs, equity considerations and health-care decision making

Martin Henriksson
Senior associate professor
Center for Medical Technology Assessment
Department of health, medicine, and caring sciences
Linköping University

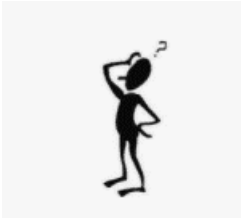
DISCLAIMER

Full time researcher and teacher at Linköping University.

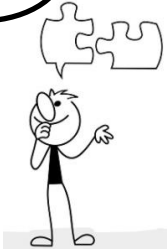
Member of the pharmaceutical benefits board (but I do not represent or speak for the board in meetings like this).

SOME ISSUES THAT I WRESTLE WITH AS A DECISION MAKER

Incentives for R&D and keeping costs under control..



It's cost-effective but we cannot afford it...



When is it too expensive?



Societal perspective?



Priority to the worse off?



Pay €4m now and maybe get a benefit in 40 years?



RESEARCH THAT MAY HELP US IN DECISION MAKING

Can patents work without granting market power?
What is a fair price for a pharmaceutical?



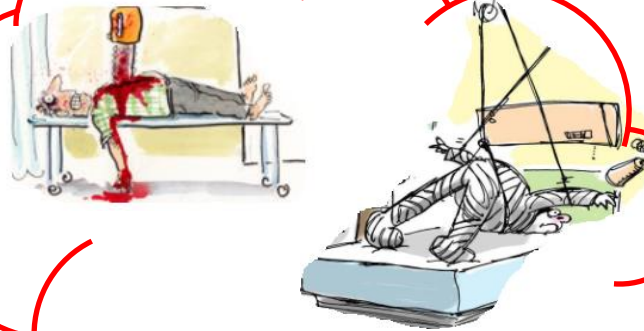
Assessing and interpreting cost-effectiveness



How productive is the health-care system



Equity efficiency trade-off. At what cost fairness?



Flexible budgets and where do opportunity costs fall?



Payment schemes, uncertainty and risk sharing agreements



OUTLINE

A brief overview of the Swedish system as it is my case study

When is a treatment too expensive?

- Willingness to pay
- Health opportunity costs

Equity efficiency trade-offs

Societal perspective

SWEDEN

Men's FIFA ranking 29 (21)
Women's FIFA ranking 5 (12)

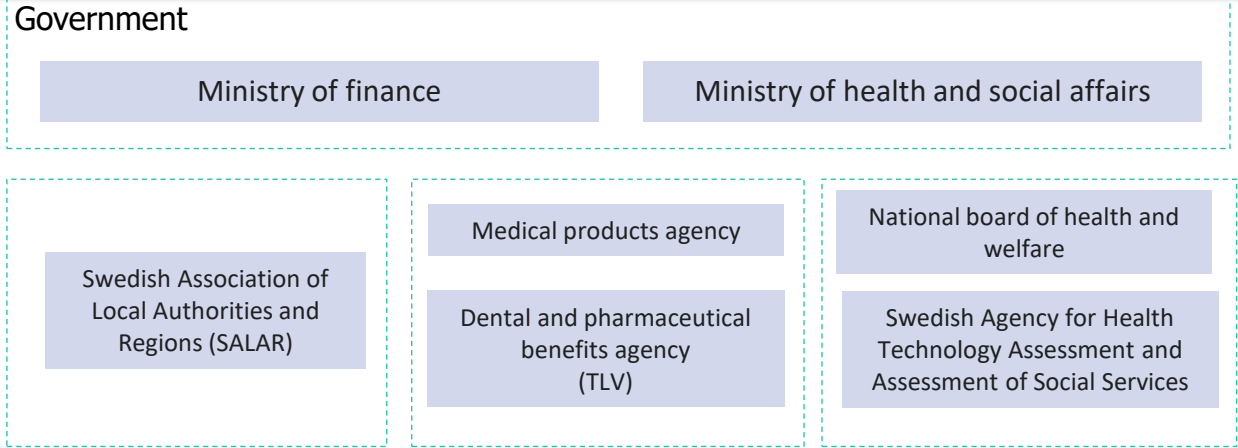


Olympic medals

16	 Sverige	4	4	3	11
29	 Danmark	2	2	5	9

BRIEF OVERVIEW OF SWEDEN

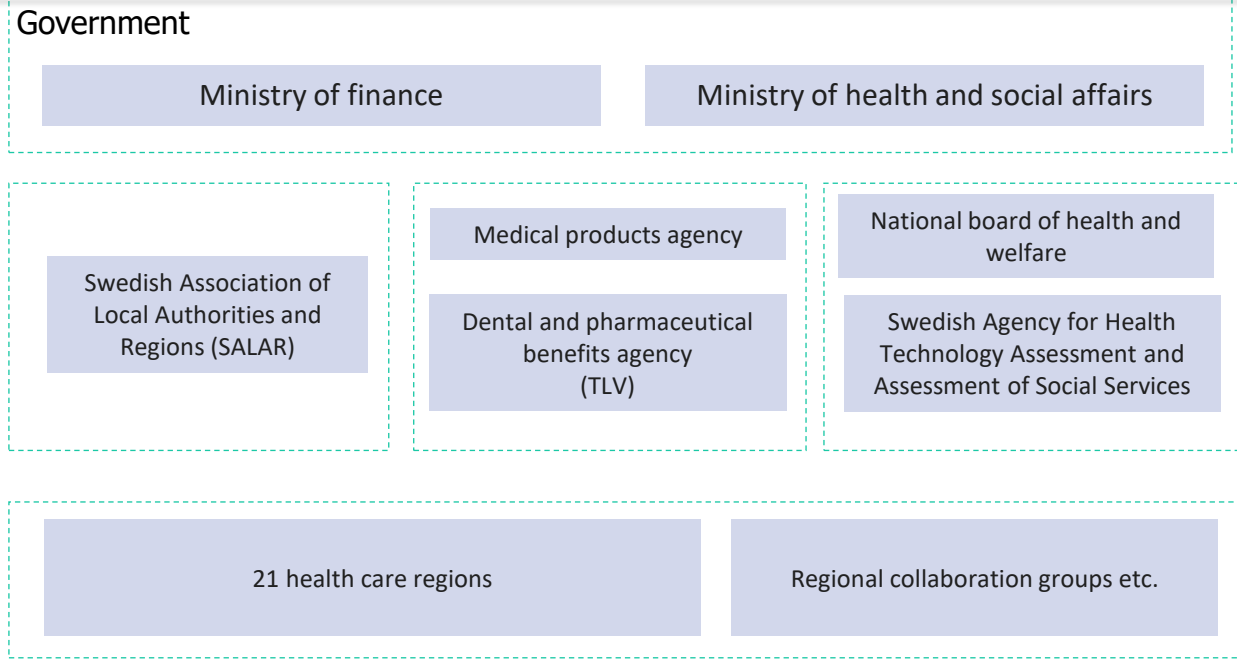
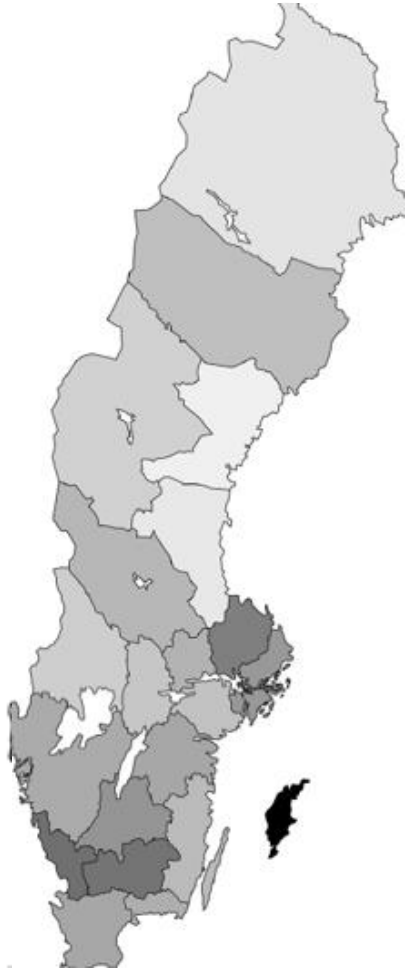
National



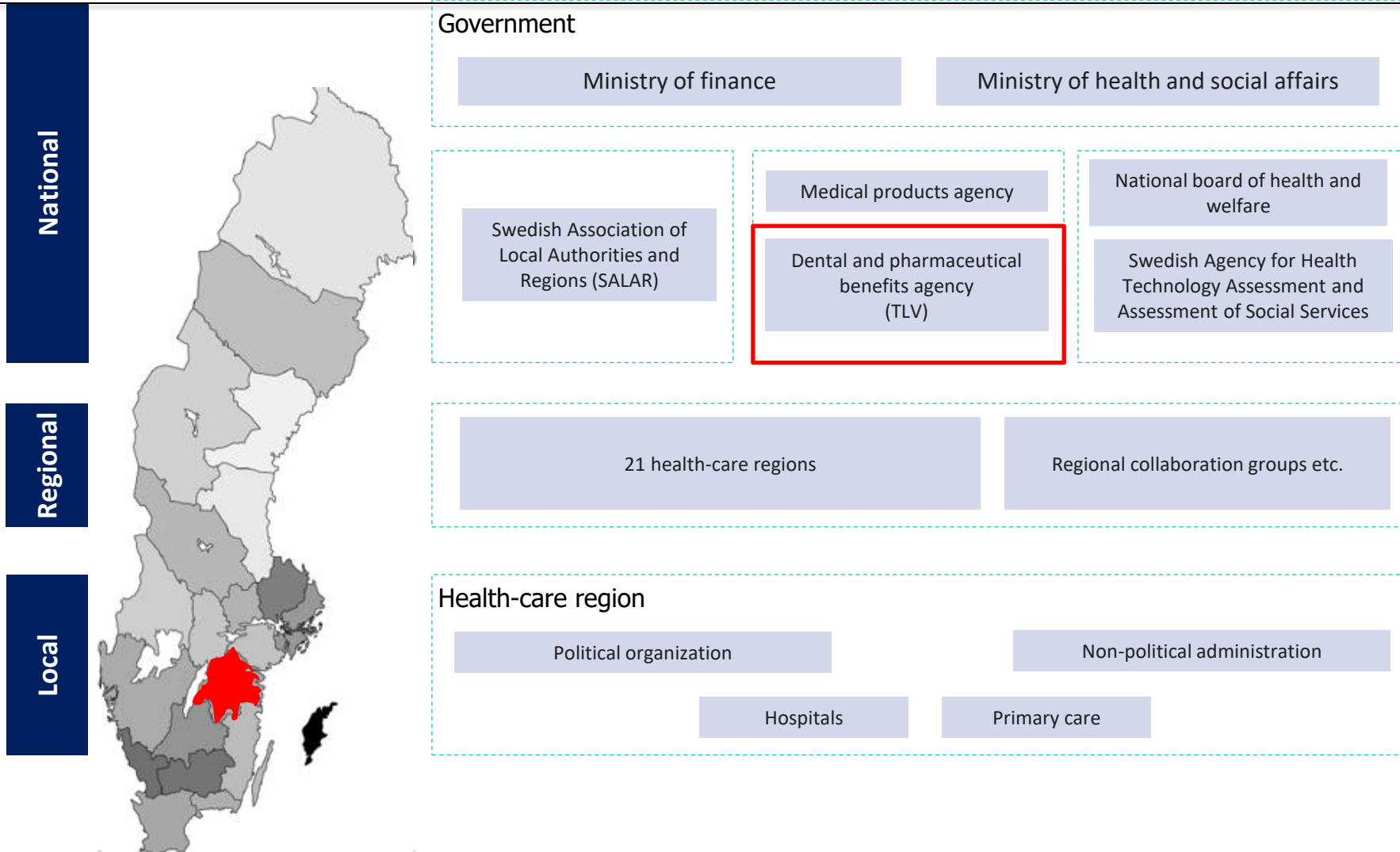
BRIEF OVERVIEW OF SWEDEN

National

Regional



BRIEF OVERVIEW OF SWEDEN

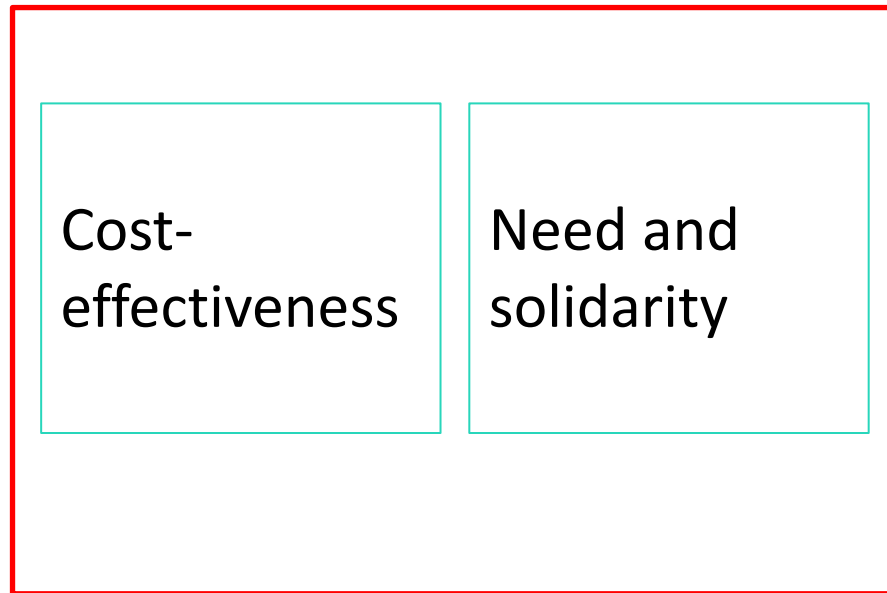


Priority setting principles in Sweden – legislated ‘constraints’

- The principle of human dignity
 - all individuals have equal rights regardless of personal characteristics and position in society
- The principle of need and solidarity
 - resources should be used in domains (or patients) where needs are considered largest
- The principle of cost-effectiveness
 - resources should be used in the most effective way without neglecting fundamental duties concerning the improvement of health and quality of life

HEALTH CARE PRIORITY SETTING IN SWEDEN – THE ETHICS PLATFORM

Principle of human dignity



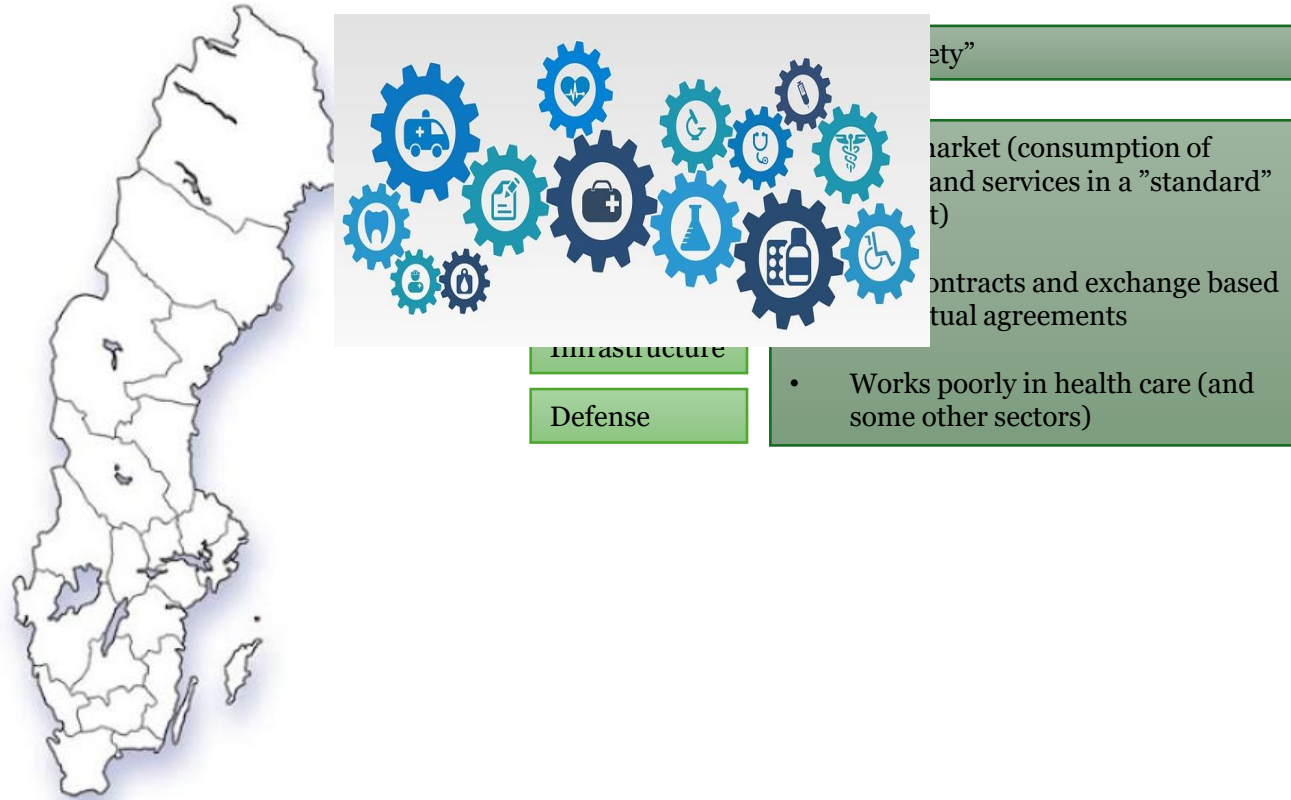
RESOURCE ALLOCATION IN A SOCIETY



"Society"

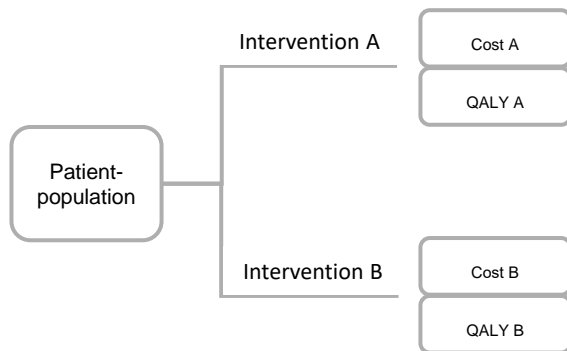
- Free market (consumption of goods and services in a "standard" market)
- Free contracts and exchange based on mutual agreements
- Works poorly in health care (and some other sectors)

RESOURCE ALLOCATION IN A SOCIETY

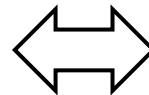


A PUBLICLY FUNDED HEALTHCARE SECTOR

Health economic evaluations
Costs and effects of specific interventions



$$\text{ICER} = \frac{\text{Cost A} - \text{Cost B}}{\text{QALY A} - \text{QALY B}}$$



Productivity of the health care sector
How can we maximize health with given resources...



And do we care about how health is distributed?
Legislation says yes...

A PUBLICLY FUNDED HEALTHCARE SECTOR – THROUGH THE INSURANCE LENS

How should insurance market work?

Private

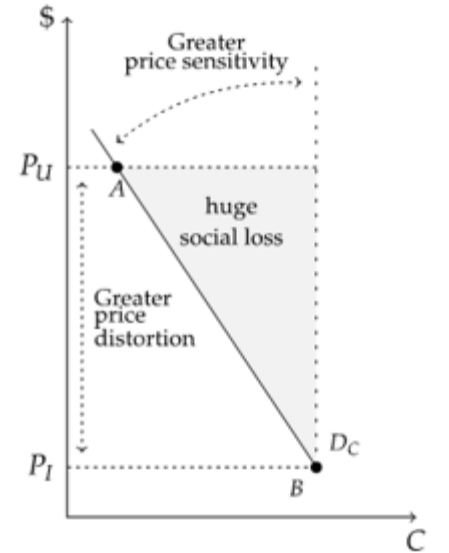
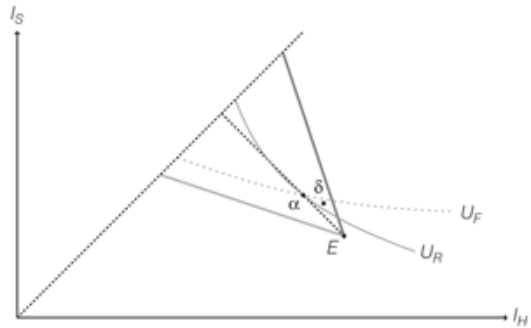
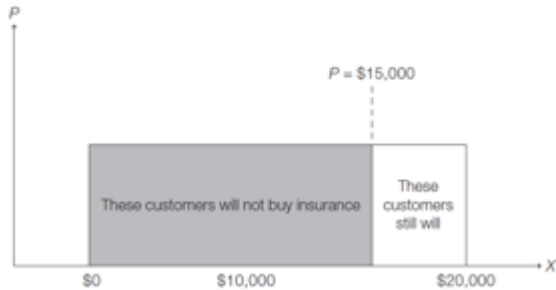
Employer sponsored

Mean tested

Compulsory

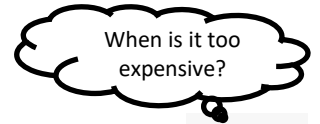
Universal public

Adverse selection Moral hazard



“American” Beveridge/Bismarck

WHEN IS IT TOO EXPENSIVE – TWO APPROACHES



If we fund a new treatment...

... we cannot use those resources on other treatments



Will we gain more health with the new treatment than the health lost due to displacement?

= Is the treatment too expensive?

... or on other things



Is the health gain worth more than the value of other things we cannot do when paying for treatment?

TURNING TO THE SCIENTIFIC LAB FOR SOME ANSWERS

Marginal cost of a QALY (k)

The European Journal of Health Economics
<https://doi.org/10.1007/s10198-019-01039-0>

ORIGINAL PAPER

Estimating the marginal cost of a life year in Sweden's public healthcare sector

Jonathan Siverskog¹ · Martin Henriksson¹

Swedish health care can produce a QALY at SEK 180 000 (€20 000)

Treatments with a higher cost per QALY will displace more health than we gain

Willingness to pay for a QALY (v)

The European Journal of Health Economics
<https://doi.org/10.1007/s10198-019-01077-8>

ORIGINAL PAPER

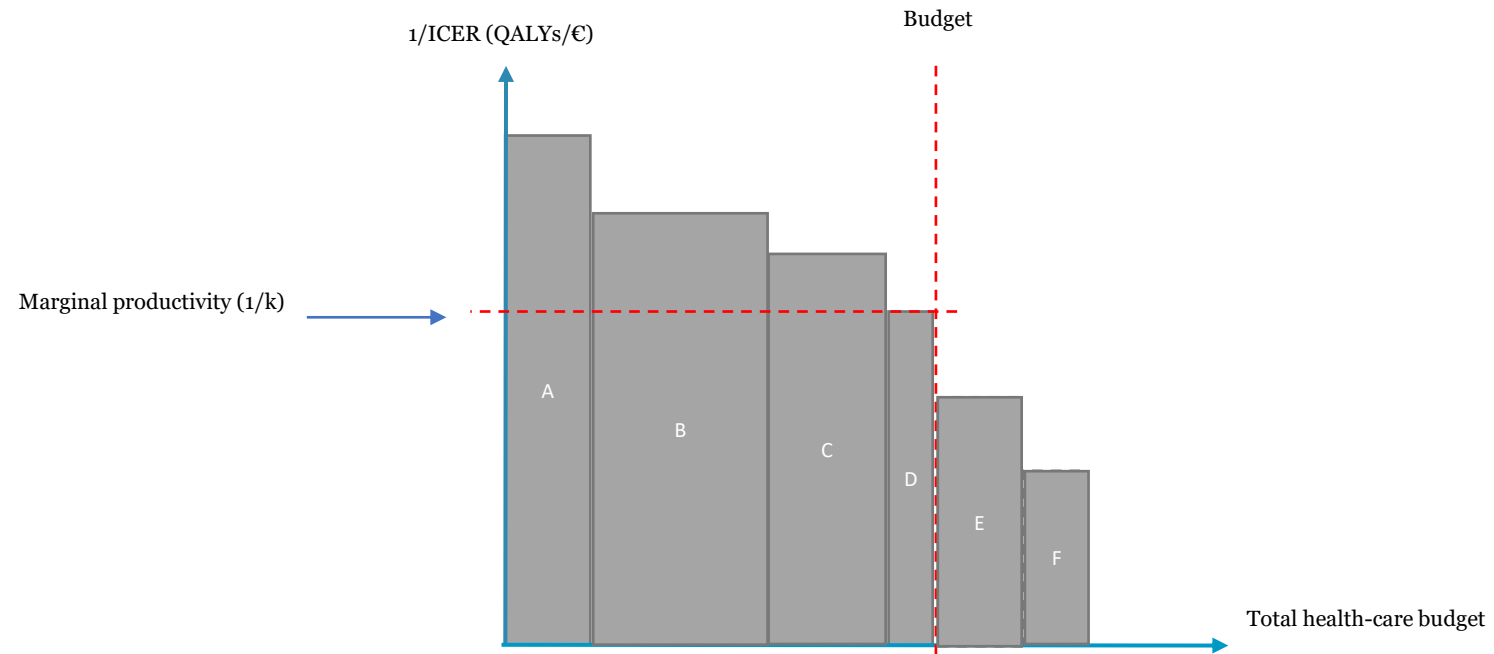
Value of a QALY and VSI estimated with the chained approach

S. Olofsson^{1,2} · U.-G. Gerdtham^{1,2,3} · L. Hultkrantz⁴ · U. Persson¹

Swedes willing to pay SEK 3 million (€300 000) per QALY

Health gains at a higher cost per QALY not worth their costs

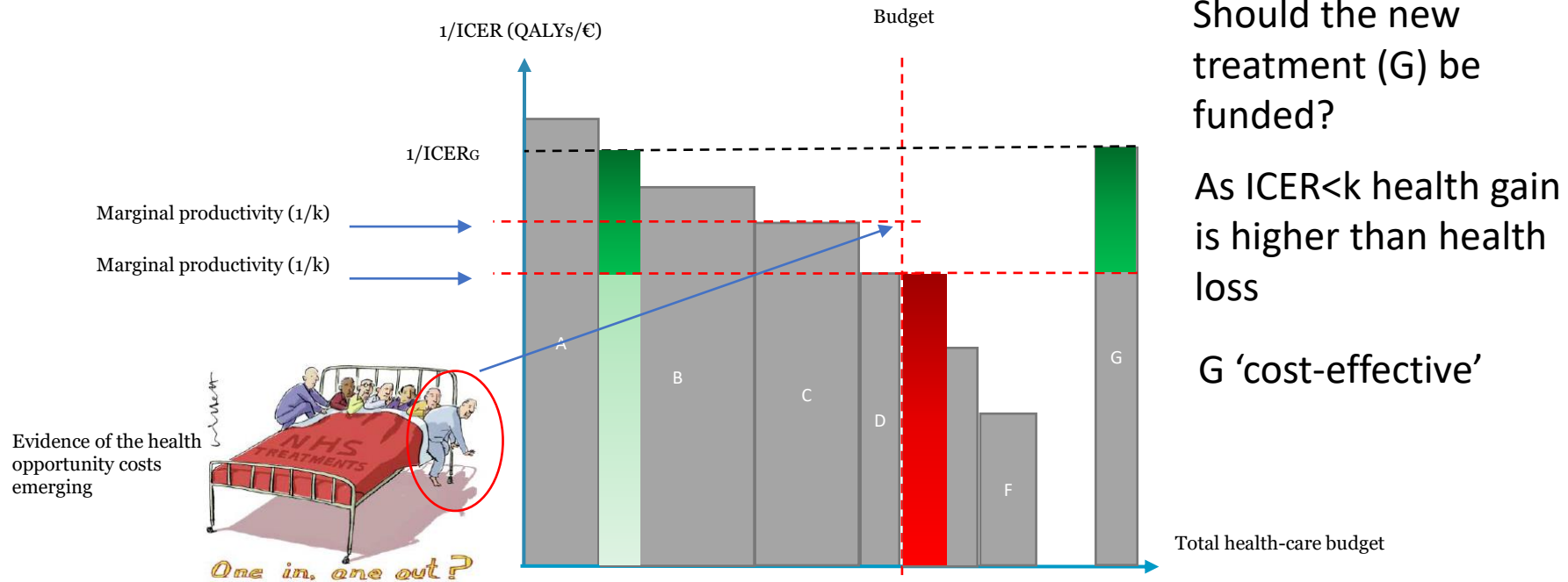
THE MEANING OF k



THE MEANING OF k

ICER < k?

$$\frac{\Delta \text{Costs}}{\Delta \text{QALYs}} < k$$

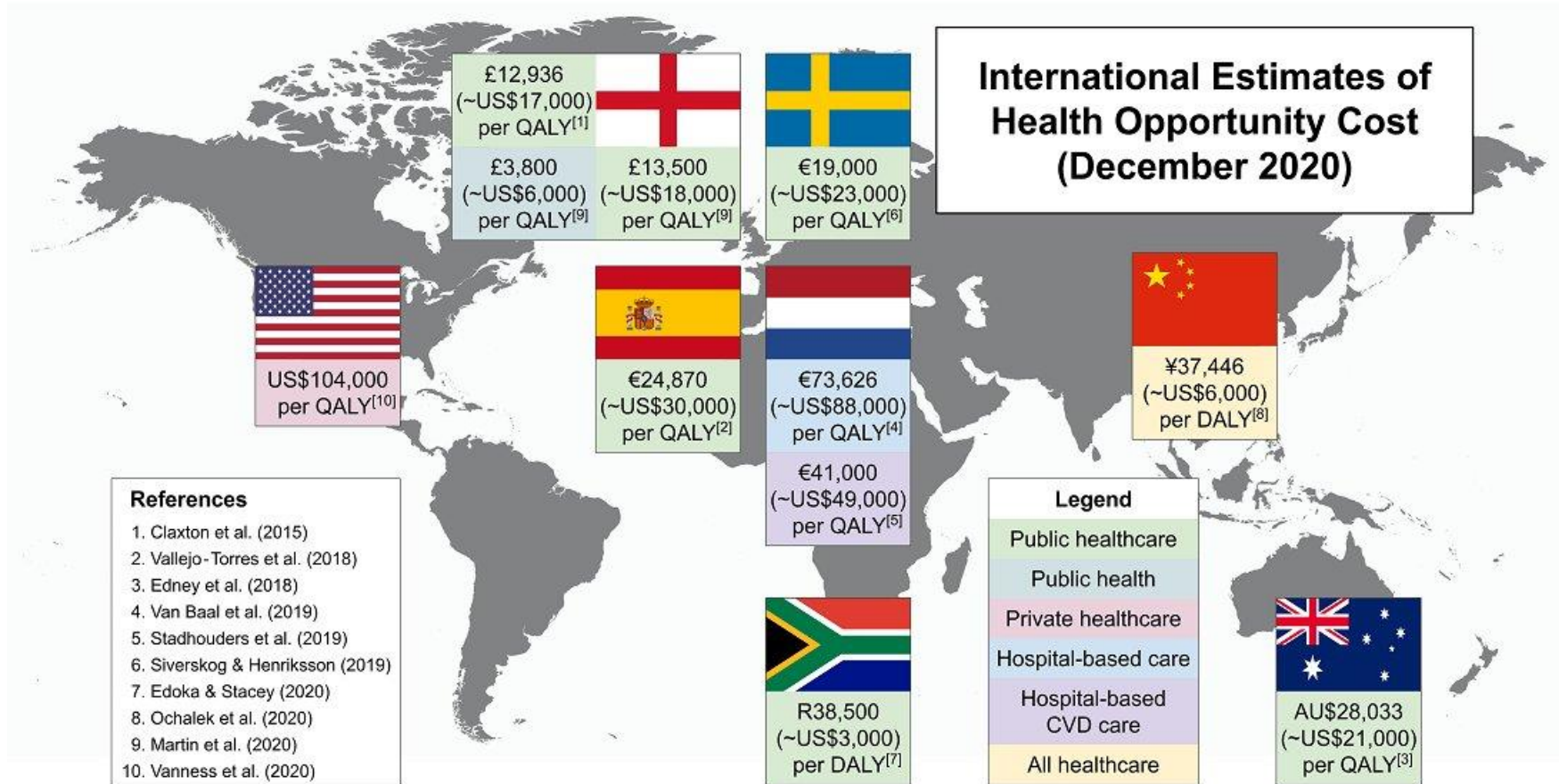


Country	k-estimate	Reference
England	GBP 12 936	Claxton et al. (2015)
Spain	EUR 24 870	Vallejo-Torres et al. (2018)
Australia	AUD 28 033	Edney et al. (2018)
Sweden	SEK 180 000	Siverskog & Henriksson (2019)

G will displace D and generate more QALYs

Health care is now more effective – marginal productivity higher

ESTIMATES OF k



Dr Mike Paulden, School of Public Health, University of Alberta

paulden@ualberta.ca

@mikepaulden

mikepaulden.com

A DIGRESSION REGARDING OUR OWN WORK TRYING TO UNDERSTAND k

The European Journal of Health Economics (2019) 20:751–762
<https://doi.org/10.1007/s10198-019-01039-0>

ORIGINAL PAPER



Estimating the marginal cost of a life year in Sweden's public healthcare sector

Jonathan Siverskog¹  · Martin Henriksson¹ 

Received: 15 November 2018 / Accepted: 12 February 2019 / Published online: 22 February 2019
© The Author(s) 2019

THE MARGINAL COST OF PRODUCING A LIFE YEAR IN SWEDEN

Panel data (N=20, T=14)

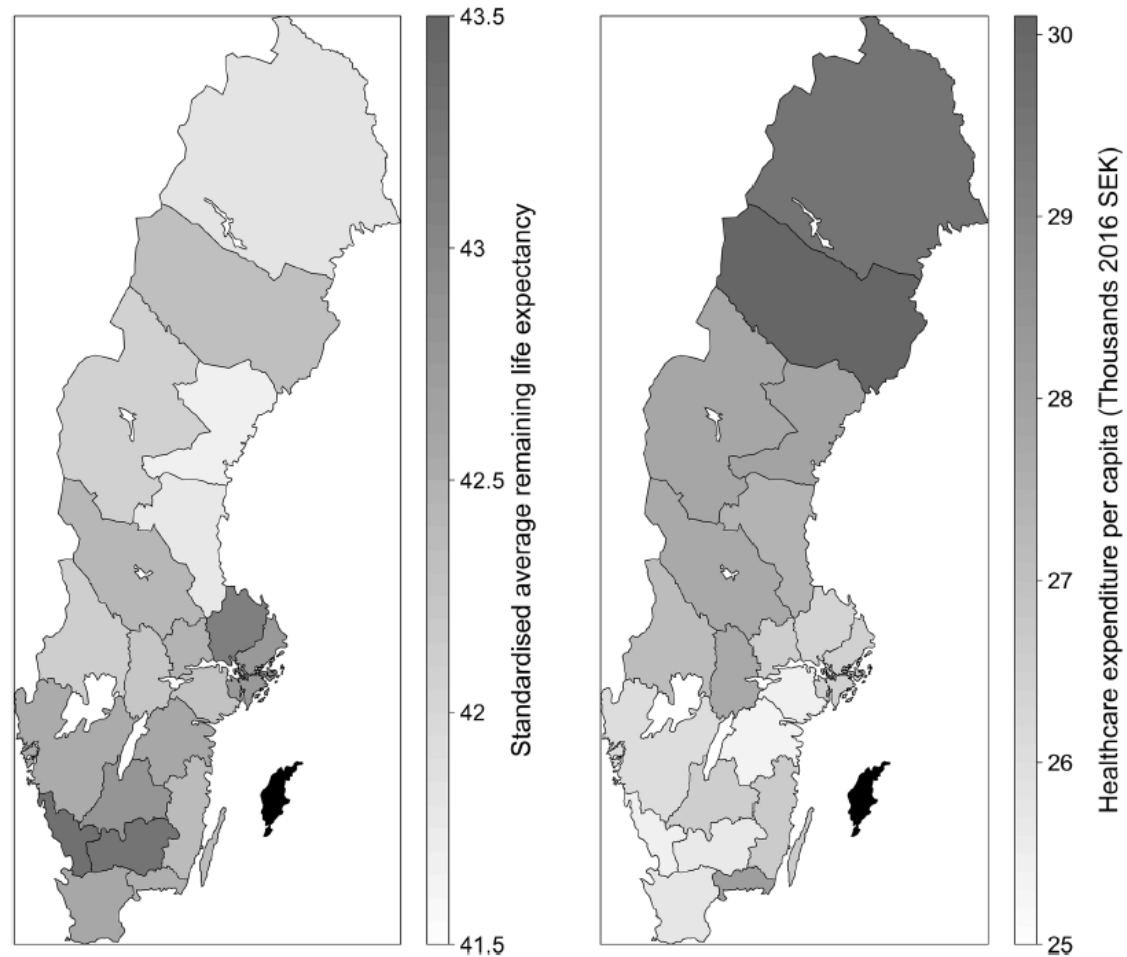


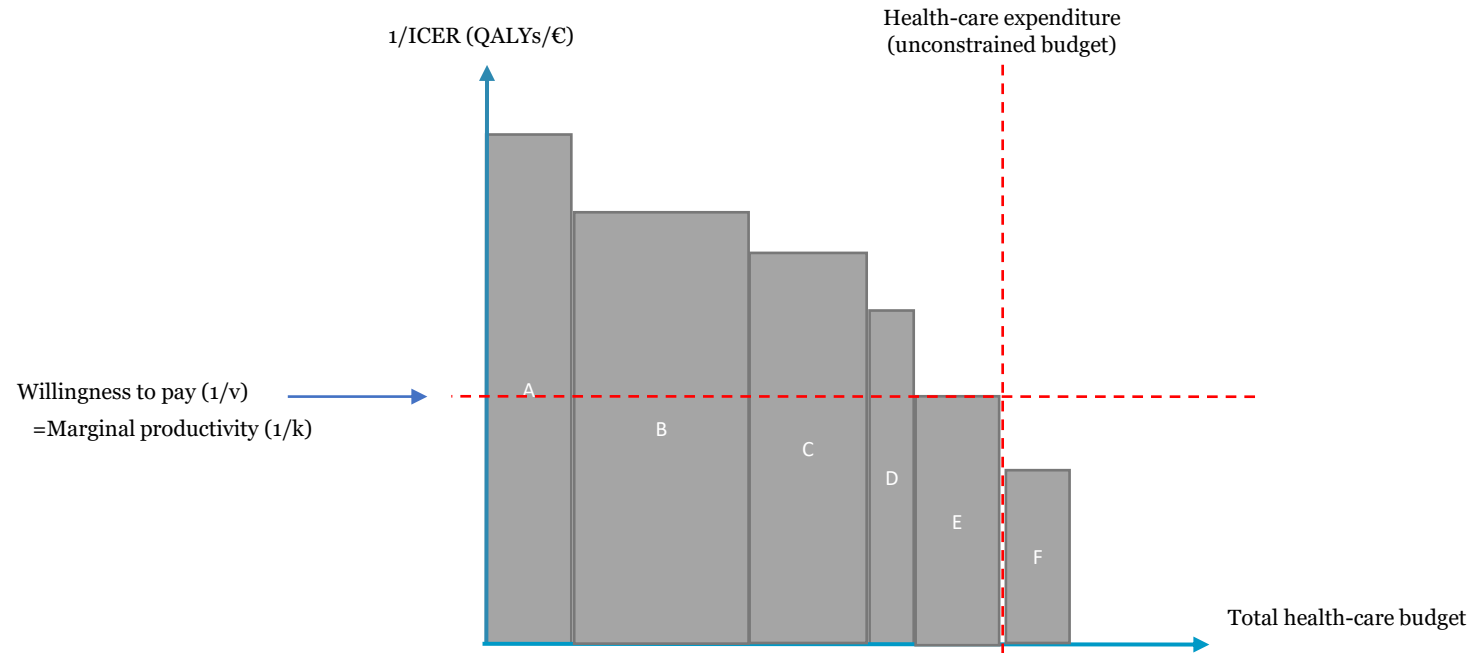
Fig. 2 Regional variation in life expectancy and expenditure, 2003–2016 averages

THE MARGINAL COST OF PRODUCING A LIFE YEAR IN SWEDEN

Main results

- Central estimate of marginal cost per life year is **SEK 367,507**
- Assuming same relative pure QoL-effect as Claxton et al. (2015), **SEK 180,000 per QALY**

THE MEANING OF v

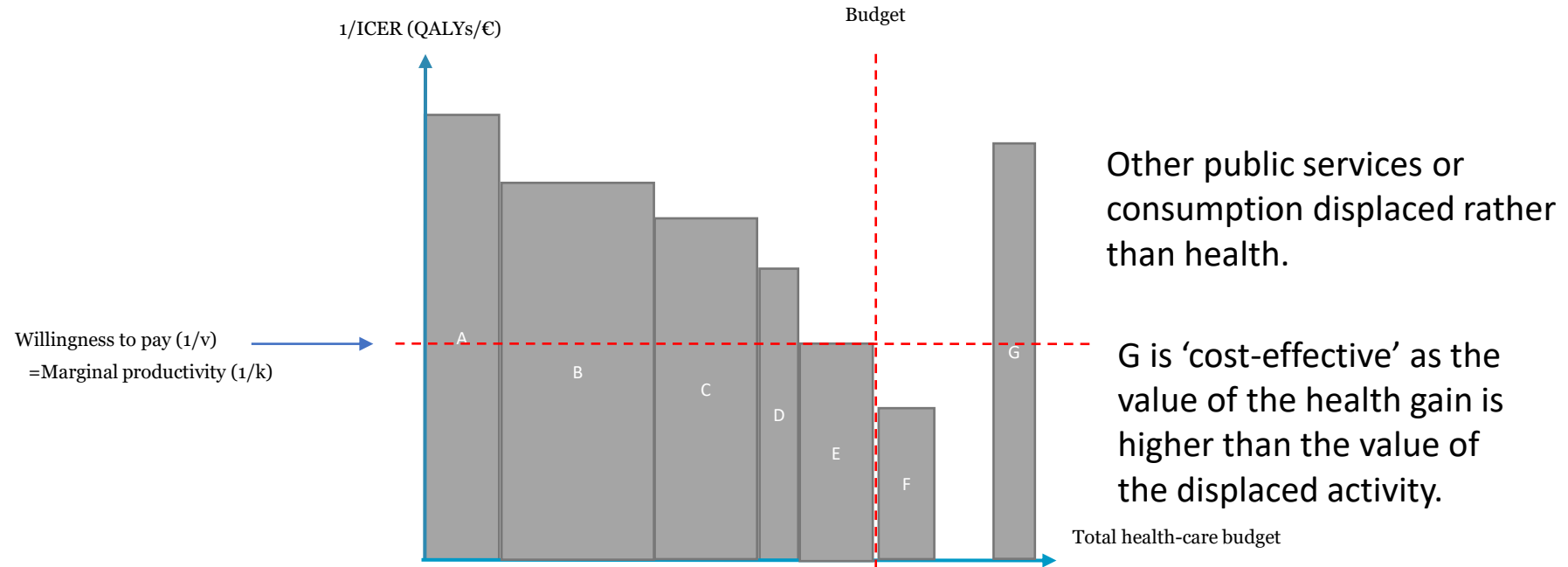


WTP (if estimated appropriately) should in principle tell us the size of the health care budget

THE MEANING OF v

ICER < v ?

$$\frac{\Delta \text{Costs}}{\Delta \text{QALYs}} < v \times$$

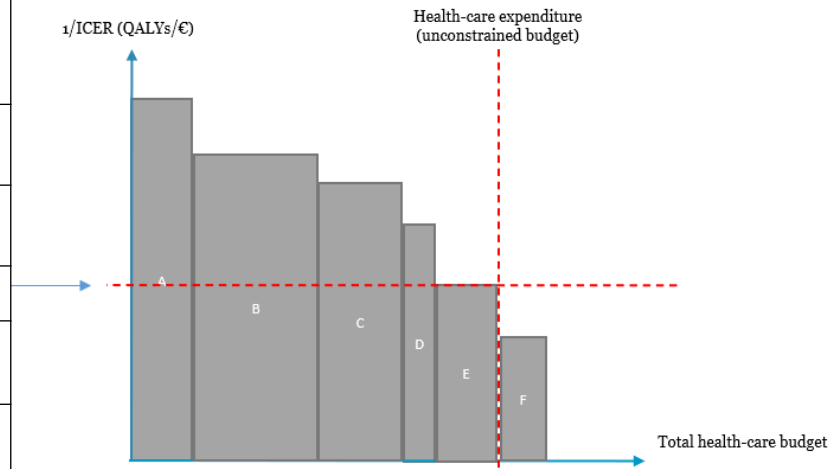


WTP (if estimated appropriately) should in principle tell us the size of the health care budget

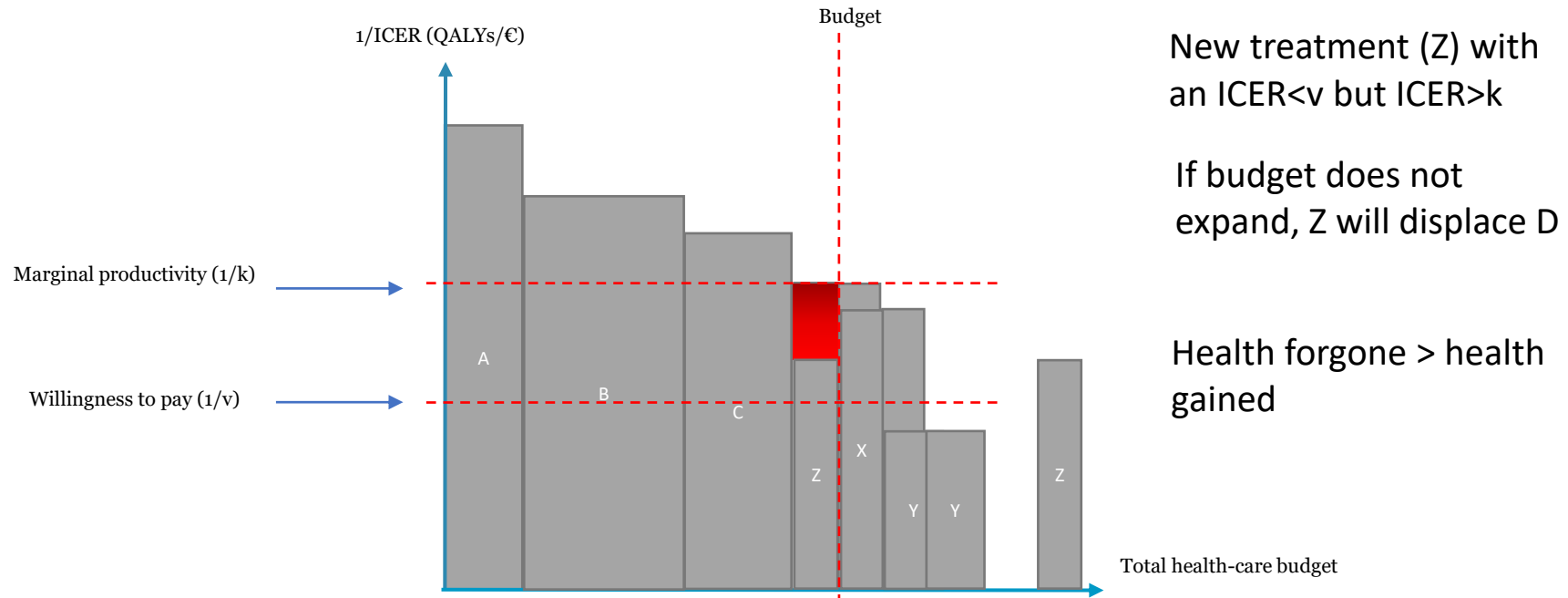
A new treatment with an ICER < v implies the budget should expand

ESTIMATES OF v

Study	Country	Valuation	Estimate
Bobinac	Netherlands	Eliminating the risk of a worse condition (respondent <u>not</u> part of risk group)	€52200-€65100
		Eliminating the risk of a worse condition (respondent part of risk group)	€59200-€83200
Gyrd-Hansen	Denmark	A certain health improvement for the respondent	DKK 88000
Gyrd-Hansen	Denmark	A certain health improvement for the respondent	€2720-€96366
Pennington	Europe	Avoid losing a QALY for the respondent	\$10744-\$29062
Robinson	Europe	A certain health improvement for the respondent	Sweden \$16908-\$35200
Shiroiwa	6 counries	Valuation of 1 QALY for respondent, for a family member, and from a societal 'ought to pay perspective'	Storbritannien \$31000-\$60000 USA \$52000-\$96000
Bobinac	Netherlands	Avoid a health state with certainty	€12900-€24000
Olofsson	Sweden	Chained approach valuing traffic injuries	3 000 000 SEK

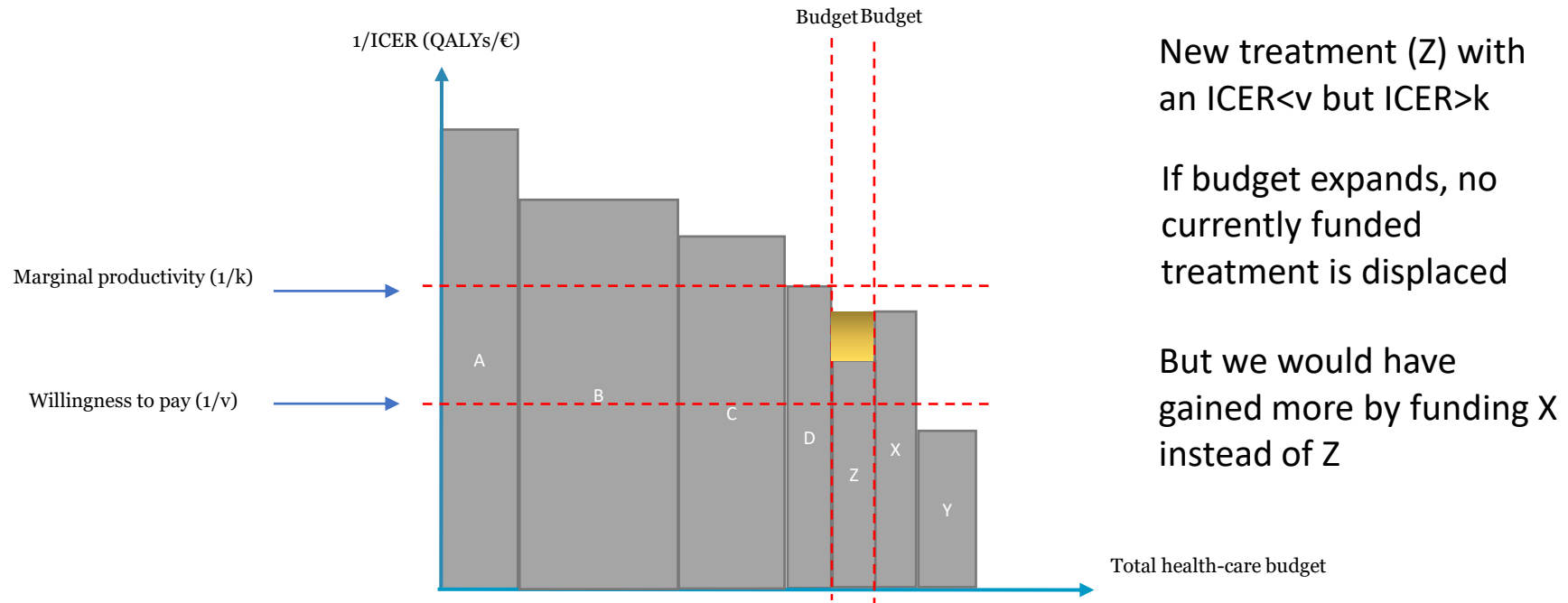


WHEN IS IT COST EFFECTIVE THEN?



WTP (if estimated appropriately) should in principle tell us the size of the health care budget, but does it?

WHEN IS IT COST EFFECTIVE THEN?



WTP (if estimated appropriately) should in principle tell us the size of the health care budget, but does it?

WHEN IS IT COST EFFECTIVE THEN

- If we want to maximize health the role of v seems primarily one of determining if the budget is reasonably set
- $ICER < k$ = cost-effective (health gains > health losses)
- Note that we:
 - Disregard costs not falling on the health-care sector
 - Effects not measured in health
- If the aim is broader welfare maximization we must consider 'all' consequences
- $ICER > k$ indicates that welfare is likely not maximized when funding treatments even if $ICER < v$
- v **and** k must be used to determine if a treatment is cost-effective



A SOCIETAL PERSPECTIVE

- New treatment:
 - 1000 patients
 - $\Delta QALYs = 1.5$ per patient
 - Δ Healthcare costs = 300 000 per patient
 - Reduction in sick leave: +600 000 per patient
- $k = 180\ 000\ \text{SEK} / \text{QALY}$
 $v = 3\ 000\ 000\ \text{SEK} / \text{QALY}$

Gain in treated patients: $1.5\ QALYs \times 1000 = 1500\ QALYs$

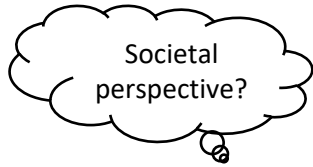
Other patients will lose out (opportunity cost): $\frac{300\ 000\ \text{kr} \times 1000}{180\ 000\ \text{kr} / \text{QALY}} = 1667\ QALYs$

The value of reduction in sick leave corresponds to: $\frac{600\ 000\ \text{kr} \times 1000}{3\ 000\ 000\ \text{kr} / \text{QALY}} = 200\ QALYs$

Healthcare perspective:

~~Net gain = 1500 QALYs - 1667 QALYs + 200 QALYs = 33 QALYs~~

A SOCIETAL PERSPECTIVE



- This type of societal perspective approach to evaluation is not common (yet)
- With large consequences outside the health-care sector the perspective may be crucial for the result of the evaluation (and prioritization decision)
- With a societal perspective we must compare (and trade-off) health gain against e.g. private consumption



Developing a Value Framework: The Need to Reflect the Opportunity Costs of Funding Decisions

Mark Sculpher, MSc, PhD^{1,*}, Karl Claxton, MSc, PhD^{1,2}, Steven D. Pearson, MSc, MD³

Applied Health Economics and Health Policy
<https://doi.org/10.1007/s40258-019-00481-8>

PRACTICAL APPLICATION

Striving for a Societal Perspective: A Framework for Economic Evaluations When Costs and Effects Fall on Multiple Sectors and Decision Makers

Simon Walker¹ · Susan Griffin¹ · Miqdad Asaria² · Aki Tsuchiya³ · Mark Sculpher¹

A MESSY BOOKSHELF AND THE INTERPRETATION OF K

- k is not determined by a single treatment
- Reimbursing drug A does not mean that withdrawing reimbursement of drug B
- More likely that displacement is more subtle
- Bookshelf in reality not nicely 'ordered'

Health Economics, Policy and Law (2016), 11, 415–432 © Cambridge University Press 2016
doi:10.1017/S1744133116000049

Debate

Cost-effectiveness thresholds in health care: a bookshelf guide to their meaning and use

ANTHONY J. CULYER*

Brief Report

Mutually Exclusive Interventions in the Cost-Effectiveness Bookshelf

Jonathan Siverskog  and Martin Henriksson

MDM
Medical Decision Making

Medical Decision Making
2020, Vol. 40(3) 399–403
© The Author(s) 2020



Article reuse guidelines:

sagepub.com/journals-permissions
DOI: 10.1177/0272989X20912261
journals.sagepub.com/home/mdm

 SAGE

ANOTHER DIGRESSION REGARDING OUR OWN WORK TRYING TO UNDERSTAND k

Social Science & Medicine 313 (2022) 115399



ELSEVIER

Contents lists available at [ScienceDirect](#)

Social Science & Medicine

journal homepage: www.elsevier.com/locate/socscimed



The health cost of reducing hospital bed capacity

Jonathan Siverskog^{a,b,*}, Martin Henriksson^a

^a Centre for Medical Technology Assessment (CMT), Department of Health, Medicine, and Caring Sciences, Linköping University, SE-581 83, Linköping, Sweden

^b Centre for Health Economic Research (HEFUU), Department of Medical Sciences, Uppsala University, Sweden



THE HEALTH COSTS OF REDUCING HOSPITAL BED CAPACITY

The relationship between the change in mortality and change in bed capacity for each region between 2001 and 2019 suggests that regions that made smaller reductions in beds experienced larger decreases in mortality.

This observation formed the motivation for the work, but by itself does not imply that reductions in bed capacity have caused increases in mortality since regions may have experienced different trends in other determinants of mortality that either coincide with or affect bed capacity.

But if we can estimate a relationship between hospital bed reductions and mortality we may have one more piece of the puzzle

+1 hospital bed -> + 3 years in full health (QALYs)
Cost per year in full health 400 000 SEK with more beds
(based on staffed cost per bed)

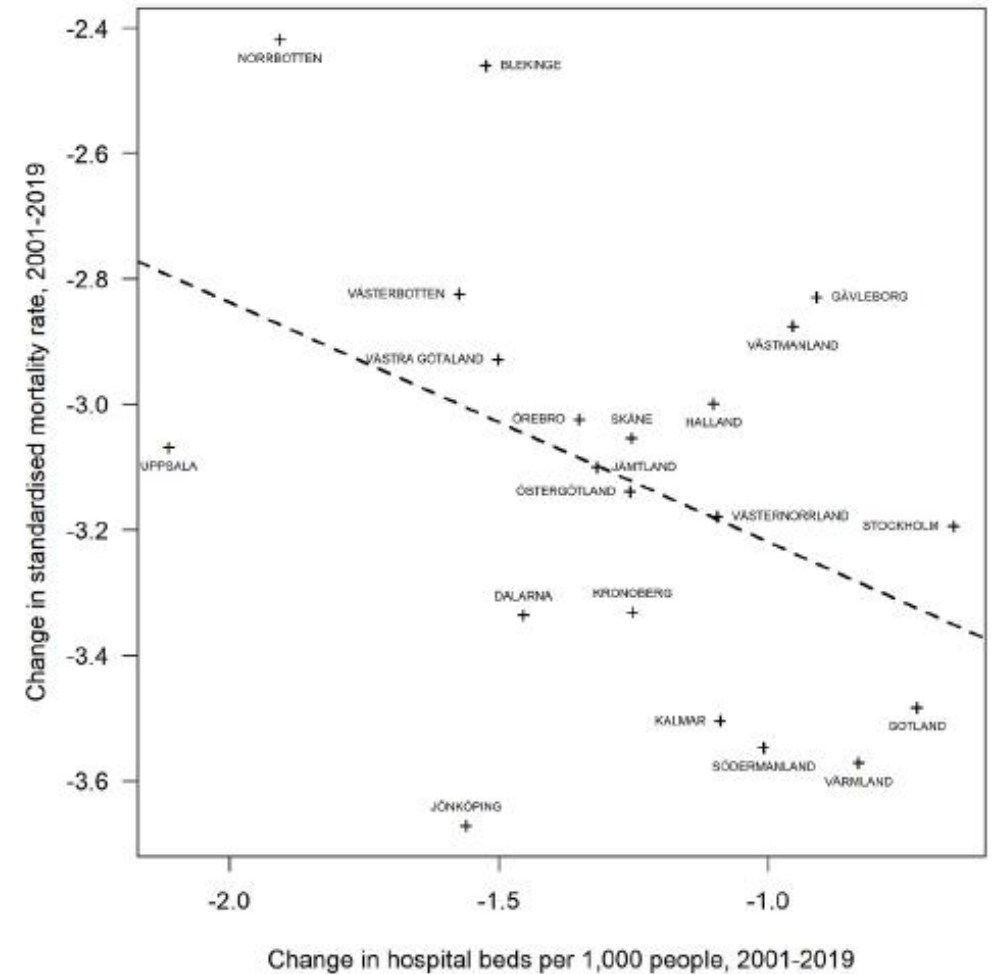


Fig. 3. The association between change in number of hospital beds and change in standardised mortality (deaths per 1000 people) for 21 Swedish regions between 2001 and 2019. Retaining one more bed is associated with 0.38 fewer deaths per year (standard error = 0.21).

PRIORITIZING COST-INEFFECTIVE TECHNOLOGIES

- What about the (in)famous 'threshold'?
- If the aim is to maximize health k could be used as a 'decision' threshold
- Health care often have multiple aims (note the ethics platform in Sweden)
- We may want to prioritize technologies that are not cost-effective

“Giving priority to one group of people means taking it away from another group, though for obvious reasons politicians tend not to dwell on this implication, leaving us to infer, from what is not said, who the ‘low priority’ groups are. In any honest and open discussion of these issues, however, that implication must be faced squarely, and **we must not shrink from identifying who (implicitly) the ‘low priority’ people are, in any particular system of health care.”**

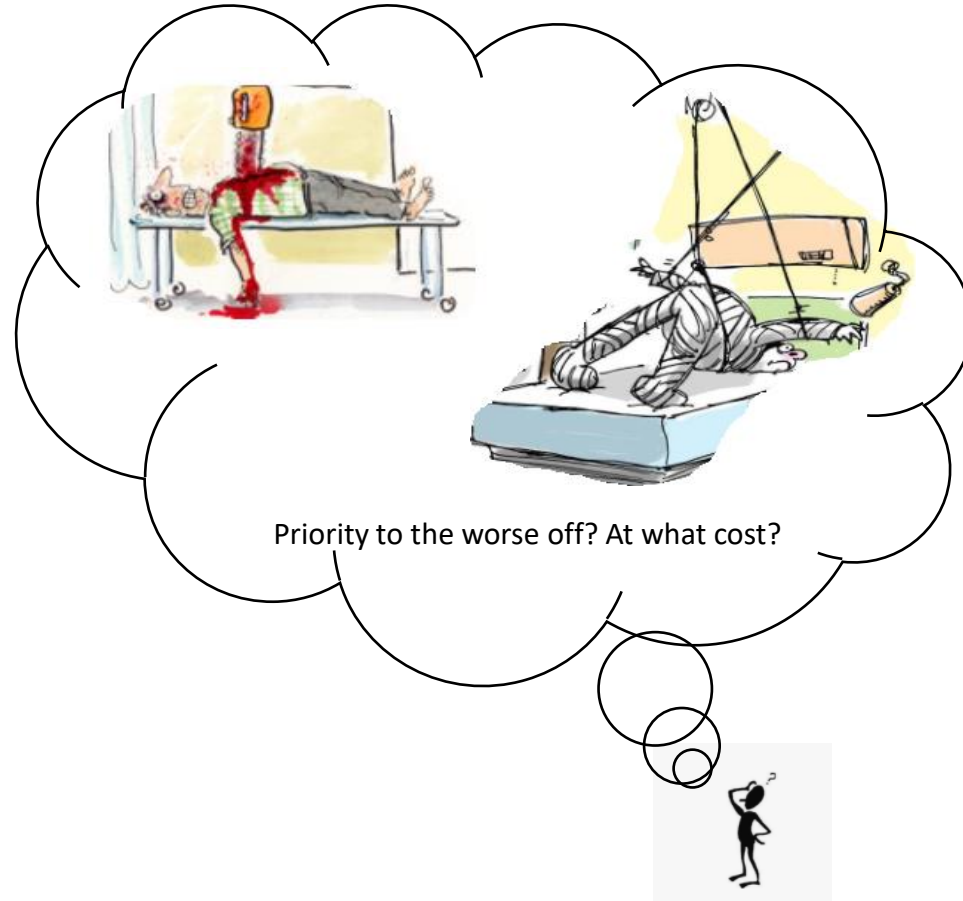
Alan Williams 1988

“How big a sacrifice in the overall health of the population would you be prepared to accept in order to **eliminate the disparities in health between A and B; there is a regrettable tendency for equity arguments to be conducted within a rhetorical framework in which it appears possible to “do good” at no opportunity cost whatever.”**

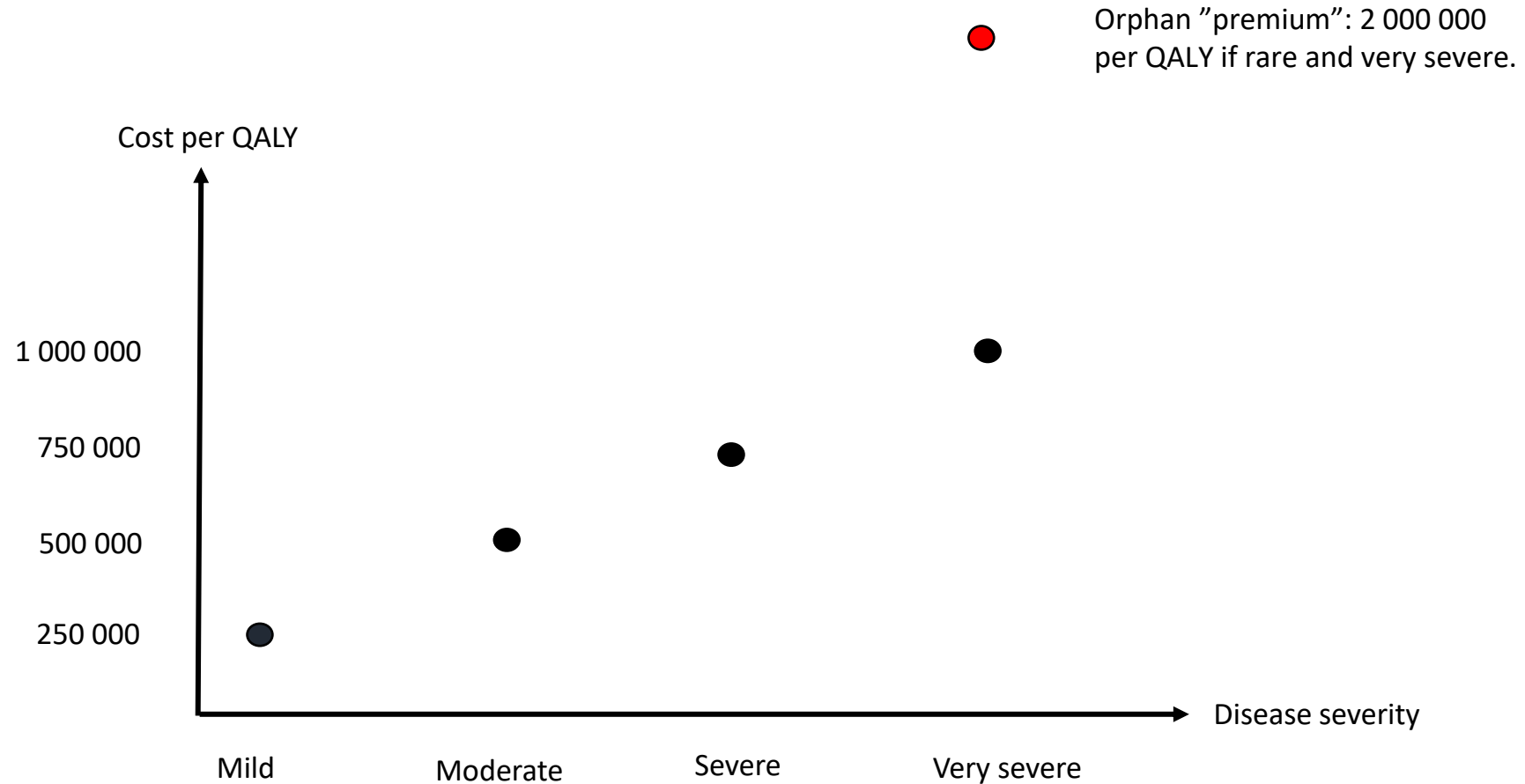
Alan Williams 1997

PRIORITIZING COST-INEFFECTIVE TECHNOLOGIES – EQUITY EFFICIENCY TRADE-OFFS

- SERIOUS ISSUE in Sweden – that ethics platform again



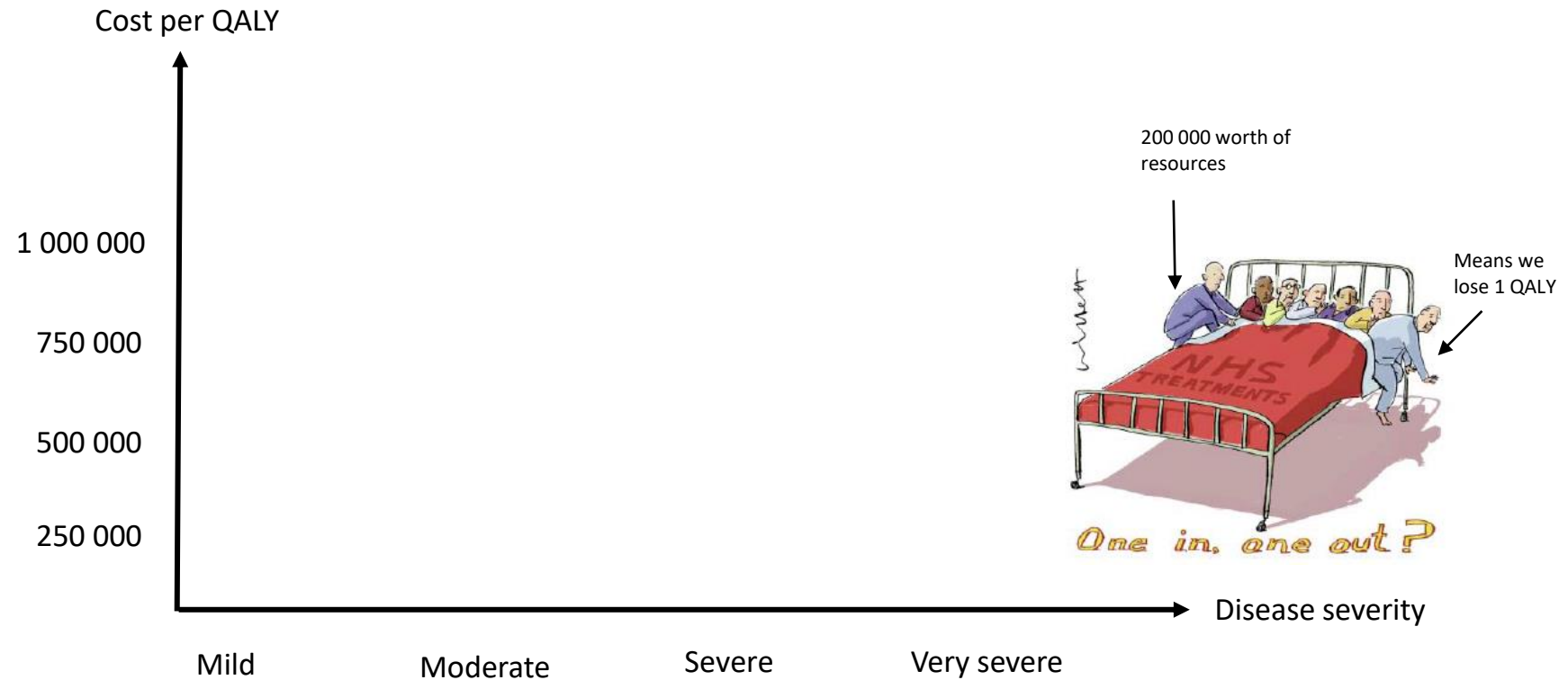
OPERATIONALIZING THE ETHICS PLATFORM – REIMBURSEMENT DECISIONS



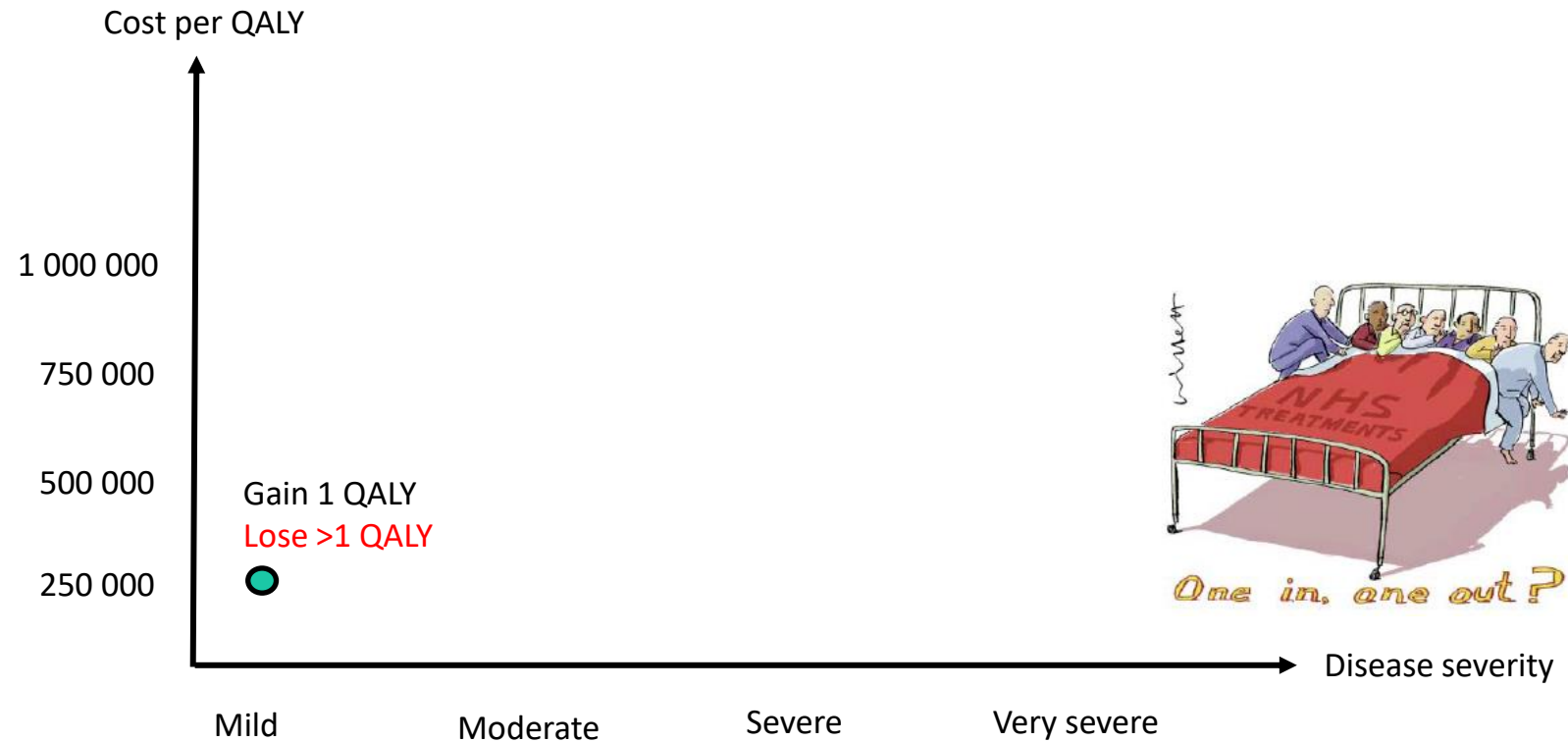
Can we make some sense of this now?

Maybe not sense but we can analytically approach it

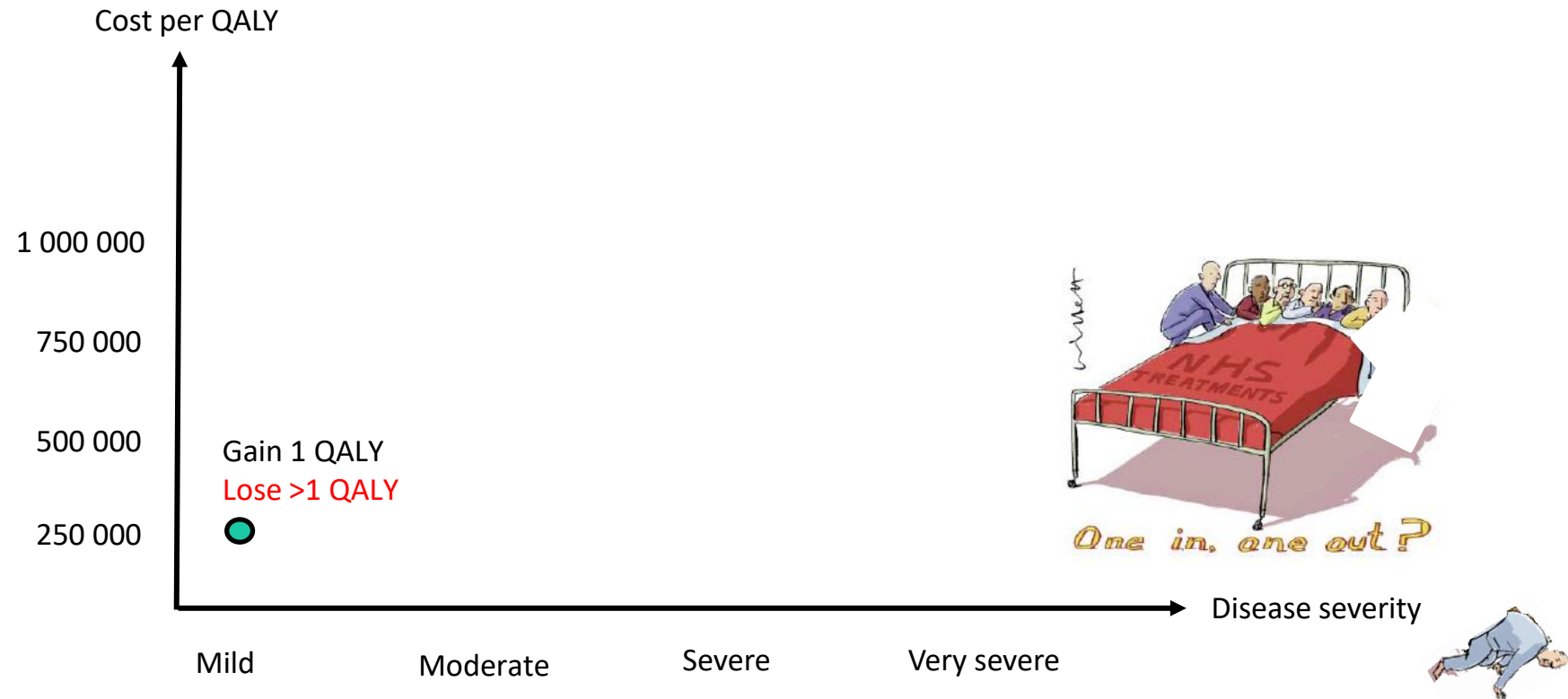
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



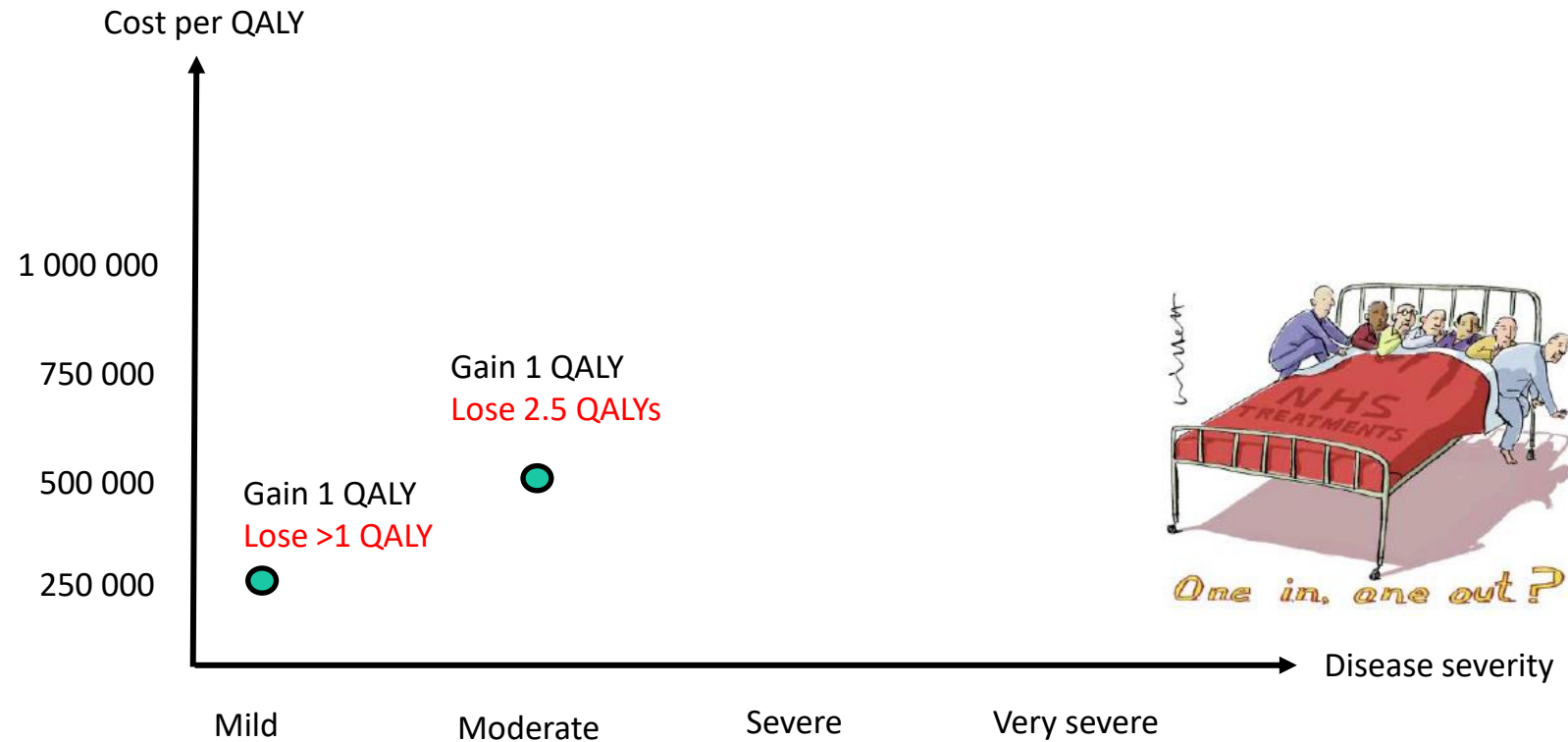
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



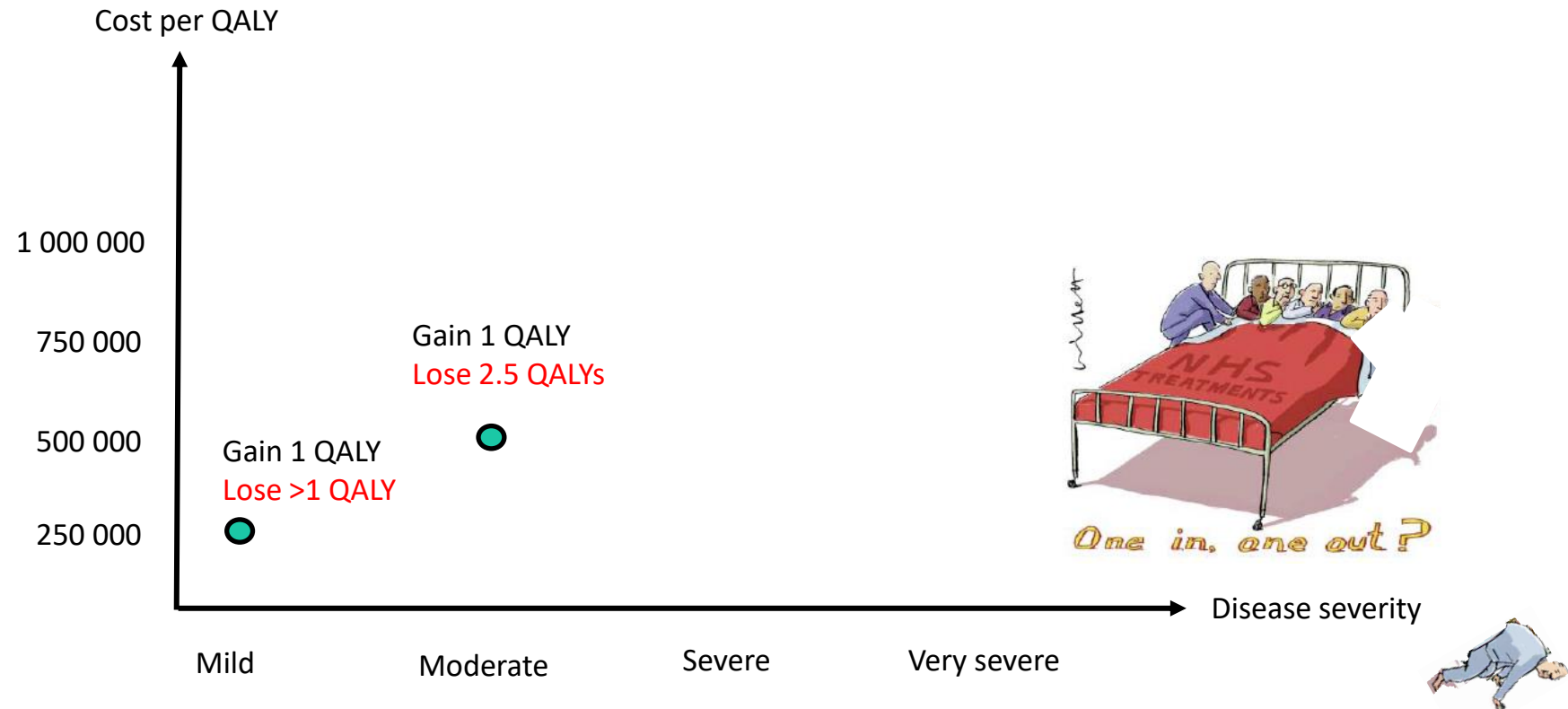
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



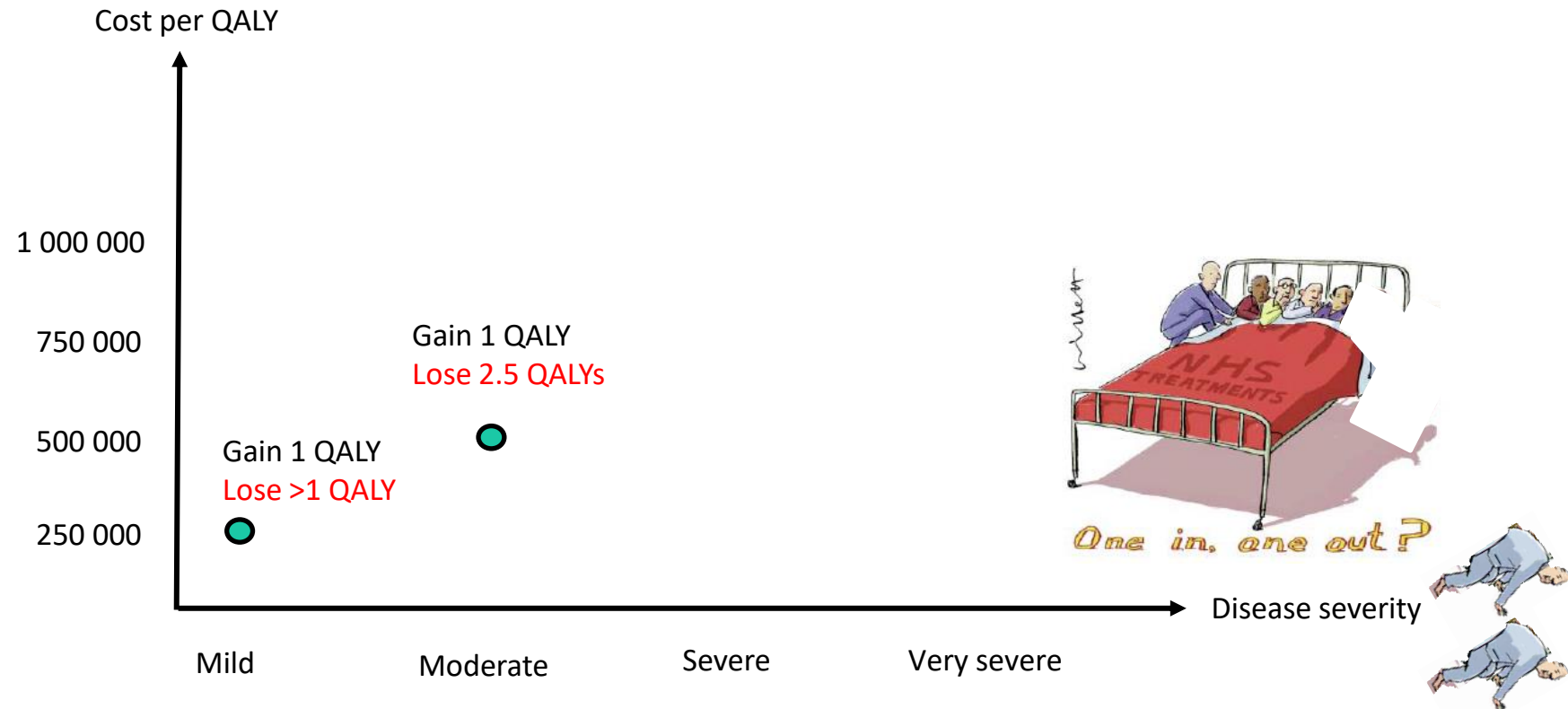
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



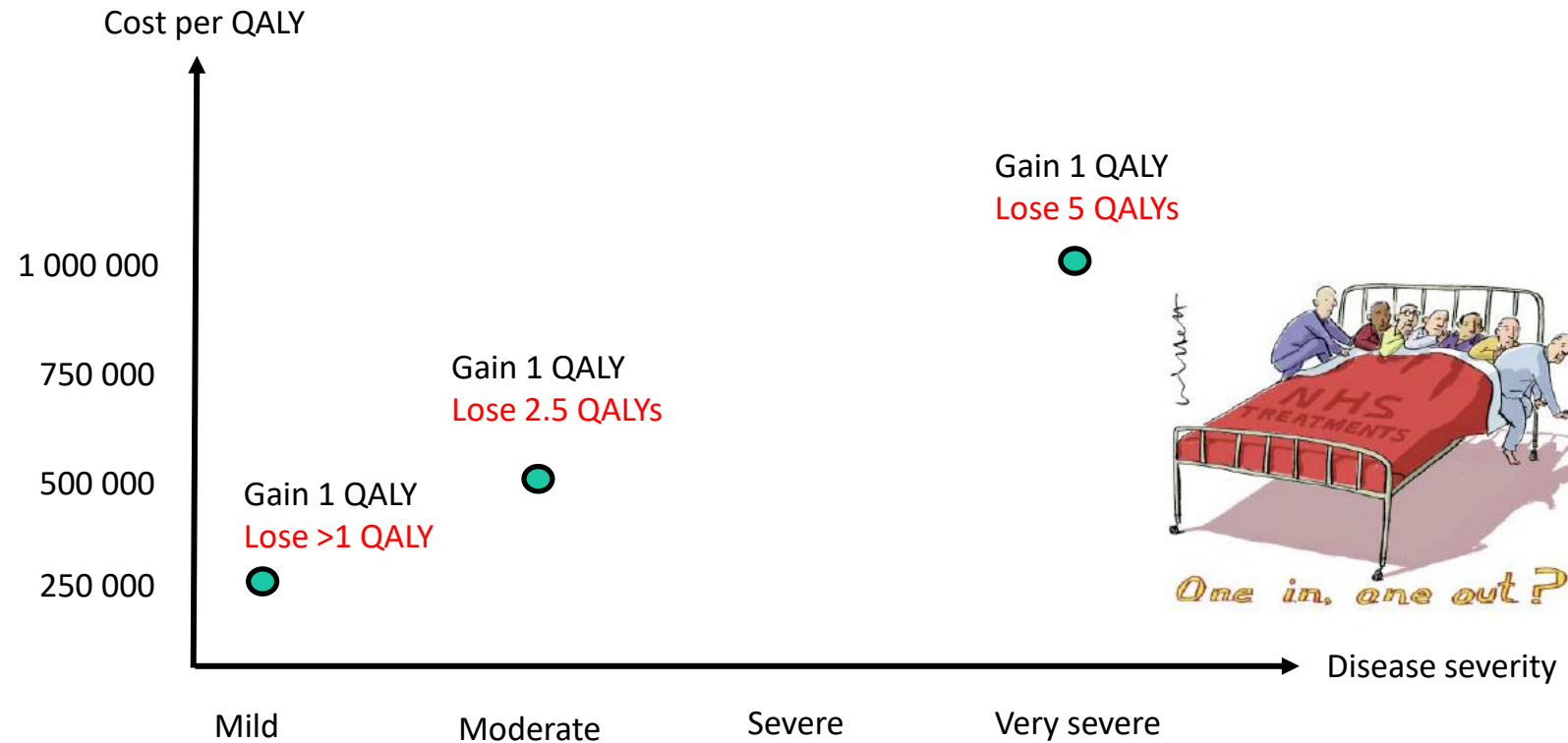
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



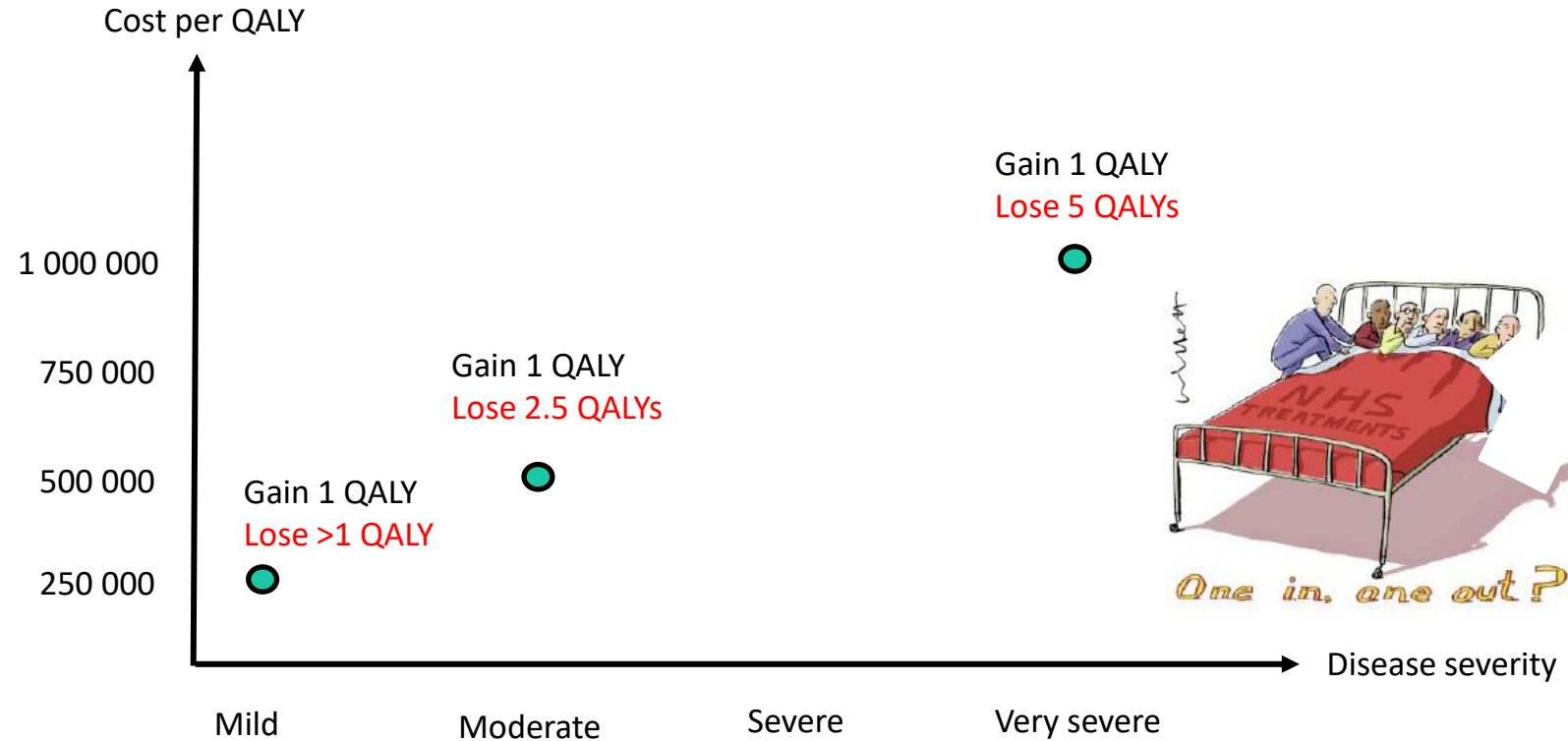
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



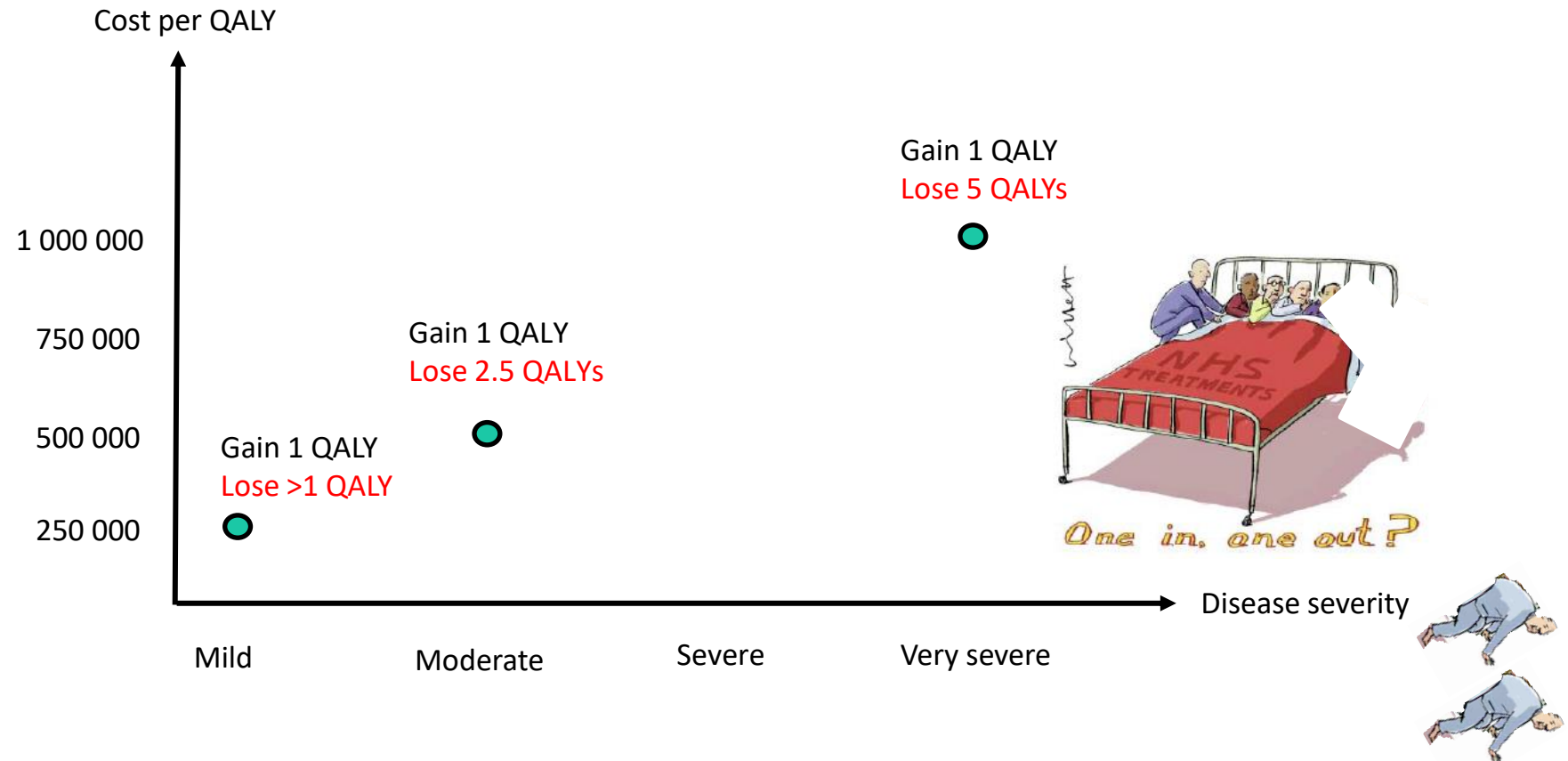
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



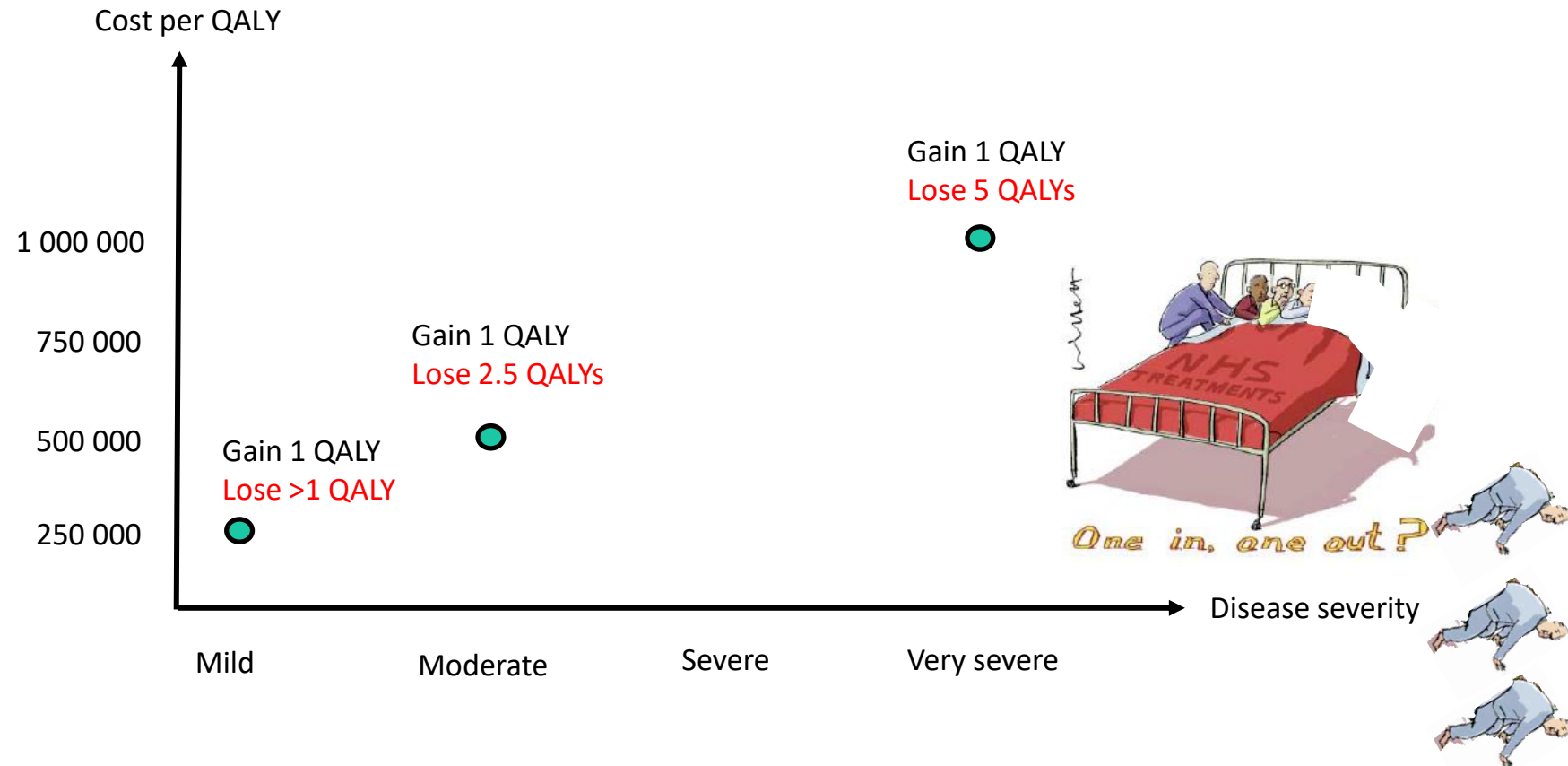
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



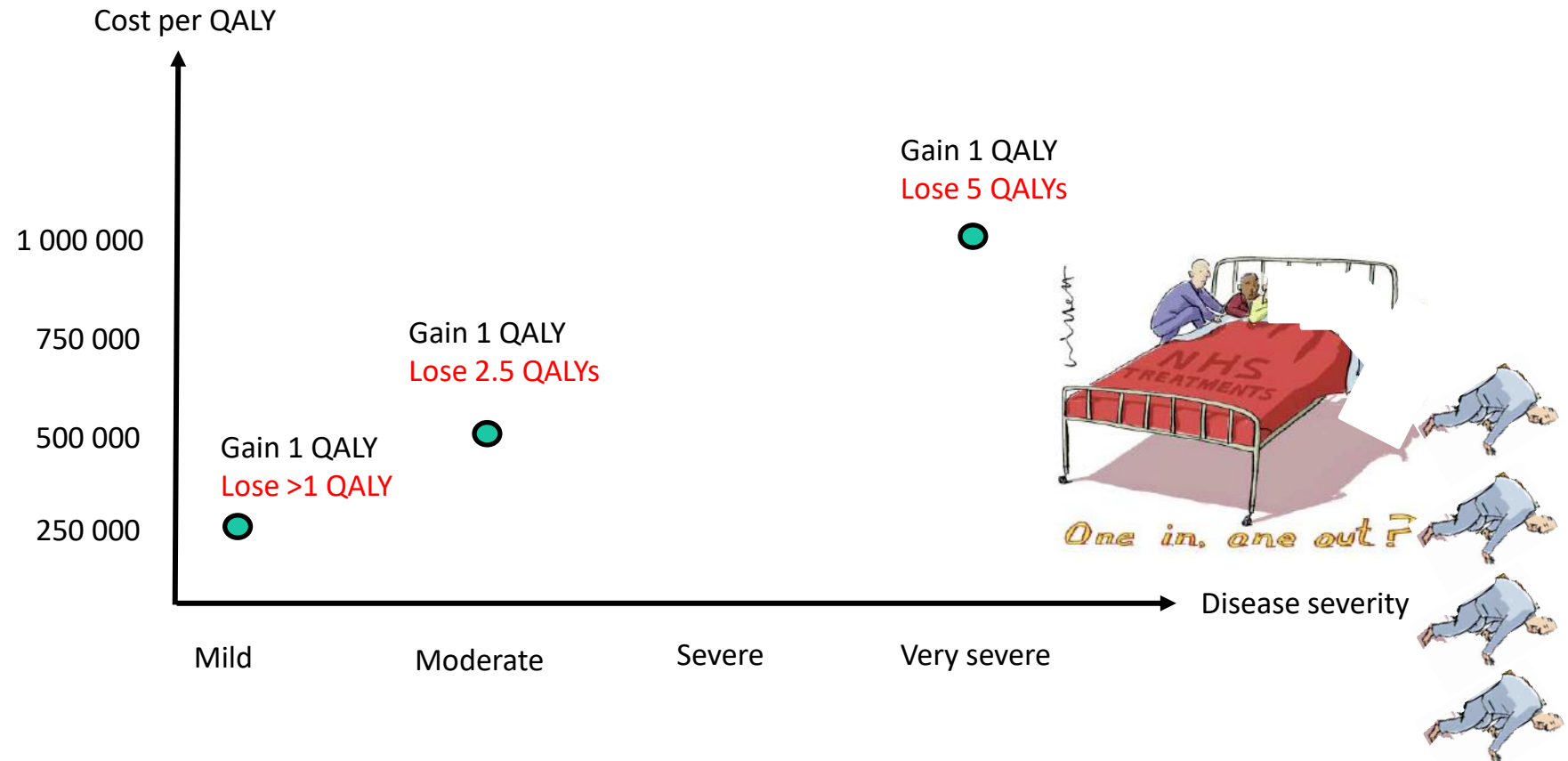
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



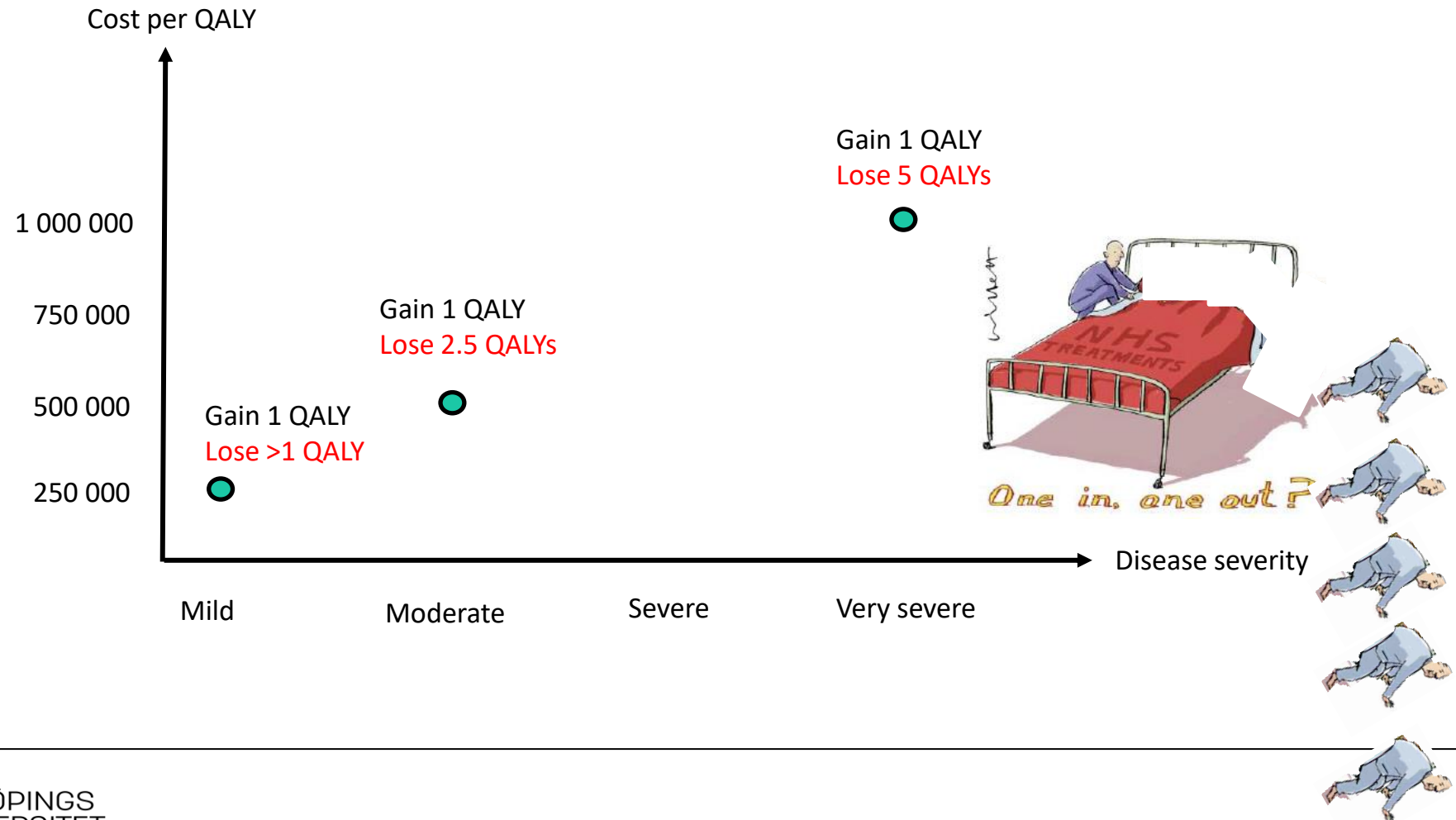
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



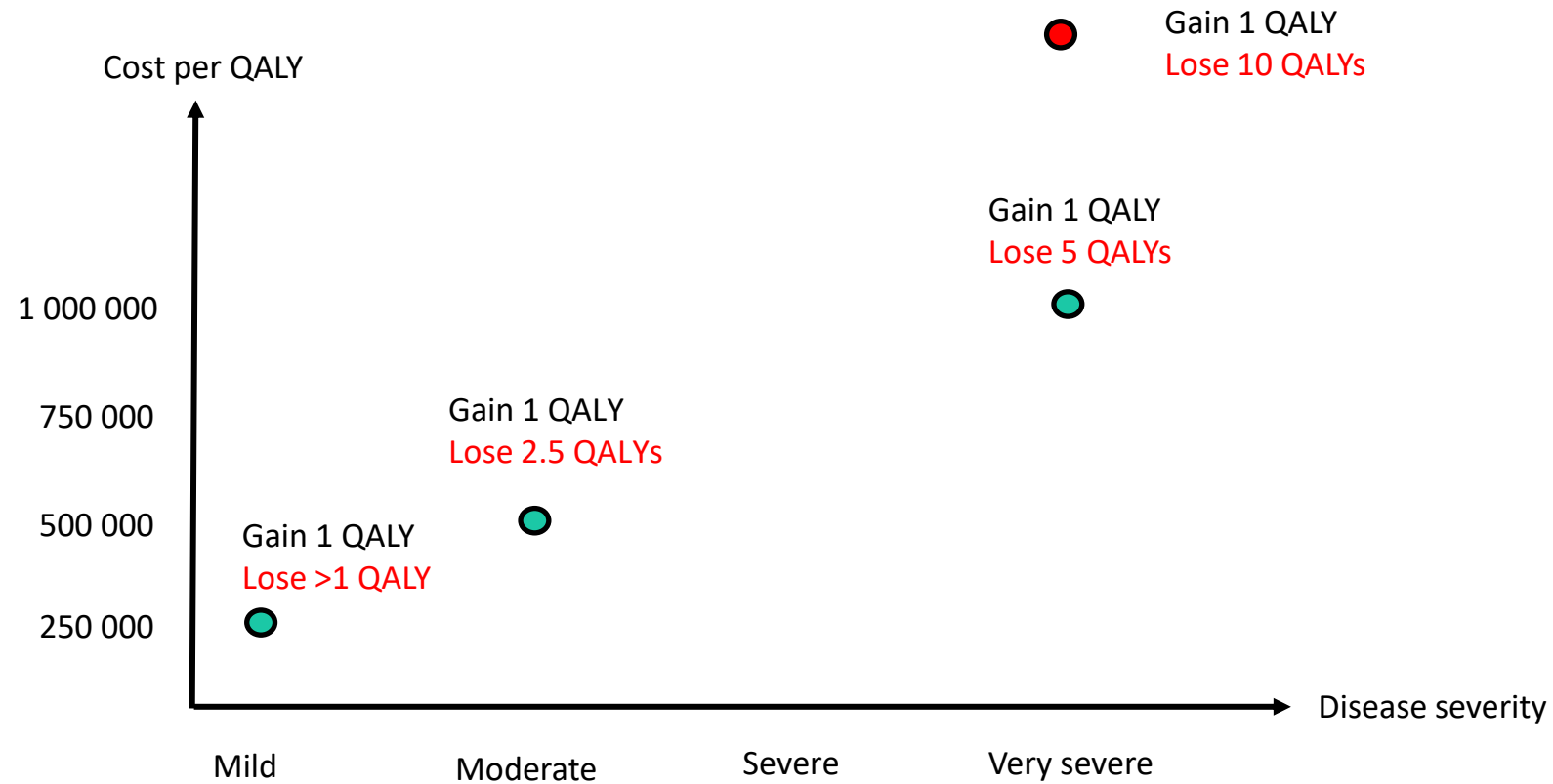
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



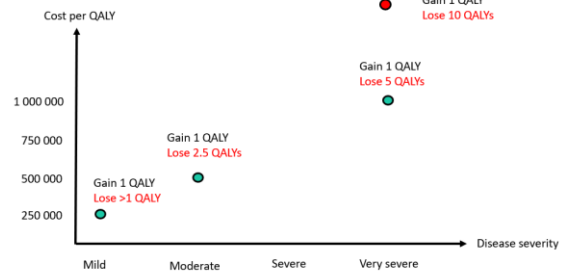
PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



PRIORITY ACCORDING TO NEED (WORSE OFF) – EXPLICIT TRADE-OFFS



Does this general approach to reimbursement decisions make sense?



Journal of Economic Behavior & Organization

Volume 170, February 2020, Pages 301-312



Evidence of opportunity costs neglect

Opportunity cost neglect in public policy

Emil Persson ^a, Gustav Tinghög ^{a, b},

International Journal of
Technology Assessment in
Health Care

cambridge.org/thc

On the role of cost-effectiveness thresholds in healthcare priority setting

Jonathan Siverskog and Martin Henriksson

Centre for Medical Technology Assessment, Department of Health, Medicine and Caring Sciences, Linköping University, Linköping SE-581 83, Sweden

Analysing the implications of one decision to elaborate

THE CASE OF ORKAMBI IN SWEDEN

- In 2018, TLV reimbursed Orkambi, accepting an ICER of SEK 1.54 million (~EUR 150,000) per QALY compared to standard of care
- If k in Sweden is SEK 180,000 (~EUR 18,000) per QALY Orkambi was cost-ineffective
- If Orkambi had not been reimbursed, then other healthcare services would (or at least could) have been funded in its place, granting reimbursement meant forgoing the health that those services would have generated

THE CASE OF ORKAMBI IN SWEDEN

- Orkambi was expected to affect 245 patients with an incremental gain of 1.65 QALYs per patient.
- The expected incremental cost per patient was SEK 2.54 million, including pharmaceutical and other healthcare costs
- All patients treated with Orkambi would then be expected to gain:

$$\Delta Q = 1.65 \text{ QALYs} \times 245 = 404 \text{ QALYs},$$

- Where other patients would have to forego:

$$\frac{\Delta C}{k} = \frac{\text{SEK } 2,540,000 \times 245}{\text{SEK } 180,000/\text{QALY}} = 3,457 \text{ QALYs}.$$

- The NHB of Orkambi would be:

$$\text{NHB} = 404 \text{ QALYs} - 3,457 \text{ QALYs} = -3,053 \text{ QALYs}.$$

OPPORTUNITY COST NEGLECT OR TRUE PREFERENCES?

- NHB more explicit about the degree of cost-ineffectiveness and the population health price of prioritizing equity than the ICER:

$$ICER = SEK\ 1.54\ million \quad NHB = -3,053\ QALYs$$

- Decision makers may find it hard to make sense of its magnitude though
- Another way to express the same information, which emphasizes the relative priority given to patients, is the number of QALYs forgone per QALY gained:

$$\begin{aligned} \frac{\Delta C/k}{\Delta Q} &= \frac{3,457\ QALYs\ forgone}{404\ QALYs\ gained} \\ &= 8.6\ QALYs\ forgone\ per\ QALY\ gained. \end{aligned}$$

- Saying yes to reimbursement imply: 'an Orkambi QALY is 8.6 times as important as a QALY of an unidentified patient'

WRAP UP

Surprisingly little consensus on the meaning of "cost-effectiveness" and opportunity costs in Sweden (long tradition of economic evaluation to support decision making)

If opportunity costs occur in different sectors – how do we trade them against each other?

Equity-efficiency trade-offs serious business – should be handled more seriously, at least we need to ensure that current decisions are in line with our preferences (health vs. health one way to make this trade-off explicit)

We need to understand much more of the value of k (too focused on "treatments", more needed on scaling of interventions, other displacements like personnel or hospital beds)

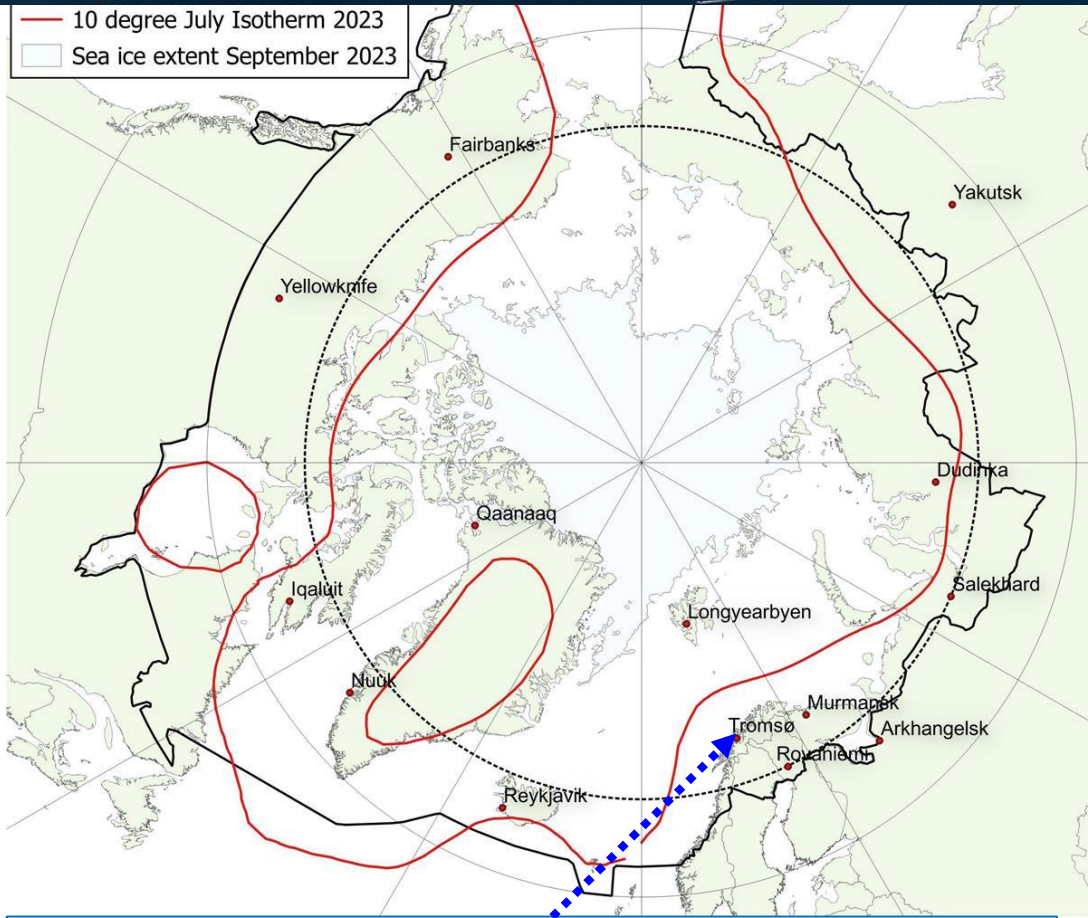
I would like to see more studies on v , preferably with budget constraints and with considerations of multiple sectors (competing funding)

Betalingsvillighet og prioriteringskriterier i Norge

Jan Abel Olsen

Professor emeritus

UiT – Norges arktiske universitet



UiT - Norges arktiske universitet

Hvem er jeg?

- Professor i helseøkonomi siste 25 år
 - Generelt
 - Health economics & policy
 - Spesielt
 - Effektivitet vs rettferdighet
 - QALYs, EQ-5D, CEA, WTP
- Rådgiver for myndighetene
 - Medlem av flere regjeringsoppnevnte utvalg
 - Norheim-utvalget 2014
 - Retningslinjer for CEA/HTA
 - Legemiddelverket og Folkehelseinstituttet

Betalingsvillighet og prioriteringskriterier i Norge

Inspirert av HC Andersen, vil jeg her fortelle...



«Eventyret om hvordan de tre
prioriteringskriteriene i Norge blev til,
og hvordan kriteriene hjelper kongen
avgjøre sin betalingsvillighet for
mediciner»

Kongen vil også kunne få hjelp av sin nye svigersønn:
sjamanen med den magiske medaljong
«Spirit Optimizer»



Men altså, fra nu, alvorlig talt



Dette vil jeg tale om

- Historisk bakgrunn
 - Norge er verdensmester i offentlige utredninger om prioritering
- Norheim-utvalget i 2014
 - Tre sentrale kriterier – konsensus!!!
- Fra fag til politikk
 - Tydeligere innhold – i flertydige begreper
- Implikasjoner for beslutninger
 - Betalingsvilligheten øker med stigende prognosetap (QALY-tap)

Verdigrunnlag og målsettinger ligger fast

- Helsetjenester
 - Lik tilgang (til 'nødvendig helsehjelp') for like behov
 - Uavhengig av inntekt, kjønn, alder, bosted, etc
- Helse
 - Flest mulig gode leveår for alle
 - Redusere urettferdige (=sosiale) helseulikheter

Utredninger og Stortingsmeldinger siden 1987



‘Lønning-utvalgene’

1987 Lønning I

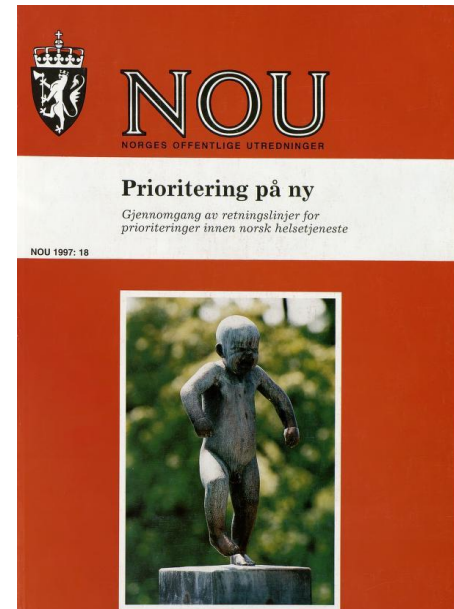
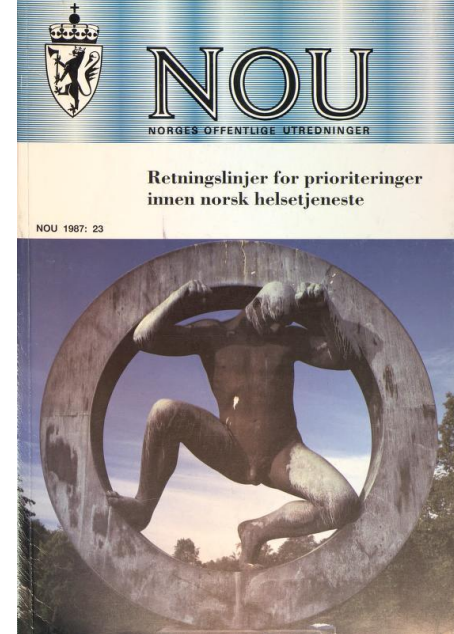
‘*sykdommens alvorlighetsgrad*’

1997 Lønning II

‘det er *tre* kriterier som alle er relevante i prioriterings-sammenheng: *tilstandens alvorlighet, tiltakets nytte og tiltakets kostnadseffektivitet*. Sammenlignet med tidligere retningslinjer mener utvalget at tiltakets nytte og kostnadseffektivitet må tillegges større vekt.’

Pasientrettighetsloven

- § 2-1. *Rett til nødvendig helsehjelp*: “Pasienten har rett til nødvendig helsehjelp fra spesialisthelsetjenesten. Retten gjelder bare dersom pasienten kan ha **forventet nytte** av helsehjelpen, og **kostnadene står i rimelig forhold til tiltakets effekt.**”



Hva mente man med dette?

- Alvorlighet
 - Flertydig begrep
 - Prognose
 - Prognosetap mht redusert livslengde eller livskvalitet
- Nytte
 - Ikke definert eller operasjonalisert
 - Dokumentert effekt, evidens
 - Økt livslengde eller livskvalitet
- ‘Kostnadene står i et rimelig forhold til tiltakets effekt’
 - Hvor går grensen for ‘rimelig forhold’?
 - Hvordan måle ‘tiltakets effekt’?

Motstridende forståelse av prioriteringskriteriene

- Case kreftmedisin våren 2013 – helsepolitisk storm
 - **Nei** fra helsedirektøren
 - **Ja** fra helseministeren (nå statsminister Støre)
- Politisk løsning; regjeringen oppnevner et utvalg
- I siste statsråd for Stoltenberg-regjeringen ble Norheim-utvalget oppnevnt
 - Oppdrag: Foreslå nye prioriteringskriterier

Motstridende forståelse av prioriteringskriteriene

- Case kreftmedisin våren 2013 – helsepolitisk storm
 - **Nei** fra helsedirektøren
 - **Ja** fra helseministeren (nå statsminister [Støre](#))
- Politisk løsning; regjeringen oppnevner et utvalg
- I siste statsråd for [Stoltenberg](#)-regjeringen ble Norheim-utvalget oppnevnt
 - Oppdrag: Foreslå nye prioriteringskriterier





Norheim-utvalgets forslag

1. Helsegevinst

- Jo større forventet helsegevinst,
 - jo høyere prioritet

2. Ressurser

- Jo mindre ressurser,
 - jo høyere prioritet

3. Helsetap

- Jo større forventet helsetap *over livsløpet*,
 - jo høyere prioritet

NOU

Norges offentlige utredninger 2014:12

Åpent og rettferdig –
prioriteringer i helsetjenesten



1. Hvorfor helsegevinst

- Hensikten med *helsetjenester* er å forbedre helse
- Jo bedre helse, jo bedre!
 - Egenverdi
 - Fysisk helse
 - Psykisk helse
 - Instrumentell verdi
 - Sosialt liv
 - Arbeidsdeltagelse/indkomst
 - Nærmeste pårørende

2. Hvorfor ressurser

- Begrensede ressurser
 - Penger
 - Senger
 - Fagfolk
- Ressursene har alternativ anvendelse
 - Mye ressurser til noen pasienter gir tilsvarende mindre til andre
 - 'Tause tapere' vs 'taleføre vinnere'

Ressurser per enhet helsegevinst

$$\frac{\text{Ressurser}}{\text{Helsegevinst}} = \frac{\text{Kostnad}}{\text{Effekt}}$$

Den omvendte brøk: mest mulig helse for pengene

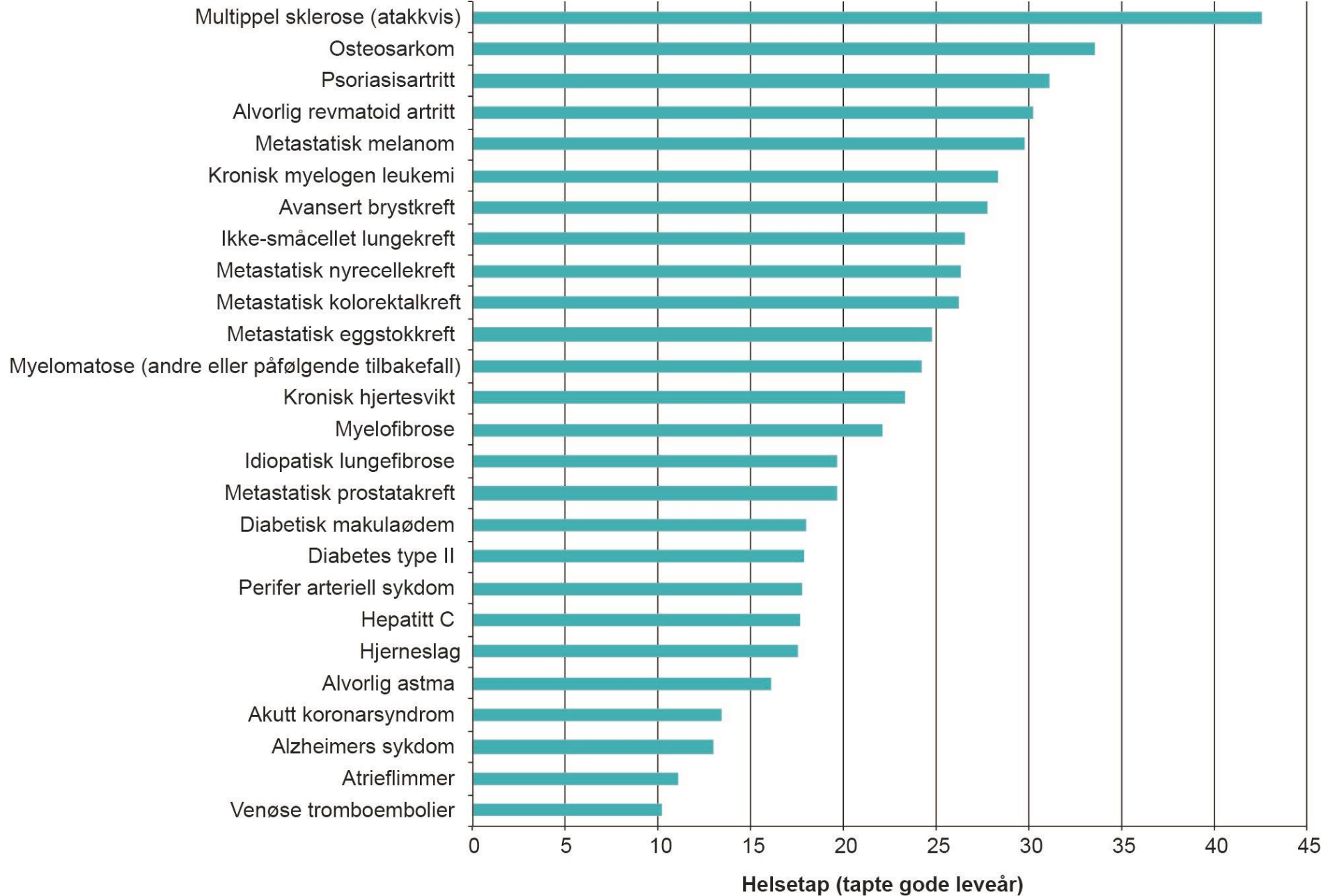
$$\frac{\text{Helsegevinst}}{\text{Ressurser}}$$

Kostnad-effekt logikk, *men hva med rettferdighet...?*

3. Hvorfor helsetap

- Fordelingsrettferdighet
 - Like muligheter til å realisere 'et helt livsløp'
- Sykdomsbyrde
 - Jo mer av det forventede livet vi taper, jo mer urettferdig er det
- 'Empirisk etikk'
 - Studier viser at folk vil prioritere pasienter som uten behandling vil lide størst helsetap

Helsetap for ulike sykdommer



Forslag: equity weights (rettferdighetsvekter)

- Jo større helsetap over livsløpet, jo mer bør samfunnet betale
- Men, bevissthet omkring 'the opportunity cost of equity'
- Norheim-utvalget foreslo stegvise vekter inntil en maksimal vekt på 3 når forventet helsetap er 20 QALYs eller høyere

Og alt dette var det *konsensus* om i utvalget!

OFN	Professor medisinsk etikk, UiB	Lege
RF	Professor medisinsk etikk, UiO	Lege
AK	Førsteamanuensis helserett, UiS	Jurist
HOM	Førsteamanuensis helseøkonomi, UiO	Økonom
JAO	Professor helseøkonomi, UiT	Økonom
SK	Sykehusdirektør/Professor	Lege
ØM	Assisterende helsedirektør, HDir	Lege
AM	Overlege(pediater)	Lege
BA	Allmennlege	Lege
MK	Innvandrer helse	Lege
BA	Pasientorganisasjon (diabetes)	Lærer
TG	Pasientorganisasjon (psykisk helse)	Sykepleier
SIS	Tidligere Stortings-representant (H)	Jordmor
GKJ	Tidligere Stortings-representant (A)	Jurist

Men så kom kritikken: ‘aldersdiskriminering’ 😞

- Alder vil indirekte ha betydning, fordi
 - Potensiell helsegevinst er lavere for de eldre
 - Helsetapet er lavere for de eldre
- Hva gjorde vi feil?
 - Språklig tung rapport
 - Kriteriene var dårlig kommunisert
- Media storm: Helseministeren oppnevnte
 - hurtigarbeidende ekspertutvalg (‘Magnussen-gruppen’)
 - De skulle vurdere alternativer til helsetapskriteriet
 - som ‘tar hensyn til sykdommens alvorlighet’

Magnussen *et al*

'På ramme alvor: Alvorlighet og prioritering', drøftet 4 alternativer

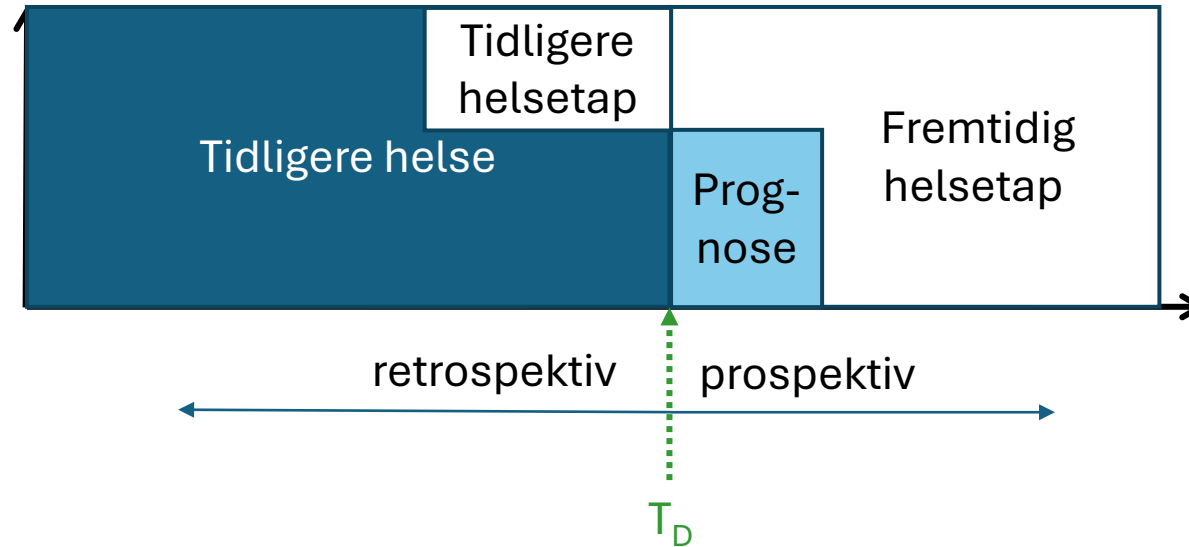
1. Fremtidig helse (prognose)
2. Fremtidig helsetap (prognosetap)
3. Relativt prognosetap (*proportional shortfall*)
4. Samlet helsetap over livsløpet

Det prinsipielle spørsmålet: *Likhet i hva?*

1. Fremtidig helse (prognose)
2. Fremtidig helsetap (**prognose**etap) ← *Magnussen et al*
3. Relativt prognosetap (*proportional shortfall*)
4. Samlet **helsetap** over livsløpet ← *Norheim et al*

Helse og helsetap i fortid og fremtid

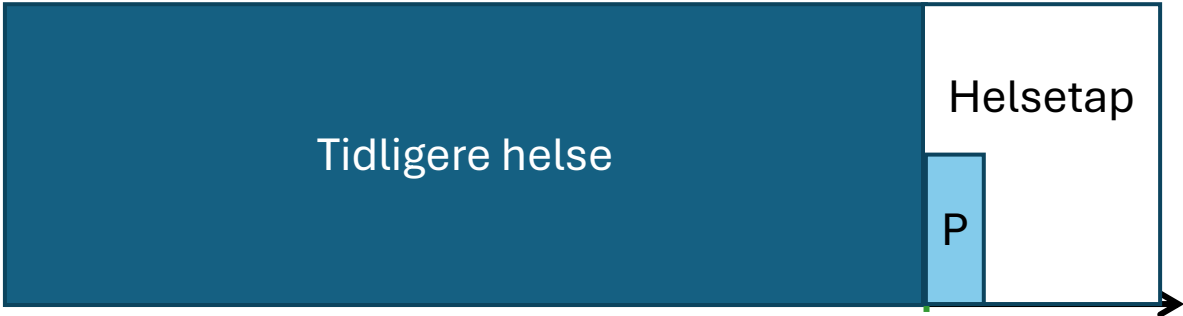
I hvilke(n) av de 4 boksene ønsker vi å redusere ulikheter?



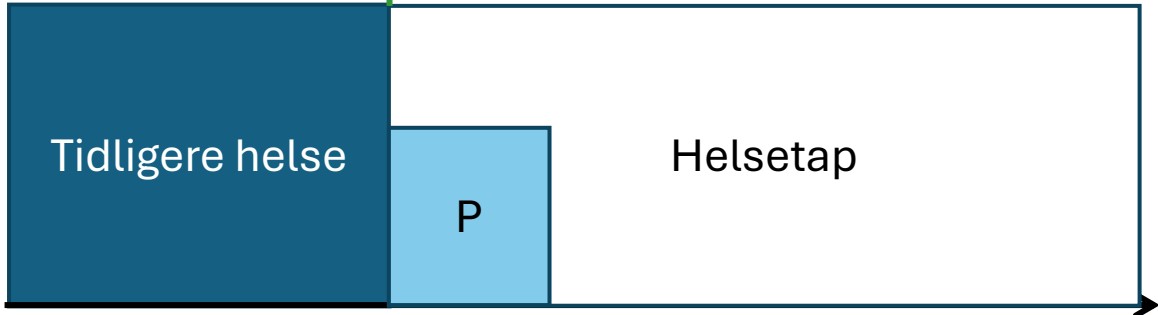
- Hva er sykdommens prognose?
- Hvor stort er fremtidig helsetap?
- Hvor mange friske leveår har de hatt?
- Hvor mange syke leveår har de hatt?

Skal vi ta hensyn til prognose eller helsetap?

Anne

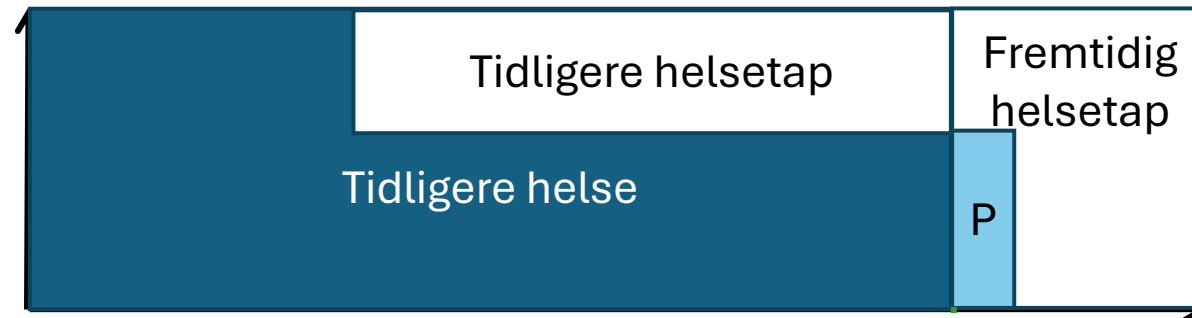


Emma



Helsetap over *livsløpet* er mindre aldersdiskriminerende enn *fremtidig* helsetap

Hans



Christian



Fra fag til politikk: Forslag i Stortingsmeldingen

- Nytte
 - Gode leveår (= QALYs)
- Ressurser
 - Kostnader, avgrenset til helsesektoren
- Alvorlighet
 - Prognosetap = fremtidig helsetap

Meld. St. 34

(2015–2016)

Melding til Stortinget

Verdier i pasientens helsetjeneste

Melding om prioritering





Gamle vs nye begreper – Kejserens *gamle* klær...?

Lønning II utvalget	Norheim utvalget	Stortings- meldingen
Nytte	Helsegevinst	Nytte
Kostnadseffektivitet	Ressurser	Ressurser
Alvorlighet	Helsetap	Alvorlighet

Gamle begrep, men tydeligere operasjonalisering

Nytte = QALY-gevinster (+)

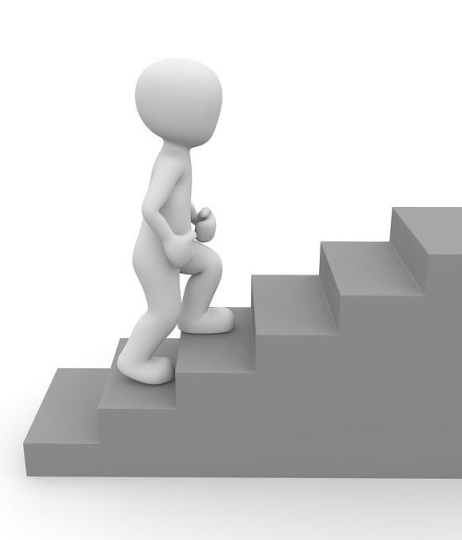
Ressurser = Helsesektorens kostnader (+)

Alvorlighet = Fremtidige QALY-tap

Equity weighted cost-effectiveness

- Costs & QALYs
 - basert på harde data ('fact based')
- Equity weights
 - basert på normative vurderinger

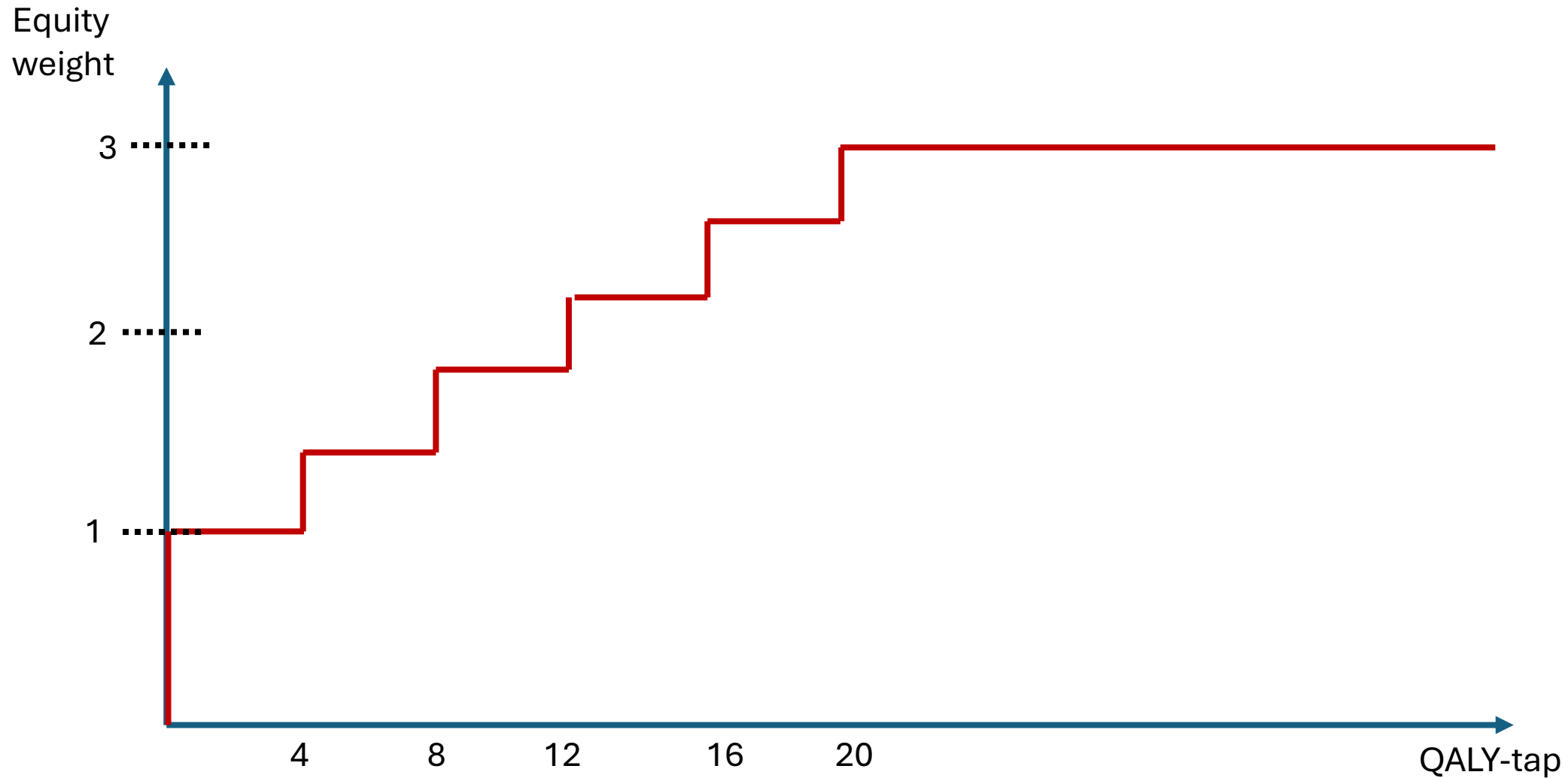
Equity weights: 'Magnussen trappen'



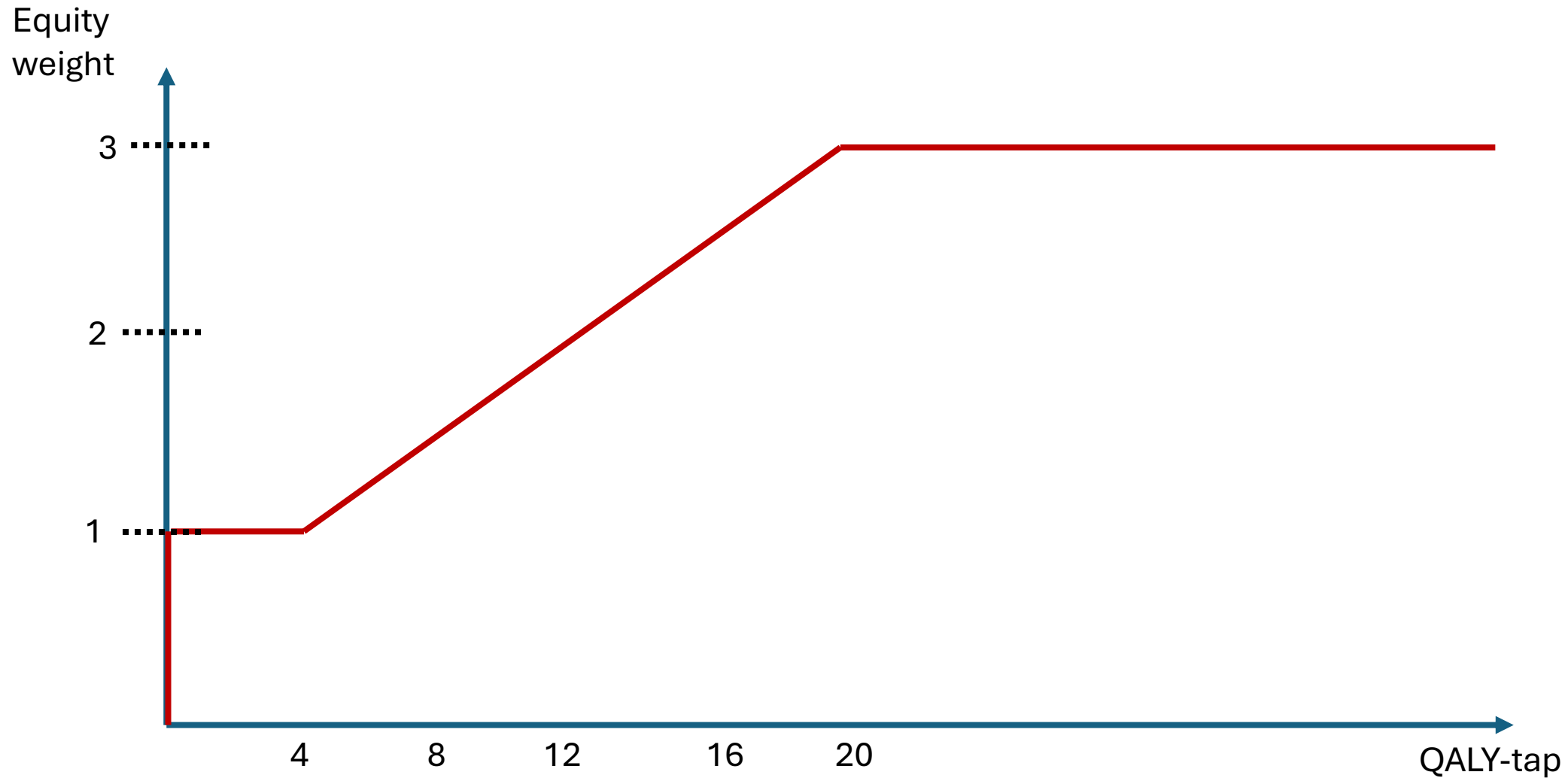
Gruppe	1	2	3	4	5	6
Absolutt prognosetap (QALY tap)	< 4	4-7.9	8-11.9	12-15.9	16-19.9	20 +
'Alvorlighetsvekt'	1	1.4	1.8	2.2	2.6	3
Betalingsvilje (NOK 1,000) per QALY	275* =DKK 175	385	495	605	715	825

*Marginalkostnad for 1 QALY i norske sykehus i 2014

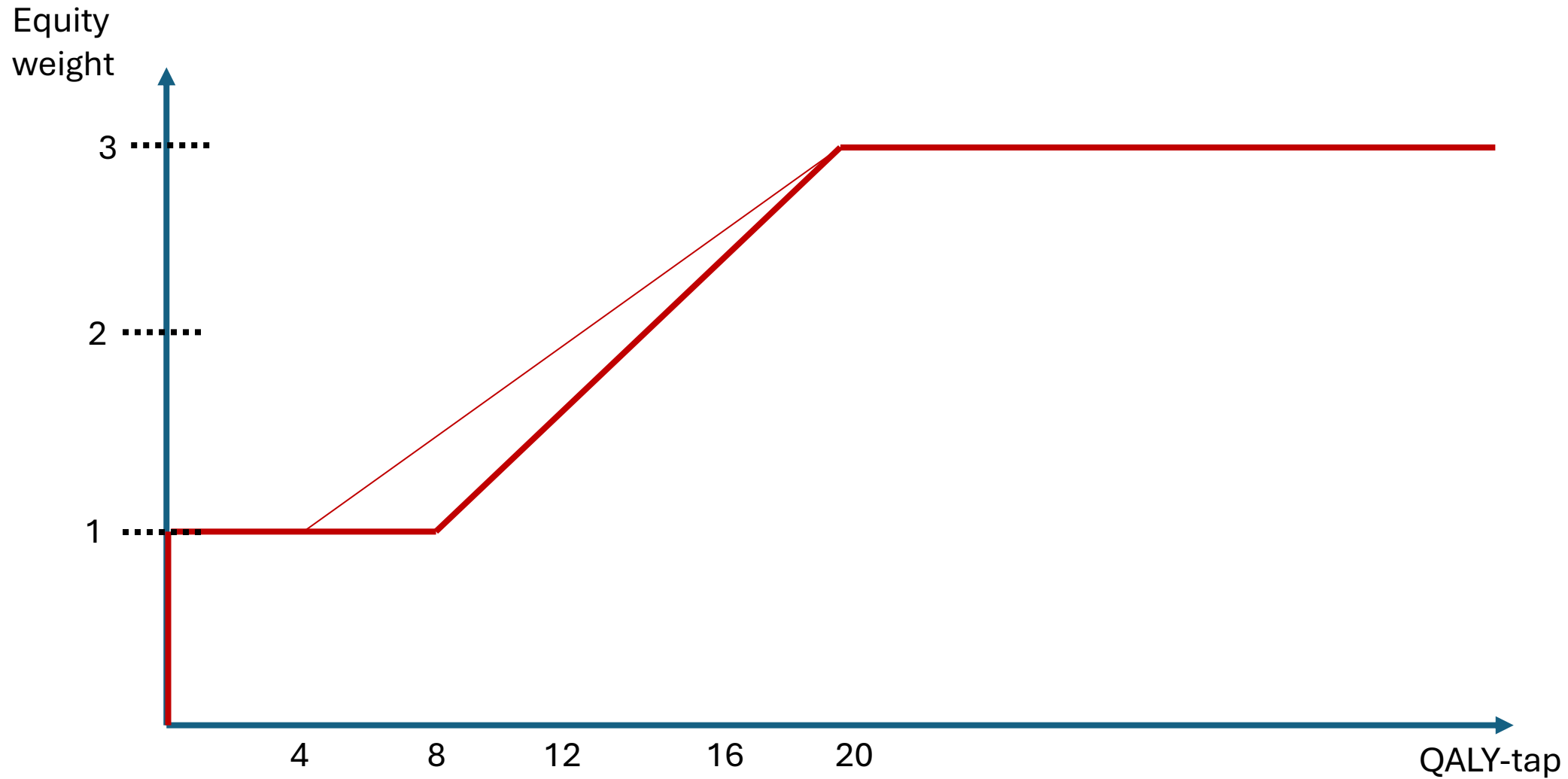
Equity weights: 'Magnussen trappen'



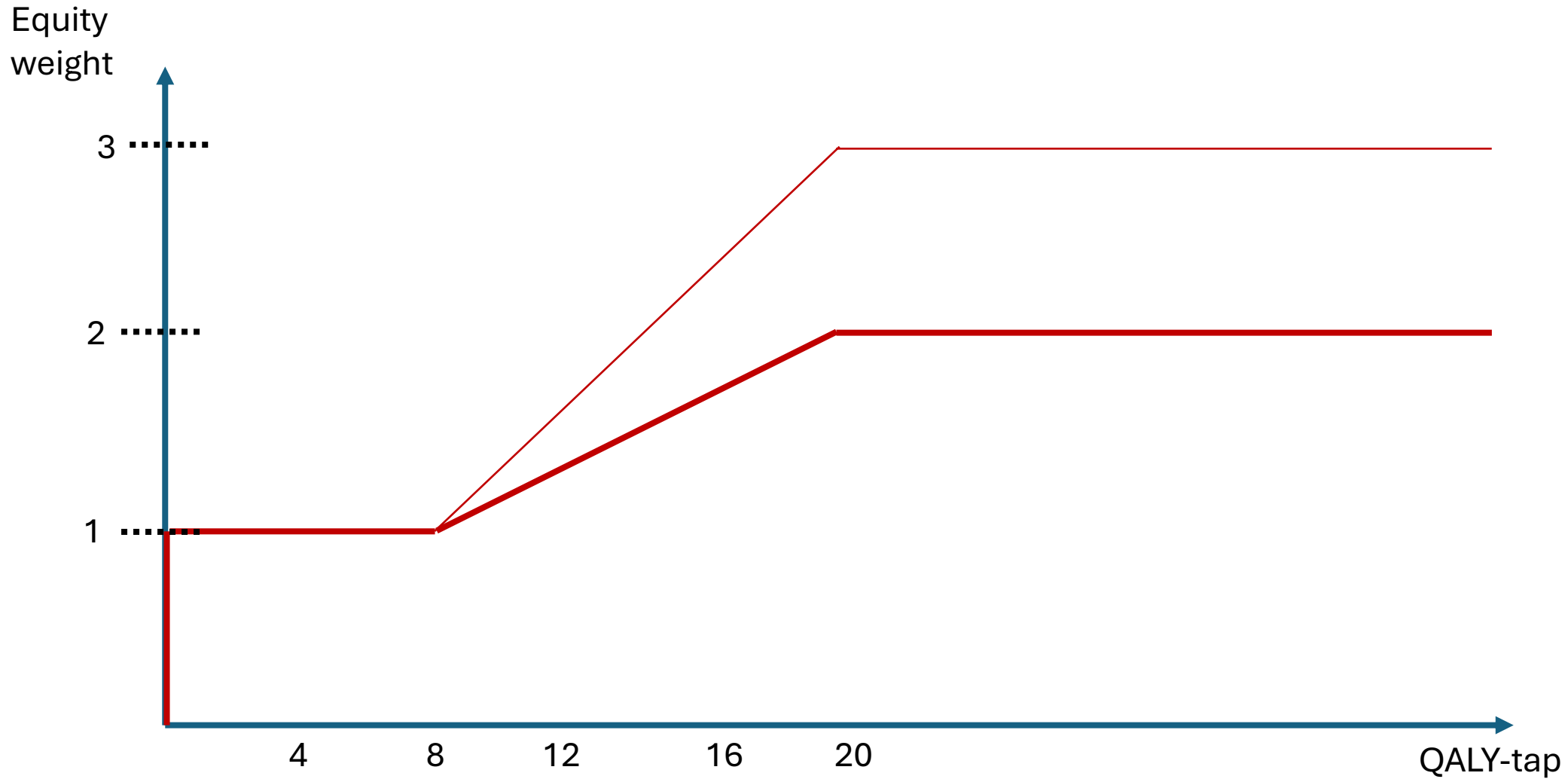
Equity weights: 'Magnussen lineær'



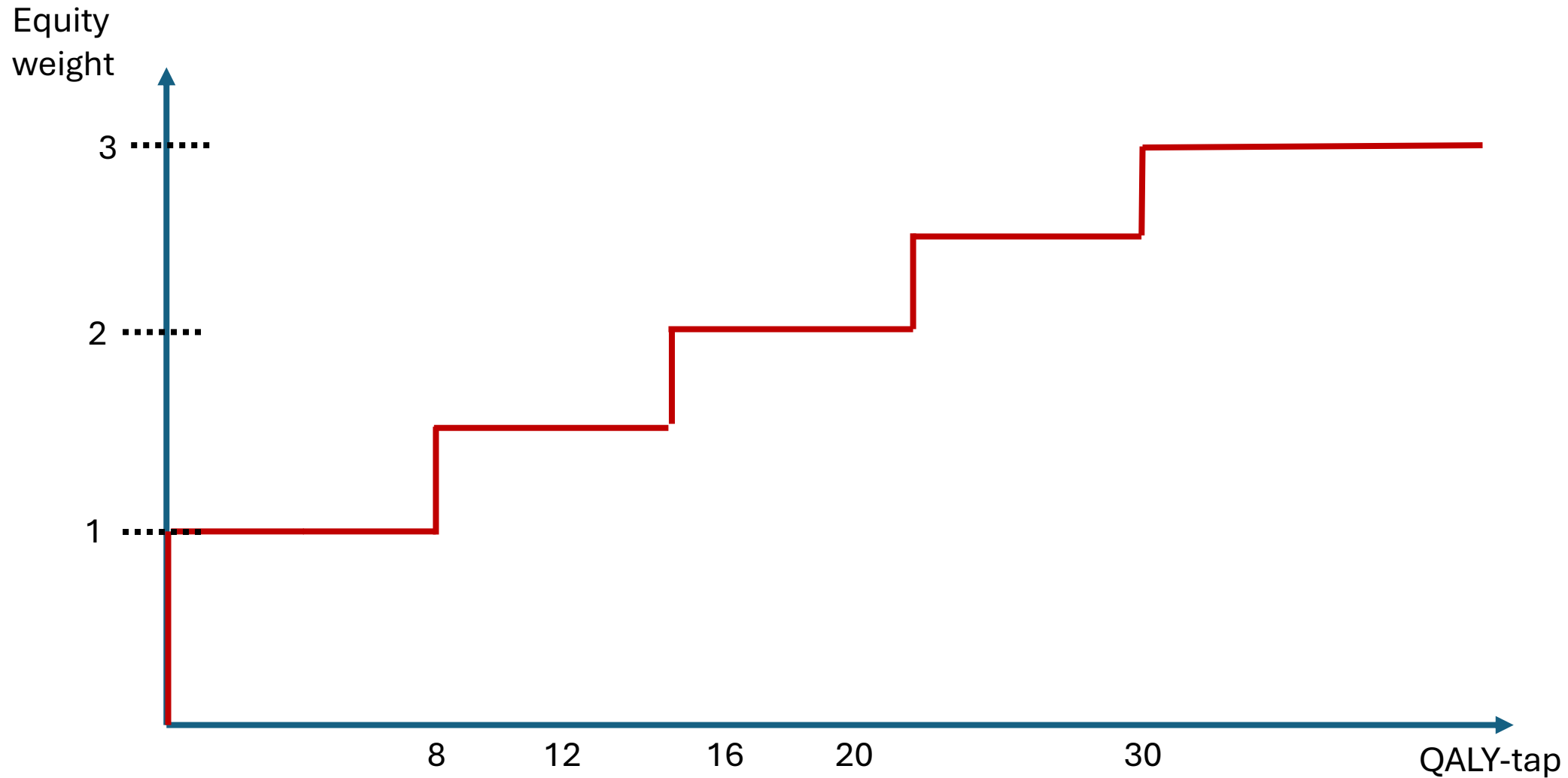
Equity weights: Alternativ lineær



Equity weights: Alternativ lineær II; max vekt på 2



Equity weights: Alternative trappetrinn?



Noen implikasjoner

- Incentiver
 - Jo høyere equity weight, jo sterkere incentiv for industrien å vri oppmerksomheten mot prognosetap, heller enn helsegevinst
- Opportunity cost
 - Jo høyere equity weight for *én* pasientgruppe, jo større tapte helsegevinster for *andre* pasientgrupper
 - Er 1 QALY til en MS-pasient like bra som 3 QALYs til en annen pasient???

Store fremskritt for praksisfeltet

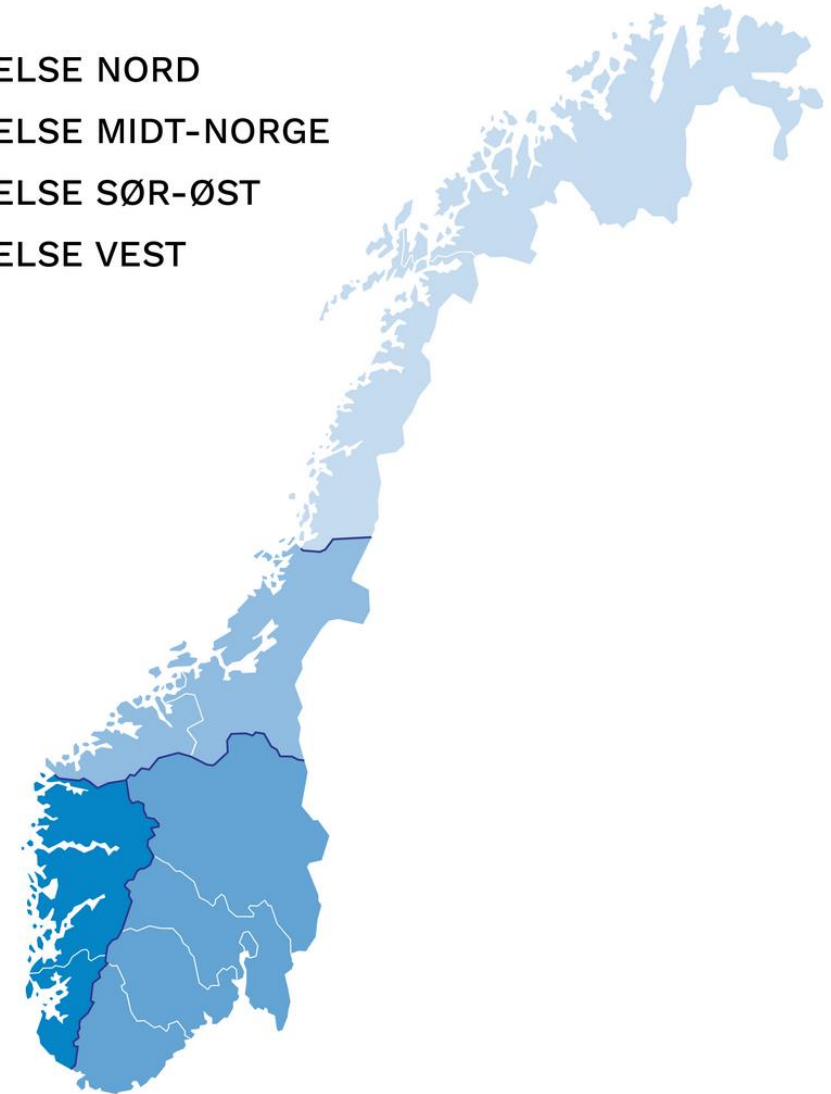
1. Nytten skal måles i et sammenlignbart utfallsmål
 - QALYs
2. Klare retningslinjer for hvilke kostnader som skal inkluderes
 - I hovedsak avgrenset til helsesektoren
3. Klart definert hva 'sykdommens alvorlighetsgrad' er
 - Prognosetap = fremtidig helsetap
4. Fortsatt uklart hvor grensen går for hva samfunnet maksimalt bør være villig til å betale pr enhet QALY gevinst

Det norske beslutningssystemet

<https://www.nyemetoder.no/english/>

- Spesialisthelsetjenesten er inndelt i 4 regionale helseforetak
- *Beslutningsforum* (= de 4 direktørene) beslutter om nye metoder (= legemidler) skal innføres (=finansieres) av sykehusene
- HTA-analyser fra Legemiddelverket og FHI
- Hemmelige priser; ICER er ikke offentlig

- HELSE NORD
- HELSE MIDT-NORGE
- HELSE SØR-ØST
- HELSE VEST

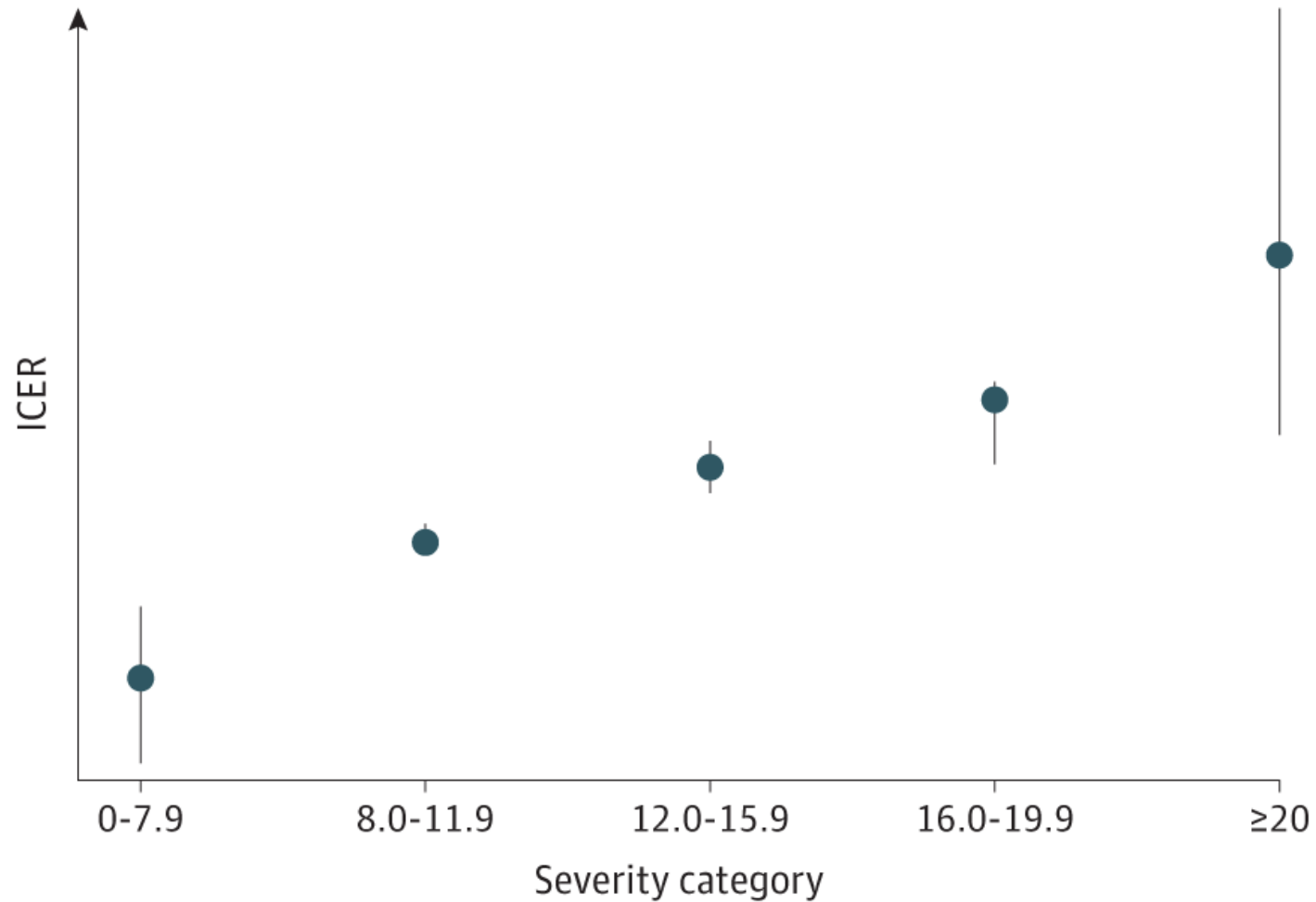


Virkelighetens verden:

Beslutningsforum følger kriteriene

- Nytte
 - Ved tilstrekkelige data: QALYs,
 - Ved mangelfulle data: Overlevelse, deskriptivt
- Kostnader
 - Helsesektoren
 - For legemidler; 98% av totalkostnadene!
 - Inkluderer tidskostnader / reisekostnader, men relativt ubetydelig
- Alvorlighet
 - Magnussen-trappen anvendes i praksis
 - Bred støtte, myndighetene vil sannsynligvis gjøre den offisiell

From: **Appraising Drugs Based on Cost-effectiveness and Severity of Disease in Norwegian Drug Coverage Decisions**



Incremental Cost-effectiveness Ratios (ICER) for Drugs Approved for Coverage in 2018 and 2019 Negotiated ICERs for approved drugs in 2018 and 2019 plotted from the 25th (bottom) to 75th (top) percentile values with medians and grouped by severity of disease as measured by absolute quality-adjusted life-year shortfall. The 2 lowest-severity categories (0-4 and 4-8) are pooled because of the low number of observations. To keep individual ICERs confidential, only the quartiles and median values are plotted. The distance between groups on the y-axis indicates the absolute difference in ICER between the groups, the dots indicate the median, and the error bars indicate the IQR.

Tranvåg *et al* 2022

<https://jamanetwork.com/journals/jamanetworkopen/article-abstract/2793770>

- **Results** Between 2014 and 2019, a total of 188 drugs were appraised, of which 113 were cancer drugs. The overall coverage rate was 73% (138 of 188). The number of annual appraisals increased during the observation period. Based on 83 chosen decisions, regression analysis showed that incremental cost-effectiveness ratios (ICER) based on negotiated drug prices, adjusted for severity-differentiated cost-effectiveness thresholds, was the variable that best projected drug approvals (OR, 0.60; 95% CI, 0.42-0.86). An increase in the ICER by \$10 000 was associated with a reduction in the odds for approval of 40% for drugs assessed from 2018 to 2019.
- **Meaning** These findings suggest that **cost-effectiveness and fair distribution of health outcomes are systematically implemented in the Norwegian drug approval system**, and including these principles may be a feasible strategy for controlling increasing drug costs.

From: **Appraising Drugs Based on Cost-effectiveness and Severity of Disease in Norwegian Drug Coverage Decisions**

Table 1. Overview of All Drug Coverage Decisions, 2014-2019

Year	All drugs ^a		Non-cancer drugs		Cancer drugs ^b	
	Total decisions	Approvals, No. (%)	Total decisions	Approvals, No. (%)	Total decisions	Approvals, No. (%)
2014	8	5 (63)	1	1 (100)	7	4 (57)
2015	16	16 (100)	4	4 (100)	12	12 (100)
2016	15	8 (53)	6	4 (67)	9	4 (44)
2017	37	33 (89)	15	15 (100)	22	18 (82)
2018	44	23 (52)	17	7 (41)	27	16 (59)
2019	68	53 (78)	32	25 (78)	36	28 (78)
Total	188	138 (73)	75	56 (75)	113	82 (73)

^a All drugs include all drugs for all indications.

^b Cancer drugs include all drugs with a cancer-type indication.

Siste nytt om norske utredninger 15.02.2024

Tre ekspertgrupper om prioritering



<https://www.regjeringen.no/no/aktuelt/rapporter-fra-ekspertgrupper-for-prioriteringsmeldingen/id3025758/>

Spørsmål fra regjeringen, og svar fra ekspertgruppene

- Perspektiv

- Bakgrunn: Positive konsekvenser for samfunnet av at folk blir frisk og kommer tilbake i jobb
- Spørsmål: Bør vi ha et bredere samfunnsperspektiv (til forskjell fra et snevert helsetjeneste perspektiv) ved vurdering av kostnader og nytte/effekt?
- Svar: *Ekspertgruppens hovedkonklusjon er at dagens system, der man bruker et utvidet helsetjenesteperspektiv, bør endres til et system med en **primæranalyse med et rent helsetjenesteperspektiv, og en sekundæranalyse med et samfunnsperspektiv der det er relevant.***

- Tilgang

- Bakgrunn: Stadig flere beslutninger er basert på unntaksordninger og individuell vurdering
- Spørsmål: Bør de samme kriterier som anvendes på gruppenivå kunne anvendes på individnivå?
- Svar: **Ja**

- Åpenhet

- Bakgrunn: Når offentligheten ikke kjenner tiltakets kostnader, vet man ikke hvilke kostnad/effekt forhold som blir akseptert
- Spørsmål: Bør vi unngå hemmelige priser slik at prioriteringsbeslutninger blir mer etterprøvbare?
- Svar: **Nei**

Norske utfordringer

- Folk forventer at 'verdens rikeste land' kan tilby alle tenkelige helsetjenester gratis!
- Norge må være verdens vanskeligste land å være helseminister i ...

Dagbladet

Onsdag 21. februar 2024

Nr. 44, Uke 8, 154. årgang, Lespris kr 45,00

ØKER
MEST

VERDENS
LENGSTE
MØTTE
VERDENS KORTESTE



Foto: Abaka

SIDE 12

Etterspørselen etter slankepreparater har eksplodert

Sjekk om du kan få

«GRATIS»

SLANKEMEDISIN



Foto: Shutterstock (1/19)

SIDE
22 00 23



Likevel, eventyret må sies å ha en lykkelig slutt...
dog kan det gjøres enda bedre

Takk

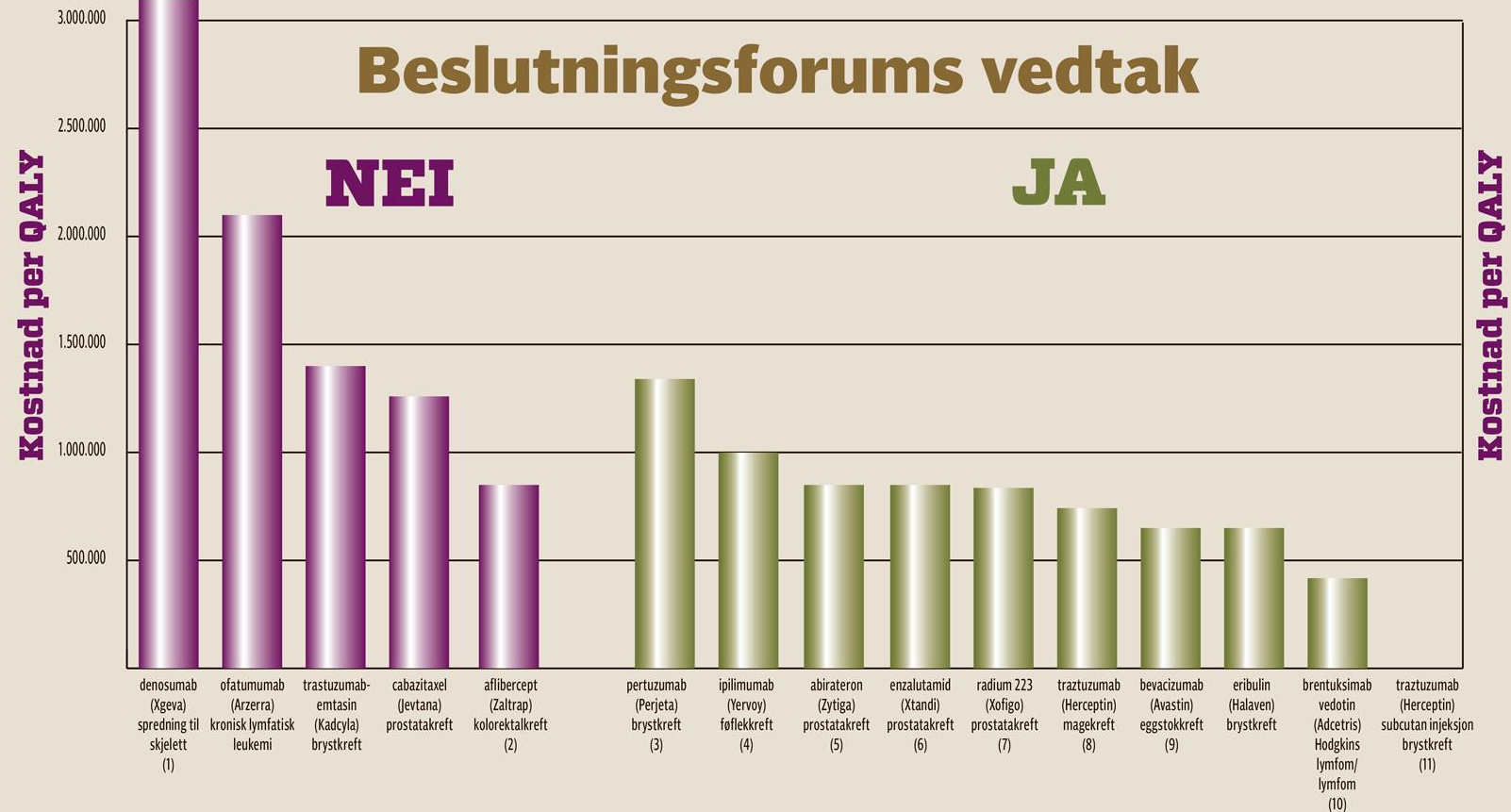
tak

thank you



Dagens Medisin har, i samarbeid med Lege-middelverket (SLV), gjennomgått alle metode-vurderingene som ligger til grunn for Beslutningsforum sine i alt 15 vedtak på kreftmedisiner. Der det er angitt et intervall for kostnad per QALY, har vi brukt det høyeste beløpet i søyle-diagrammet. Ingen av beløpene er medregnet effekten av sykefravær. Kostnad per kvalitetsjustert leveår (QALY) er merkostnadene ved behandlingen, sammenlignet med dagens standard behandling.

► Se også fotnoter og utdyping på side 23.



1) Cirka 2–3,1 millioner.

2) 660.000–850.000.

3) Kostnad per QALY med nyeste effektdata og før hemmelig prisforhandling med Beslutningsforum.

4) Dette er 2012-tall og ikke regnet ut etter nye og bedre effektdata. Ny fullstendig metodevurdering, der Yervoy inngår, er igangsatt av Kunnskapssenteret. Var i bruk før

Beslutningsforum-ja.

5) Var i bruk før det ble innført av Beslutningsforum, under visse vilkår; Er medisinsk likeverdig med Xtandi, men Xtandi er førstevalg ut fra nåværende pris.

6) Kostnad per QALY er ikke beregnet, men Xtandi er medisinsk likeverdig med Zytiga og har behandlingspris 15.000 kroner mindre enn Zytiga i 2014. Xtandi er derfor førstevalg

av disse to. Var i bruk før Beslutningsforum-ja.

7) 658.000–836.000. Intervallet kan være for høyt ifølge SLV fordi enkelte behandlingsgevinster ikke er med i analysen.

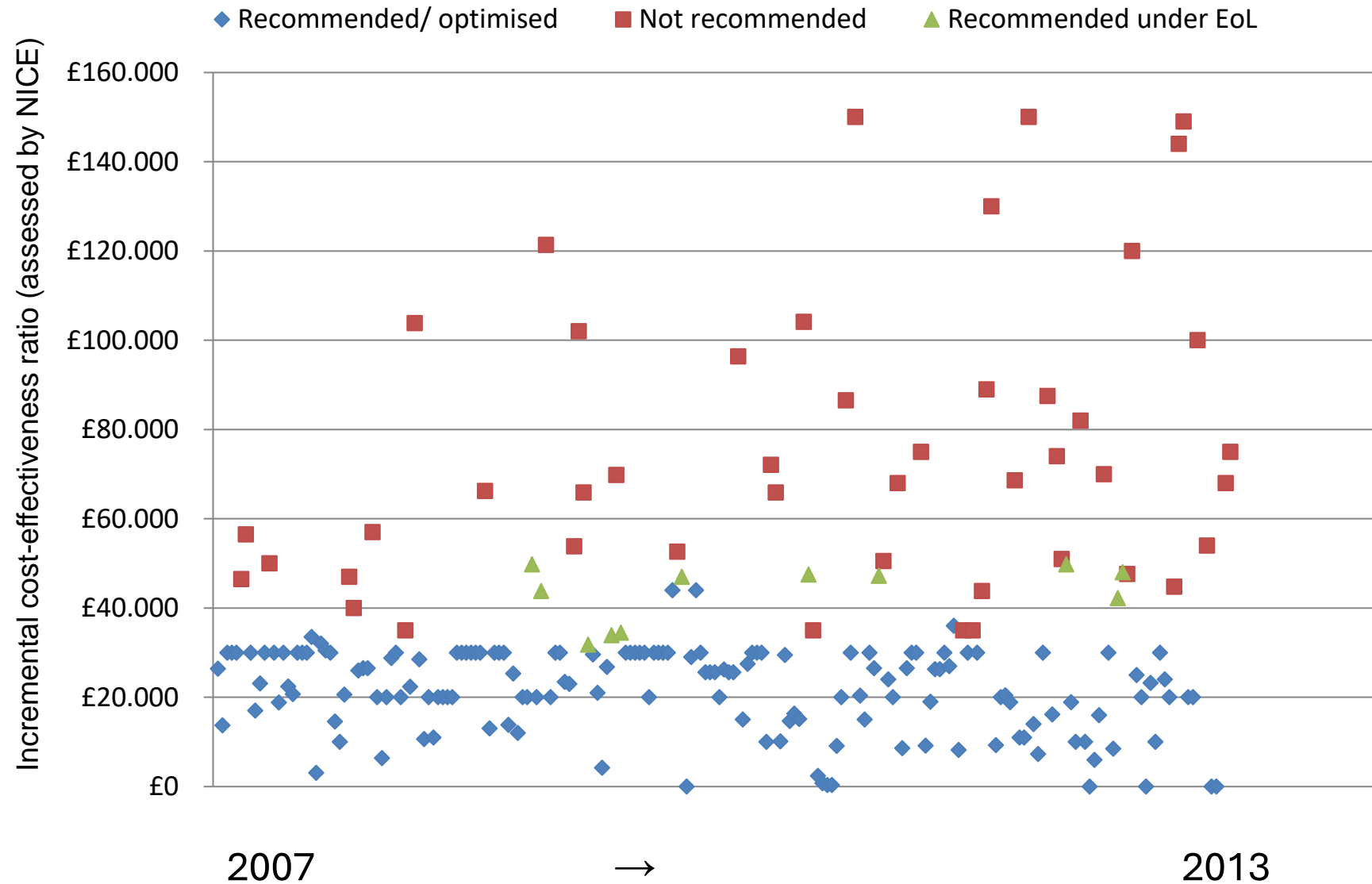
8) QALY beregnet av legemiddelselskapet.

9) 650.000 (ved lav dose).

10) Dette er firmaets anslag, SLV har ikke beregnet på grunn av manglende data.

11) Det niende kreftlegemidlet som har fått ja, er Herceptin som subcutan injeksjon. Her er det ikke beregnet noen QALY. Men SLV skriver: «Gitt dagens LIS-priser, og at effekten av Herceptin som subcutan injeksjon er tilsvarende som for infusjon, ser det ut til at subcutan injeksjon i de fleste tilfeller vil være et mindre kostbart alternativ enn Herceptin som intravenøs injeksjon».

Anbefalinger i England



PAUSE

Betalingsvillighed - et industriperspektiv

Signe Høngard Thybo

Head of HEOR, Nordic

Daiichi Sankyo

Store sko...

- Et emne med mange perspektiver – ikke ét industriperspektiv
- Mine input er baseret på 15+ års erfaring med HTA primært indenfor dermatologi, onkologi og hematologi på tværs af HTA lande. De sidste 10 år i Norden.
- Vigtigt at få diskuteret – så vi alle kan blive klogere og lære af hinanden
- Mit udgangspunkt: Cost-effectiveness → tærskelværdi → betalingsvillighed
- Og så er det vel ret fair at ville kende spillereglerne?



Det interne perspektiv

- Den interne prisforhandling
 - Den hårdeste prisforhandling
 - Nemmere at opnå det man vil, hvis man kender målet
- Forudsigelighed og planlægning
 - Nemmere at forudsige om en sag vil gå igennem, og dermed om der kan forventes salg
 - Gør intern planlægning nemmere
- Alternative prisaftaler – planlægning svær uden fast holdepunkt

Det eksterne perspektiv

- Mere gennemsigtighed ved afvisninger
 - Hvad er den virkelige grund til en afvisning?
- Mere gennemsigtighed omkring hvilken ICER beslutningen er taget på baggrund af (håndtering af usikkerhed)
 - Er det f.eks. altid hovedanalysen der vægter mest?
- Mere klarhed om krav til og muligheder for genansøgninger -> Mere præcise genansøgninger
- Mulighed for at lære af tidligere sager og forbedre egne ansøgninger
- Offentlig debat om prioritering
 - F.eks. Norske prioriteringsmeldinger

Et tænkt eksempel....

- Medicinrådet anbefaler ikke lægemidlet. Lægemidlet øger tid til progression ifht SOC og tyder også på at øge overlevelsen ifht SOC. Dog stor usikkerhed om hvor meget overlevelsen øges. Lægemidlet giver flere grad III bivirkninger ifht SOC.
- Medicinrådet vurderer ikke at omkostningerne er rimelige ifht effekten og opfordre lægemiddelvirkomheden til at sænke prisen.

Et tænkt eksempel (fortsat)....

- Resultattabel:
 - Medicinrådets hovedanalyse lander et sted mellem 300.000 DKK/QALY og 600.000 DKK/QALY (på AIP)
- Følsomhedsanalysetabel:
 - Listen af følsomhedsanalyser viser en stabil ICER på nær et pessimistisk scenarie hvor ICER ligger på mellem 1-1,5 mio. DKK/QALY (på AIP)

Et tænkt eksempel - pointer

- Hvis ICER er et beslutningskriterie – vægter den pessimistiske følsomhedsanalyse så højere end alle andre scenarier (også hovedanalysen)?
- Er der andre beslutningsregler i spil?
 - Omkostninger pr patient
 - Budget impact
 - Dansk klinisk praksis
 - Safety profilen
 - Usikkerhed i data
 - Påvirker dette WTP?

Argumenter imod....

- Så blive det alt for uflexibelt...
 - Måske – men dette kommer an på hvordan betalingsvilligheden forvaltes
- Så er det kun sundhedsøkonomien der får betydning – vi skal også huske det kliniske perspektiv...
 - Nej, det mener jeg ikke.
 - Den kliniske vurdering er ikke en kontrast til sundhedsøkonomien, men en del af sundhedsøkonomien.
 - Dels er Cost-effectiveness analysen også en systematisk vurdering af det kliniske data.
 - Dels kan Rådet vurdere at noget ikke har plads i dansk klinisk praksis på trods af en ICER under WTP

Argumenter imod....

- Flere niveauer af betalingsvillighed vil give et mere fair prioriteringsystem...
 - Ikke nødvendigvis – det kommer an på om man vil prioritere noget højere end andet fx kræft, børn, sjældne sygdomme
- Hvis betalingsvilligheden er offentlig, så vil virksomheder altid søge at sætte prisen så dette niveau opnås....
 - Ja, det er klart – men er det nødvendigvis negativt?

Andre overvejelser

- Skal betalingsvilligheden være offentlig/officiel?
- Er der noget vi vil prioritere over andet? – Behov for moderatører?
 - Hvis ja, hvilken metode skal anvendes til at implementere moderatører?
- Hvad er alternativet?
 - Eksisterer betalingsvilligheden allerede – bevidst/ubevidst?
 - Eksisterer moderatørerne allerede – bevidst/ubevidst?
 - Suboptimalt for alle hvis disse ikke er offentlig kendte



Spørgsmål eller kommentarer?

Beslutningstagning og betalingsvillighed i praksis

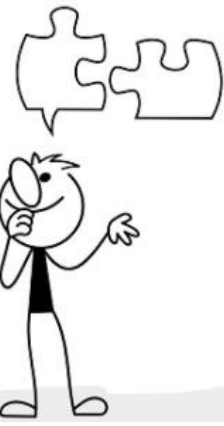
Dorte Gyrd-Hansen

Professor, Dansk Center for Sundhedsøkonomi (DaCHE) & medlem af Medicinrådet

DSSØ Workshop, 6. september, 2024

Prioritering – en præmis. How to do?

Komplekse beslutninger



BESLUTNING

ICER & usikkerhed om ICER grundet usikkerhed om effekt

Risiko for utilsigtede konsekvenser & usikkerhed herom

Hvad skal tærskelværdien være?
Er betalingsviljen per QALY kontekst-specific?

Hvordan operationalisere alvorligheds-kriteriet?

Hvad er de reelle alternativ omkostninger – tabte QALYs



Komplekse beslutninger



BESLUTNING

1

ICER & usikkerhed om ICER grundet usikkerhed om effekt

2

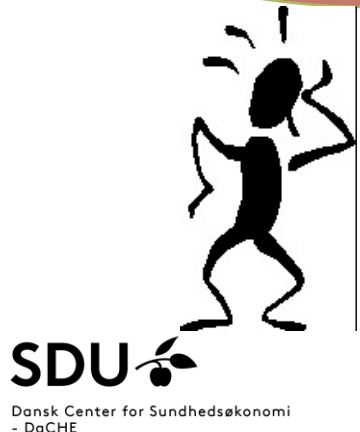
Hvad skal tærskelværdien være?
Er betalingsviljen per QALY kontekst-specific?

Hvad er de reelle alternativ omkostninger – tabte QALYs

Risiko for utilsigtede konsekvenser & usikkerhed herom

Hvordan operationalisere alvorligheds-kriteriet?

3



Usikkerhed om ICER

Valget – som det ofte ser ud



De håbefulde patienter der håber på ny effektiv behandling
Den (i stigende grad) usikre QALY gevinst



De patienter, der lige nu får effektiv behandling
Den mere sikre QALY gevinst

Det er fokus på modtagergruppen – men af hensyn til både disse patienter og andre patienter skal vi være kritiske

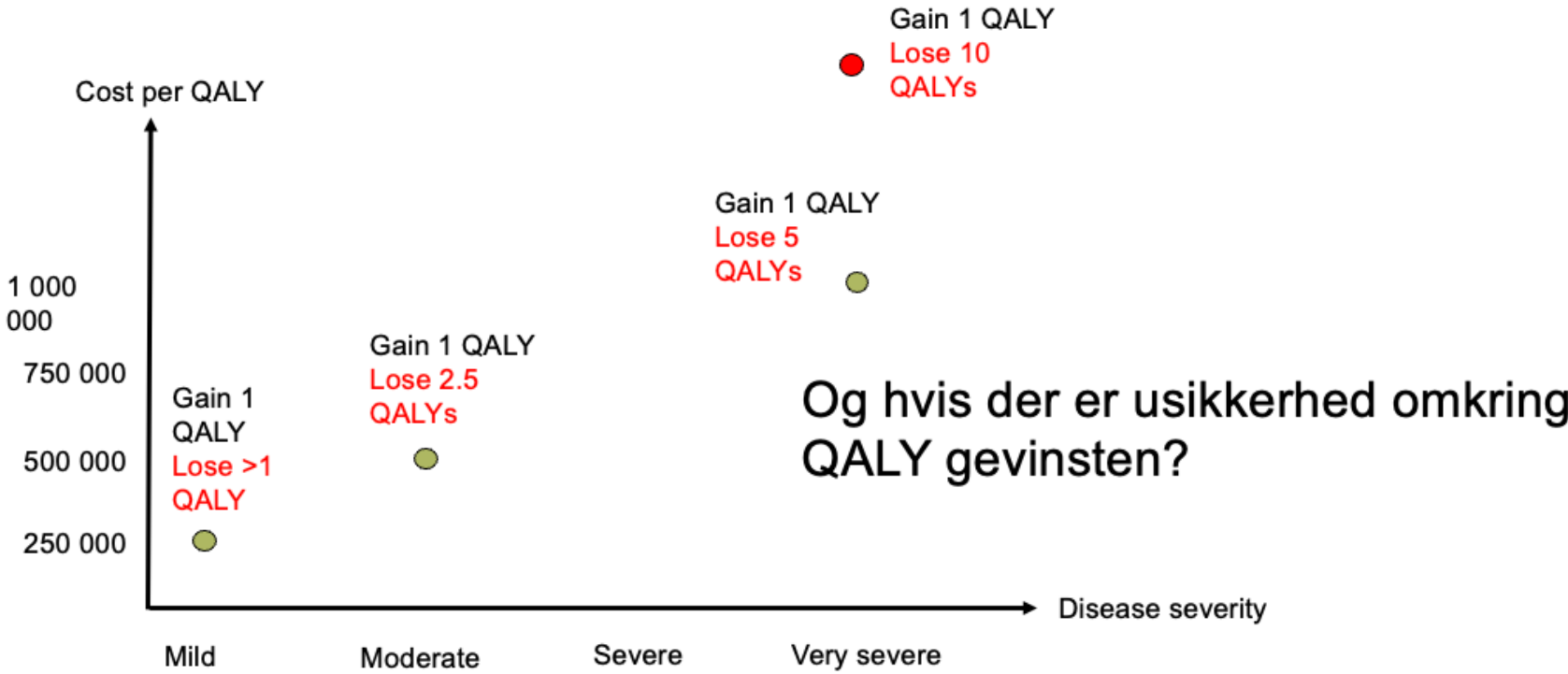


- Effekt?
- Usikkerhed om effekt?
- Uforudsete bivirkninger?

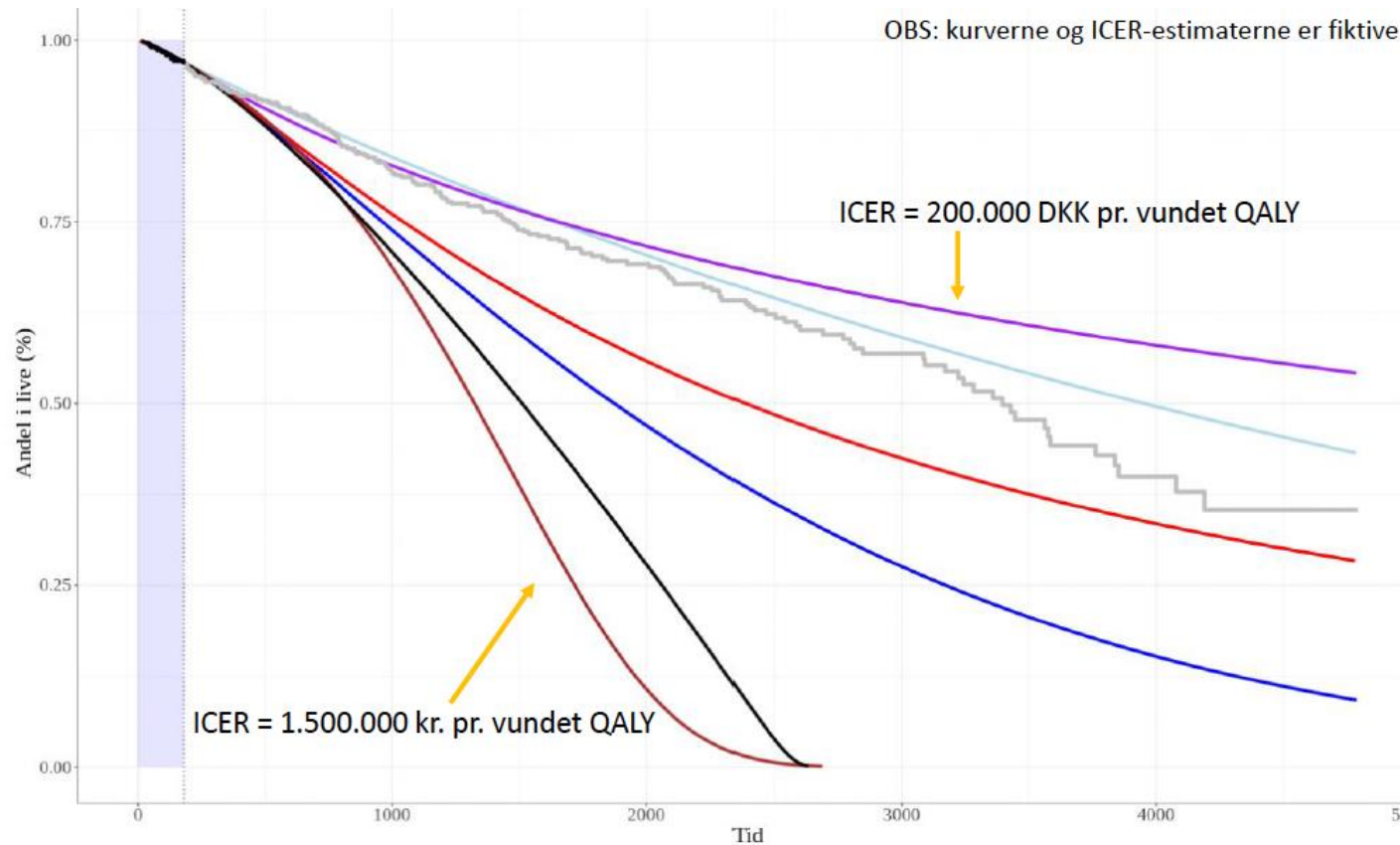
- Er prisen for høj givet ovenstående?

- Alt andet lige er betalingsviljen højere, **hvis usikkerheden mindskes**

Alvorlighed og ICER (jf Martins slide)



Hvis vi har kort observationsperiode



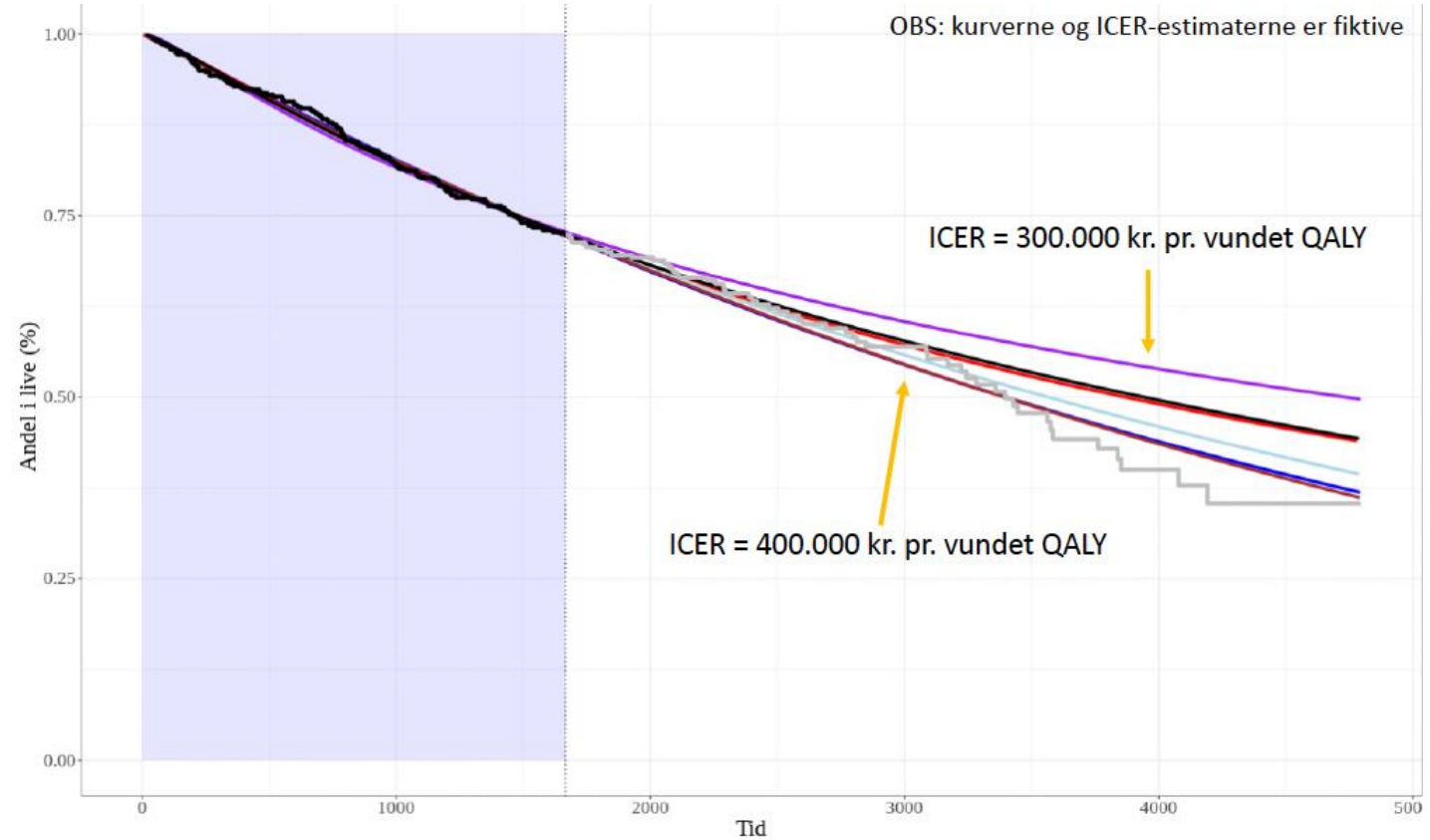
Rådet bruger i nogle tilfælde fagudvalget til valg af den klinisk mest plausible funktion.

Nogle gange er data så dårlige, at man ikke kan sige hvilken ekstrapolering, der er den rigtige.

Der fremgår af rapporten i hvilken grad man har tiltro til valg af ekstrapoleringsmodel.

Så bliver ekstrapoleringer derefter, og usikkerhed omkring ICER stor

Hvis vi har længere observationsperiode



Så er usikkerheden mindre

Men usikkerhed ligger ikke kun i ekstrapoleringsovelsen

De kan være mere fundamentale:

- **Få patienter**, der ofte gør alt usikkert
- **Dårligt match**: patienter i studiet svarer ikke til dem, der vil modtage behandlingen i DK
- **Komparator - manglende match** med dansk klinisk praksis
- **Et arms studier** – dvs ingen kontrol (kan en syntetisk kontrol gruppe identificeres?)

Ofte umuligt at lave følsomhedsanalyse for at belyse implikationerne af disse fundamentale kilder til usikkerhed

Signe rejste et par spørgsmål I

- Hvis ICER er et beslutningskriterie – vægter det pessimistiske ekstrapoleringsscenario så højere end alle andre scenarier (også hovedanalysen)?
 - **NEJ, det mener jeg ikke.**
 - **Der er nok større fare for at base-line estimatet vægtes for højt, når vi har at gøre med usikkerhed, som vi ikke kan lave følsomhedsanalyse på.**
- Er der andre beslutningsregler i spil? Fx Omkostninger pr patient ?
 - **Ikke ofte. Budgetimplikationer kommer meget sjældent i spil. Vi går i retning af mindre og mindre patientgrupper, mere personlig medicin. Men vi har selvfølgelig forsigtighedsprincippet, som kan komme i spil.**

Signe rejste et par spørgsmål II

- Er der andre beslutningsregler i spil? Problemer med Implementering i dansk klinisk praksis?
 - **Der kan være dimensioner af implementering, som vi skal tage højde for.**
 - **Fx kan vi have fokus på stopkriterier. Og fokus på indikationsskred. Vi har fokus på dette for at forbedre ICER & mindsker usikkerhed – så vi synes vi kan sige ja.**
 - **Vi diskuterer om vi skal sige ja til en subgruppe, for at sikre at ICER er fornuftig.**
- Safety profilen? **JA. Hvis relevant. Dansk komparator er måske forskellige, og kan være relativt mere sikker end den nye medicin.**
- Usikkerhed i data (1 armet phase II studie). Påvirker dette WTP? **JA bestemt.**

Seponering – kan minimere usikkerhed om ICER

Hvis behandling stopper
når der ikke (længere) er
effekt, så vil usikkerhed om
effekt ikke i så høj grad
påvirke
omkostningseffektiviteten

- Har vi en effektiv seponeringsstrategi?
- Eller er der tale om kontinuert behandling, der primært har effekt på overlevelse?
- Hvis tæller og nævner følges ad, så bliver ICER nogenlunde konstant
- Derfor kan vi nogle gange, hvis vi kan tale os frem til klare stop kriterier med fagudvalget, leve med større usikkerhed på en række parametre.

Rådet agerer ikke blot passivt. Det er proaktivt i at sikre større sikkerhed omkring ICER, hvis det overhovedet er muligt.

Tærskelværdi: betalingsvilje for en QALY

Tærskelværdi – “to have or not to have”

Vigtigt at skelne mellem:

Ingen tærskelværdi



Meget granuleret tærskelværdi

Der er ingen tærskelværdi fordi man ikke tager hensyn til alternativomkostninger og udelukkende ser på effekt, sikkerhed mv.

Komplekse beslutninger – ikke alt kan sættes på formel. Hvad er betalingsviljen når vi står overfor forskellige typer af usikkerhed? Hvordan interagerer det med alvorlighed?

Tærskelværdi – “to have or not to have”

Vigtigt at skelne mellem:

Norge og Sverige

Danmark

Ingen tærskelværdi

Meget granuleret tærskelværdi

Der er ingen tærskelværdi fordi man ikke tager hensyn til alternativomkostninger og udelukkende ser på effekt, sikkerhed mv.

Komplekse beslutninger – ikke alt kan sættes på formel. Hvad er betalingsviljen når vi står overfor forskellige typer af usikkerhed? Hvordan interagerer det med alvorlighed?

Betalingsvilje for en QALY - hvordan afdække? I

- **Vi kan spørge befolkningen** ved brug af hypotetiske værdisætningstudier, hvor man sætter et scenarie op.
- Fx: Forestil dig, at du har en 1/10.000 risiko for at dø. Hvor meget vil du være villig til at betale at betale for at eliminere denne risiko? Hvis svaret er 3.000 kr. Så er værdien af et statistisk liv = $3000 \text{ kr} * 10.000 = 30.000.000 \text{ kr}$.
- Men hvad hvis jeg havde stillet det samme spørgsmål, og præsenteret en risiko på 1/1.000 eller en risiko op 1/100.000. Tror I jeg ville være kommet sammen til samme værdi for et statistisk liv?

Betalingsvilje for en QALY – hvordan afdække? II

- KOMPLEKSE BESLUTNINGER er svære at forklare lægpersoner. Man kan altid afdækker præferencer, men er de retvisende?
- **Hypotetiske scenarier der involverer sandsynligheder, livskvalitetsmål, overlevelsestal, og usikkerhed er meget svære spørgsmål at svare på, og værdien af en QALY, et statistisk liv varierer meget i litteraturen på grund af både metode og kontekst.**
- At undgå **trafikdrab** er ensbetydende med at undgå pludselig død blandt ret unge mennesker, og redde mange leveår. **Alvorlighedsgraden er stor.** Det giver meget høje estimater for betalingsvilje for en QALY, og kan ikke omsættes til de fleste scenarier, der skal tages stilling til i medicinrådet. Jf Rasmus' oplæg.

Kan en sådan betalingsvilje bruges i praksis?

- **Den vil diktere sundhedsbudgettet. Skatterne skal stige tilsvarende.**
- **Vil det egentlig matche borgernes præferencer?** Problemet er at borgerne har svaret på spørgsmål, der går på ét scenarie: én risiko og én behandling.
- Men vil de betale det 10-100 gange? Næppe.
- Efterhånden som sundhedsbudgettet øges og skatterne stiger, så bliver den krone man har i husholdningsbudgettet vigtigere og vigtigere at beholde til fornødenheder. Kronens værdi bliver større for en, og man er villig til at betale mindre for et statisk liv.
- Der er dermed fare for at det resulterende sundhedsbudget ikke vil afspejle befolkningens præferencer.



Alternativomkostningsmetoden (skyggepris)

- Man kan i stedet stille spørgsmålet:
 - Hvor koster det at producere en QALY i det danske sundhedsvæsen? Jf Martins præsentation.
 - Hvis vi ved det, så kan vi bruge omkostning per QALY som tærskelværdi.

PROBLEM 1: det er svært at estimere!

PROBLEM 2: man går ud fra at det er tilfældigt hvilke eksisterende behandlinger, der fortrænges. Men hvis vi er lidt klogere, så skulle det gerne være de dårligste ideer, der lukkes ned for. Så prisen per QALY bør reelt være højere end gennemsnittet.



Testing is an important part of medicine across all specialties and settings. As a result, the volume of testing is enormous, with an estimated 4-5 billion tests performed in the United States each year. ¹ Unnecessary laboratory testing and diagnostic imaging is believed to be common. Studies looking at testing of patients have found 40%-60% of tests to be unnecessary. ¹ ²

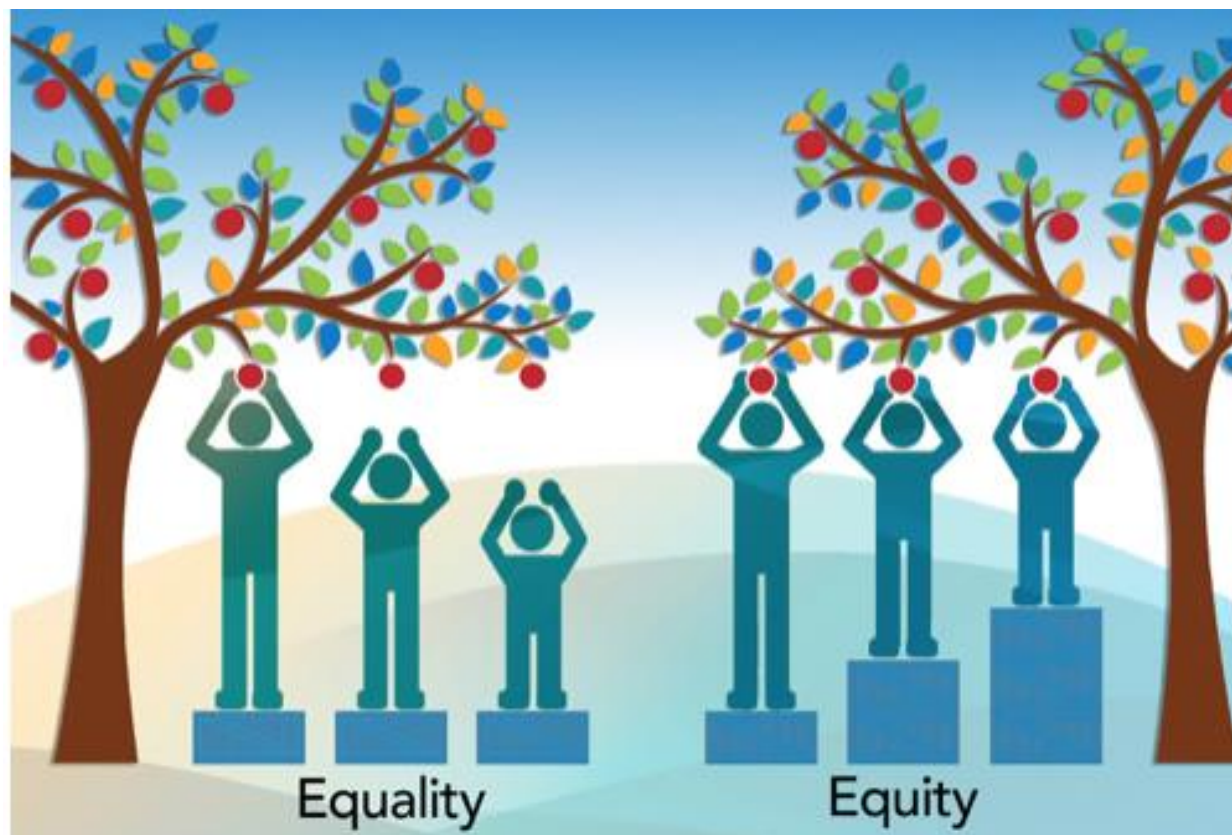


Alvorlighedskriteriet – hvordan anvende i praksis?

Alvorlighedsprincippet i Medicinrådet

- Når det **intuitive** alvorlighedsprincip tages med i Rådets beslutningsgrundlag, åbner Rådet op for:
 - At acceptere udgifter ved ibrugtagning af et nyt lægemiddel, som er højere end, hvad Rådet almindeligvis accepterer.
 - At anbefale et nyt lægemiddel, hvis evidens grundlag ikke er tilstrækkeligt til, at Rådet almindeligvis anbefaler det.
- Der er særlige tilfælde, hvor Medicinrådet kan vælge at inddrage alvorlighed i sit beslutningsgrundlag. Det kunne være i situationer, hvor det nye lægemiddel:
 - Er rettet mod børn og unge personer (0-25 år).
 - Vedrører sygdom **med ualmindeligt tidlig død**.
 - Kurerer, forebygger eller modificerer kronisk invaliditet eller andre symptomer, der er **grundlæggende livsbegrænsende**
 - Er rettet mod alvorlige og særligt smitsomme sygdomme.
 - **Er eneste reelle sygdomsmodificerende eller kurative behandling**

”Fairness” (equity) er en væsentlig grund til ikke blot at have en tærskelværdi



Hvad siger litteraturen om befolkningens sociale præferencer for QALYs vundet i forskellige kontekster?

Systematisk litteratur gennemgang af Gu et al, 2015, Gyrd-Hansen, 2016, Lancsar et al, 2020

- **Alder** (fair innings argumentet)
 - QALY vægtes mindre når det er ældre, der får helbredsgevinster. Opprioritering af QALY blandt unge mennesker særlig stærk når forventet levetid er kort. QALY blandt helt unge/nyfødte vægtes ikke helt så højt. *Der tages højde for hidtidige år levet.*
- **Alvorlighed af sundhedstilstand**
 - Størst vægt er ofte givet til dem med lav sundhedstilstand. Men undertiden er det fundet, at det ikke er dem i den værste sundhedstilstand der prioriteres. Dem der prioriteres højst er undertiden dem, der er i moderat sundhedstilstand. *Tilstand her og nu (uden historik)*
- **Type of QALY gevinst.** Lancsar et al (2020) fandt at QALYs, der vindes ved at forlænge livet på bekostning af livskvalitet har mindst værdi.

Der er mange præferencer, der er afdækket. Hvilke tager vi med i vores overvejelser?

Hvordan er hensynet til lighed i relation til alvorlighed udmøntet i praksis?

- **UK:** National Institute for Health and Care Excellence (NICE):
 - **End-of-life premium**, højere betalingsvilje for QALYs vundet blandt patienter, der har mindre end to år tilbage at leve i.
 - Der er empirisk evidens, der indikerer, at der ikke er støtte til dette princip blandt befolkningen.
- **Holland:** "**relative shortfall**". Alvorlighed måles som tab af QALY som følge af sygdom i forhold til hvor mange QALYs en patient kunne forvente at opnå (hvis vedkommende ikke havde sygdom).
 - Har fundet politisk støtte og anvendelse i Holland. Men der er tvivl om befolkningens støtte.
- **Norge:** "**absolute shortfall**": Alvorlighed måles som antal tabte QALYs over livstid, jf Jans præsentation.

Hvis patientgruppes situation er mest alvorlig?

Patientgruppe 1

Gennemsnitsalder: 65 år.
Har forventeligt 20 gode år at
leve i – uden sygdom

Står til at tabe 10 år på grund af
sygdom (uden behandling)

Patientgruppe 2

Gennemsnitsalder: 85 år.
Har forventeligt 2 gode år
tilbage at leve i – uden sygdom

Står til at tabe 1 år på grund af
sygdom (uden behandling)

UK: Patientgruppe 2's situation mest alvorlig; større betalingsvilje for 1 QALY for patientgruppe 2 – end-of-life kriteriet.

Holland: Alvorligheden er den samme for patientgruppe 1 og 2 – samme betalingsvilje for 1 QALY på tværs af grupperne.

Norge: Patientgruppe 1's situation mest alvorlig; større betalingsvilje for 1 QALY for patientgruppe 1.

Perspektivering

Magnussen trappen, jf Jans præsentation

- Ikke baseret på patientpræferencer
- Hvad med usikkerhed? Det mangler.
- Mit indtryk er at man i Norge i stigende grad undlader at gennemføre økonomisk evaluering, hvis der er elementer af usikkerhed – for at undgå at bliver fanget af “trappens logik”. En uheldig bivirkning?

Gruppe	1	2	3	4	5	6
Absolutt prognosetap (QALY tap)	< 4	4-7.9	8-11.9	12-15.9	16-19.9	20 +
Likhetsvekt	1	1.4	1.8	2.2	2.6	3
Betalingsvilje (NOK 1,000) per QALY	275	385	495	605	715	825

Krav om tærskelværdi – mulige “side-effects”:

- Norges erfaring....Mere systematik fører til potentiel mindre systematik...?
- Legimitet vedrørende valg af tærskelværdi?
- Tærskelværdier kan føre til følelse af uretfærdighed, hvis man som patientgruppe ligger tæt på en tærskelværdi, men ikke lige kommer over. Det er svært at tackle.
- Alvorlighetskriteriet – er diskutérbart. Det er ikke en exact science.
- Hvordan sætte usikkerhed på formel? Usikkerhed om evidens er vores største udfordring – og problemet synes at være stigende

Kommunikation om bevæggrund for beslutning I

Jeg vil mene at rådet gør sig umage med at kommunikere begrundelsen for en ikke-anbefaling

Disse kan være:

- **manglende evidens** for effekt og/eller
- **uacceptable bivirkninger** i forhold til nuværende behandling i dansk praksis, eller
- **et ikke acceptabelt forhold mellem pris og effekt,**
- herunder om **usikkerhed** spiller ind i hvordan dette forhold vurderes

Kommunikation om bevæggrund for beslutning II


- Rådet nævner, hvis alvorlighedskriteriet er taget i anvendelse til støtte for en anbefaling.
- Vurderingsrapporten giver en grundig gennemgang af de usikkerheder, man mener, der ligger i vurderingen. Der foretages følsomhedsanalyser.
- Hvor der er usikkerheder der kan påvirke ICER, men som man ikke kan håndtere via følsomhedsanalyser, så beskrives disse i rapporten, og det fremhæves hvordan man mener at usikkerheden vil påvirke ICER.
- Men vi kan jo altid blive bedre 😊.

Tak for opmærksomheden!


Dorte Gyrd-Hansen

 dgh@sdu.dk

 @DorteGyrd

 <https://portal.findresearcher.sdu.dk/da/persons/dgh>

Dansk Center for Sundhedsøkonomi – DaCHE

 @DaCHE_SDU

 dache.dk

