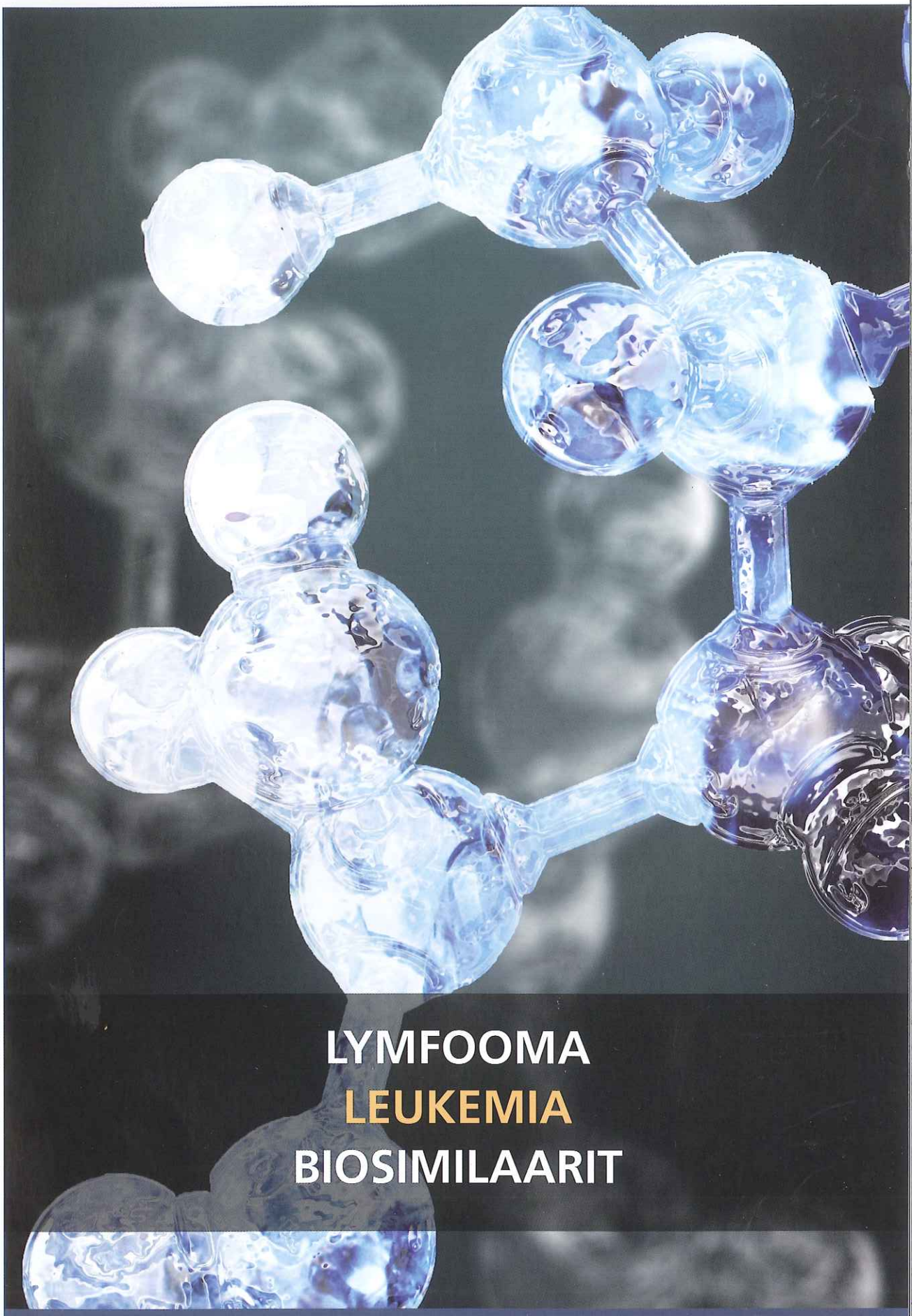
ONKOLOGIA / HEMATOLOGIA

NRO 7 • JOULUKUU 2013

# BESTPRACTICE



## LYMFOOMA
## LEUKEMIA
## BIOSIMILAARIT

ONKOLOGIA JA HEMATOLOGIA SUOMESSA

LÄÄKETIETEEN ASIANTUNTIJOIDEN AMMATTILEHTI

# Terveystaloudellinen näkökulma edenneen munuaissyövän hoitoihin



**Timo Purmonen**
FaT, KTM
Johtaja, Terveystaloustieteelliset palvelut
Medfiles Oy

**Edenneen munuaissyövän hoidossa** on tapahtunut suuria edistysaskeleita viimeisen kymmenen vuoden aikana. Syöpien biologisia prosesseja on opittu ymmärtämään entistä paremmin, mikä on johtanut syöpähoitojen nopeaan kehittymiseen. Munuaissyövän hoidossa tietämyksen lisääntyminen on mahdollistanut kohdennettujen lääkeaineiden kehittymisen. Uusille syöpähoidoille on tyypillistä, että ne on kohdennettu yhä suppeammalle potilasjoukolle.

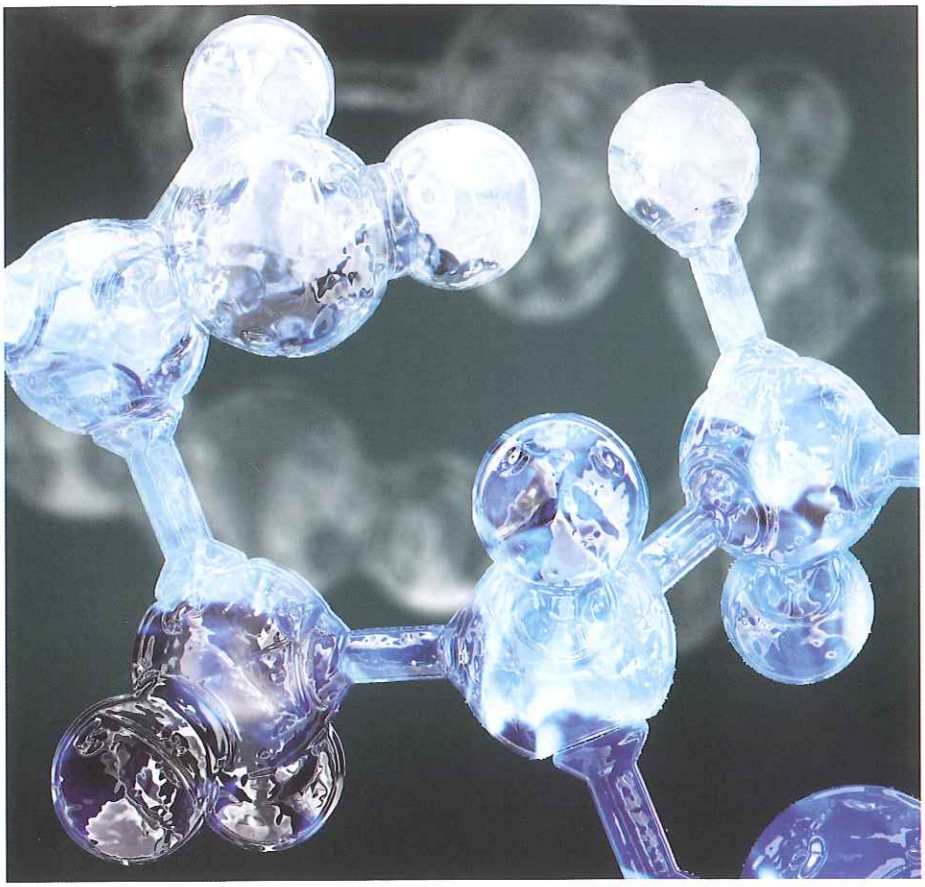
Hoitojen kehittyessä potilaita voidaan hoitaa yhä paremmin ja pidempään. Potilaille voidaan tarjota myös yhä enemmän hoitovaihtoehtoja. Väestön ikääntyessä kasvava potilasmäärä aiheuttaa kustannuspaineita terveydenhuollolle. Kun potilasmäärät lisääntyvät ja hoitojaksot sekä pitenevät että kallistuvat, on hoitojen kustannuksiin alettu kiinnittää yhä enemmän huomiota. Terveystaloudellisia arviointeja käytetään yhä enemmän arvioimaan hoidolla saavutettavissa olevan lisähyödyn kustannuksia terveydenhuollolle ja yhteiskunnalle.

### Hoitojen taloudellinen arviointi

Kun puhutaan taloudellisen arvioinnin menetelmistä, viitataan yleensä kustannusvaikuttavuuden arviointiin. Tällöin tavoitteena on tunnistaa ne hoidot, jotka tarjoavat eniten vastinetta niihin sijoitetuille resursseille. Yleisesti ottaen menetelmän avulla tutkitaan saavutettujen terveyshyötyjen ja aiheutuneiden kustannusten välistä suhdetta. Kyse ei siis ole siitä, että pyritään etsimään aina edullisin vaihtoehto, vaan siitä, että pyritään saamaan mahdollisimman paljon vastinetta rahalle. Lisäksi on pyrittävä arvioimaan, mitkä ovat uuden hoidon kokonaiskustannukset verrattuna jo olemassa olevaan hoitokäytäntöön.

Terveystaloudellisten arviointien vaikeutena on kuitenkin se, että ne ajoittuvat hetkeen, jolloin käyttökokemuksia uudesta valmisteesta ei vielä ole. Usein arvioinnit tapahtuvatkin silloin, kun lääke on juuri saanut myyntiluvan, mutta se ei ole vielä kliinisessä käytössä. Koska kokemusperäistä näyttöä ei ole olemassa, käytetään arvioinnin pohjana kliinisissä kokeissa havaittuja tietoja hoidon tehosta. Kliinisissä kokeissa lääkkeen vaikutukset on ehkä tutkittu optimaalisissa olosuhteissa, keskimääräistä paremmissa klinikoissa ja valikoidussa potilasjoukossa. Arkipäivän olosuhteet lääkkeen käytölle voivat poiketa näistä olosuhteista huomattavastikin.

Kustannusvaikuttavuutta arvioitaessa pyritään ennustamaan sairauden etenemistä sekä hoitojen mahdollista vaikutusta sairauden luonnolliseen kulkuun. Taudin kulkua mallinnettaessa pyritään poimimaan keskeisimmät arviointiin liittyvät tekijät ja yhdistämään tietoja useista toisiaan täydentävistä lähteistä. Mallinnuksen avulla nämä tiedot saadaan puristetuksi tulkittavissa oleviksi arvoiksi. Näin saadun tiedon oletetaan parhaiten kuvaavan todellisuutta. Mallinnuksen avulla pyritään siis ennustamaan hoidolla saavutettuja hyötyjä ja kustannuksia tulevaisuuteen. Mallinnuksille luonteenomaista on se, että ne ovat aina yksinkertaistuksia todellisuudesta. Silti tulevaisuuteen ulottuvat mallinnukset ovat käytännössä ainoa tapa tuottaa tietoa lääkkeen kustannusvaikuttavuudesta käyttöönottohetkellä, kun käyttökokemuksiin perus-



tavaa tietoa ei ole olemassa. Tuloksiin liittyykin aina epävarmuutta, jonka hallinta on yksi suurista haasteista terveystaloudellisissa analyyseissä.

**Munuaissyövän taloudellinen arviointi**

Syövän aiheuttaman inhimillisen taakan lisäksi taudilla on myös huomattava kansantaloudellinen merkitys. Syövät aiheuttavat suuren määrän ennenaikaisesti menetettyjä elinvuosia sekä aiheuttavat huomattavia tuotannonmenetyksiä. Yksinomaan munuaissyöpä, jota havaitaan vuosittain noin 700 uutta tapausta, aiheuttaa vuodessa yli viisituhatta ennenaikaisesti menetettyä elinvuotta Suomessa.[1]

Edenneen munuaissyövän hoitojen kustannusvaikuttavuutta on tutkittu kansainvälisesti paljon, mutta vaihtelu tutkimustuloksissa on kuitenkin suurta. Osasyynä tähän vaihteluun on se, että arvioinnit toteutetaan yleensä paikallisen terveydenhuoltojärjestelmän näkökulmasta. Taloudellisissa arvioinneissa huomioidaan kohdemaan hoitokäytännöt, kustannukset ja terveydenhuollon erityispiirteet. Yhdessä maassa toteutettuja arviointeja ei voi suoraan yleistää toisaalle.

Edenneen munuaissyövän hoitoon tarkoitettujen uusien hoitovaihtoehtojen nopeaa lisääntymistä on seurannut niistä tehtyjen taloudellisten arviointien määrän merkittävä kasvu. Arviointien kannalta ongelmalliseksi ovat muodostuneet hoitokäytäntöjen nopeat muutokset ja useiden uusien valmisteiden samanaikainen saapuminen markkinoille. Vuonna 2011 julkaistussa katsausartikkelissa löydettiin pelkästään sunitinibin kustannusvaikuttavuuteen liittyen kuusi →

kansainvälisissä tieteellistä artikkelia – näistä neljä koski ensilinjan hoitoa. Kongressiabstrakteja sunitinibin kustannusvaikuttavuuteen liittyen löytyi 25.[2]

Munuaissyövän lääkehoitojen arviointi on ollut myös Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimean kiinnostuksen kohteena. Fimea on keväällä 2013 julkaissut kansainvälisiin raportteihin ja Cochrane-katsauksiin pohjautuvan arviointikoosteen, joka käsittelee edenneen munuaissyövän lääkehoitoja.[3] Kyseisessä julkaisussa Fimea on keskittynyt ensilinjan hoitojen (sunitinibi, bevasitsumabi yhdistettynä interferoni-alfaan, temsirolimuusi, sorafenibi, interleukiini-2, patsopanibi) hoidollisen arvon arviointiin. Yhdeksi keskeiseksi kliiniseksi ongelmaksi hoidon valinnassa nähtiin hoitoa ohjaavien ennustekijöiden puuttuminen. Raporttiin sisällytetystä arviointimateriaalista tunnistettiin kaksi kustannusvaikuttavuusanalyysejä sisältävää raporttia, joista kumpikaan ei kuitenkaan koskenut Suomea. Fimean raportissa esitetyn päätelmän mukaan munuaissyövän ensilinjan hoitojen kustannusvaikuttavuudesta ei voida tehdä johtopäätöksiä kliiniseen näyttöön liittyvien rajoitteiden vuoksi.

Englannin ja Walesin arviointiviranomainen National Institute for Health and Care Excellence (NICE) on antanut positiivisen suosituksen sunitinibin ja patsopanibin käytöstä ensilinjan hoitona.[4,5] Patsopanibin kohdalla tämän tuoreen suosituksen aikaansaaminen on edellyttänyt hintaneuvotteluja. Kustannusvaikuttavuus on yksi osatekijä NICE:n arvioinneissa.

Tämänhetkisen tietämyksen valossa ei siis voida antaa suoria suomalaiseen terveydenhuoltojärjestelmään soveltuvia suosituksia munuaissyövän vaihtoehtoisten hoitojen keskinäisestä kustannusvaikuttavuudesta. Ei siis voi yksiselitteisesti sanoa, mikä hoidoista on toista parempi, vaan on pyrittävä punnitsemaan kokonaisuutta ja huomioitava potilaan näkemykset. Taloudellisen näkökulman huomioiminen tulee olemaan tulevaisuudessa yhä tärkeämpi osa kalliiden hoitojen arviointia, koska yhteiskunnan ja terveydenhuollon rajalliset resurssit eivät riitä kohtaamaan tulevaisuudessa jatkuvasti lisääntyvää hoidon tarvetta. Toistaiseksi hoitojen taloudellisen arvon osoittamiseen kuitenkin kiinnitetään valtakunnan tasolla vähäistä huomiota. ■

## YHTEENVETO

Edenneen munuaissyövän hoidossa on tapahtunut suuria edistysaskeleita, ja potilaita voidaan hoitaa aiempaa paremmin ja pidempään. Lääkehoitojen kehittyessä myös niiden kustannukset ovat nousseet, mikä on aiheuttanut huolen terveydenhuollon resurssien järkevästä kohdentamisesta. Kustannusvaikuttavuusanalyysien tavoitteena on tunnistaa ne hoidot, jotka tarjoavat eniten vastinetta niihin sijoitetuille resursseille. Vaikka edenneen munuaissyövän hoitojen kustannusvaikuttavuuteen liittyen on julkaistu useita tutkimuksia, ei suoria suosituksia hoitojen keskinäisestä kustannusvaikuttavuudesta voida toistaiseksi antaa.

**Lähteet**

1. Purmonen T, Nuttunen P, Vuorinen R, Pyrhönen S, Kataja V, Kellokumpu-Lehtinen P. Current and predicted cost of metastatic renal cell carcinoma in Finland. Acta Oncologica 2010;49(6):837-843.
2. Purmonen T. Cost-effectiveness of sunitinib in metastatic renal cell carcinoma. Expert Review of Pharmacoeconomics & Outcomes Research 2011;11(4):383-393.
3. Lääkealan turvallisuus- ja kehittämiskeskus Fimea. Edenneen munuaissyövän ensilinjan lääkehoidot. Arviointikooste. Fimea kehittää, arvioi ja informoi -julkaisusarja 4/2013.
4. Sunitinib for the first-line treatment of advanced and/or metastatic renal cell carcinoma. NICE technology appraisal guidance 169. www.nice.org.uk.
5. Pazopanib for the first-line treatment of advanced renal cell carcinoma. NICE technology appraisal guidance 215. www.nice.org.uk.