

Gezondheidseconomie voor niet-economen

Gezondheidseconomie voor niet-economen

*Een inleiding tot de begrippen,
methoden en valkuilen
van de gezondheidseconomische evaluatie*

Lieven Annemans



ACADEMIA
PRESS

© Lieven Annemans

© Academia Press

P. Van Duyseplein 8

9000 Gent

Tel. 09 233 80 88

Fax 09 233 14 09

info@academiapress.be

www.academiapress.be

Uitgeverij Academia Press maakt deel uit van Lannoo Uitgeverij,
de boeken- en multimediativisie van Uitgeverij Lannoo nv.

Vormgeving & zetwerk: bvba Le Pur et l'Impur

Lieven Annemans

Gezondheidseconomie voor niet-economen

Gent, Academia Press, 2007, XIV + 104p.

1^e druk, 2007

2^e druk, 2008

3^e druk, 2009

4^{de} druk, 2010

5^{de} druk, 2015

6^{de} druk, 2016

ISBN 978 90 382 1160 2

D/2007/4804/154

NUR1 863

Niets uit deze uitgave mag worden verveelvoudigd en/of vermenigvuldigd door middel van druk, fotokopie, microfilm of op welke andere wijze dan ook, zonder voorafgaande schriftelijke toestemming van de uitgever.

Inhoudsopgave

Woord vooraf	VII
Inleiding	IX
1 Het nut van de gezondheidseconomische evaluatie	1
1.1 <i>Het doel van de gezondheidszorg</i>	1
1.2 <i>De zoektocht naar doelmatigheid</i>	2
1.3 <i>Het aanmoedigen van doelmatigheid</i>	6
2 Definities en principes	9
2.1 <i>Woord vooraf</i>	9
2.2 <i>Enkele definities</i>	9
2.3 <i>Kosten-effectiviteit</i>	16
2.4 <i>De QALY</i>	19
2.4.1 <i>De "eenheid" gezondheidseffect</i>	19
2.4.2 <i>Het begrip QALY</i>	20
2.4.3 <i>Hoe de index meten?</i>	22
2.5 <i>De grens van betaalbaarheid</i>	27
3 Methoden voor economische evaluaties	31
3.1 <i>Retrospectieve en prospectieve evaluaties</i>	31
3.1.1 <i>Prospectieve gezondheidseconomische evaluaties</i>	31
3.1.2 <i>Retrospectieve gezondheidseconomische evaluaties</i>	34
3.2 <i>De beslisboom</i>	36
3.2.1 <i>Algemene rekenprincipes van de beslisboom</i>	36
3.3 <i>Een reëel voorbeeld: preventie van diep veneuse trombose (DVT)</i>	43
3.3.1 <i>Inleiding</i>	43
3.3.2 <i>De DVT beslisboom</i>	43
3.3.3 <i>Probabiliteiten</i>	46
3.3.4 <i>Kosten en QALYs</i>	47
3.3.5 <i>Het berekenen van de beslisboom</i>	49
3.4 <i>Het Markov model</i>	54
3.5 <i>Een reëel voorbeeld van een Markov model: behandeling van borstkanker.</i>	57

3.6	<i>De validiteit van gezondheidseconomische modellen</i>	66
3.7	<i>Sensitiviteitsanalyse</i>	67
3.8	<i>Enkele voorbeelden van gepubliceerde gezondheidseconomische evaluaties</i>	74
4	<i>Richtlijnen voor het uitvoeren en de beoordeling van economische evaluaties</i>	79
4.1	<i>Overzicht van de belangrijkste richtlijnen</i>	80
4.2	<i>Specifieke richtlijnen voor specifieke methoden</i>	87
4.2.1	<i>Richtlijnen voor modellen</i>	87
4.2.2	<i>Richtlijnen voor retrospectieve studies</i>	89
4.2.3	<i>Richtlijnen voor prospectieve studies</i>	90
5	<i>Problemen met de interpretatie en implementatie van gezondheidseconomische evaluaties, en slotbedenkingen</i>	93
5.1	<i>Een QALY is niet gelijk aan een QALY</i>	94
5.2	<i>De impact op het budget</i>	95
5.3	<i>Noodzaak aan herevaluatie</i>	101
5.4	<i>Slotbedenkingen</i>	102

Woord vooraf

Bij de vierde druk

De jongste jaren heb ik heel vaak de kans gehad om aan een publiek van niet-economen de principes, de methodes en de toepassingen van de gezondheidseconomische evaluatie toe te lichten. Dit gebeurde onder andere via lessen aan studenten geneeskunde, farmacie of medisch-sociale wetenschappen, en vooral via lezingen voor zorgverstrekkers: artsen, apothekers, verpleegkundigen, kinesisten, ... Meermaals kreeg ik de vraag "of hierover geen praktisch en niet te omvangrijk handboek bestaat, specifiek gericht naar niet-economen". En steeds moest ik hierop negatief antwoorden. Vandaar dit boek. Het is bestemd voor artsen, apothekers, verpleegkundigen, kinesisten, en andere gezondheidswerkers. Het is ook nuttig voor studenten geneeskunde, farmacie en medisch-sociale of ziekenhuiswetenschappen.

Het hoofddoel van het boek is om de principes en methodes van de *gezondheidseconomische evaluatie* op een duidelijke manier over te brengen. Maar het boek legt eerst ook uit waarom we dergelijke evaluaties nodig hebben. De principes en methoden die men vandaag in deze discipline toepast worden dan in detail uitgelegd, steeds geïllustreerd aan de hand van uitgewerkte voorbeelden die geïnspireerd zijn op gepubliceerde gezondheidseconomische evaluaties. Na het lezen van dit boek zou de lezer in staat moeten zijn om dergelijke publicaties te begrijpen en – indien men dat wenst – er aan mee te werken. Tenslotte is het ook de bedoeling om de lezer te wapenen voor de confrontatie met resultaten van dergelijke analyses: hoe onderscheidt men een "goede" van een "minder goede" gezondheidseconomische evaluatie? Wat zijn de mogelijke valkuilen? En hoe moet men de resultaten interpreteren? En hoe vertaalt dit alles zich in de dagelijkse medische of paramedische praktijkvoering?

Intussen is het boek vertaald naar het Frans, Engels, Turks en Russisch. Blijkbaar is er op internationaal gebied een even grote vraag naar een beknopte uitleg omtrent de principes en methodes van de gezondheidseconomische evaluatie.

Graag richt ik een hartelijk woord van dank aan Dr. Wim Delva, Prof. Patrick Haentjens en Prof. Hugo Robays voor het grondig nazicht van eerdere versies van het boek en voor hun zeer relevante opmerkingen en verbeteringen. Ook dank ik studenten en andere lezers die hier en daar in de eerste druk nog foutjes hebben kunnen vinden. Deze zijn nu uiteraard gecorrigeerd.

Zoals al vermeld is de inhoud van dit boek voor een groot deel een neerslag van mijn – vooral avondlijke – lezingen naar zorgverstrekkers toe. Het schrijven vond vooral plaats tijdens de weekends. Ik wil daarom vooral mijn lieve vrouw Christel en mijn schatten van kinderen Silke, Mayke, Toon en Daan bedanken voor het opbrengen van geduld telkens ik weer weg was voor een lezing, of weer aan het boek aan het schrijven was.

Inleiding

De gezondheidseconomische evaluatie is een discipline die de jongste jaren een sterke opgang heeft gekend. In heel wat landen worden aanbieders van nieuwe geneesmiddelen of medische toestellen en hulpmiddelen verplicht een dergelijke evaluatie voor te leggen, opdat de overheden een beter zicht kunnen krijgen op de *kosten en baten* van die geneesmiddelen, toestellen of hulpmiddelen. Anders gezegd: wanneer een nieuw geneesmiddel of een nieuwe technologie zich aandient, wil de betaler van dat geneesmiddel of die technologie weten of dit product in kwestie “*waar voor zijn geld*” biedt.

In de meeste westerse economieën is die betaler nog steeds grotendeels de ziekteverzekering of een nationaal gezondheidssysteem (zoals de NHS in het Verenigd Koninkrijk).

Waar voor zijn geld bieden betekent dan dat het geld dat de betaler investeert in deze behandeling goed besteed is. Want geld kan men maar één keer uitgeven, en men geeft het dan best zo verstandig en zo goed mogelijk uit.

Maar wat is goed besteed en wat is slecht besteed geld?

Vooraleer we op deze vraag kunnen ingaan moeten we ons eerst afvragen waarom we die gezondheidseconomische evaluaties nodig hebben. Het eerste hoofdstuk voert argumenten aan waarom de gezondheidseconomische evaluatie van belang is en waarom ze kan bijdragen tot betere beslissingen in de gezondheidszorg en daardoor ook tot een betere gezondheidszorg. Het moet hier al duidelijk gesteld worden dat we met “betere gezondheidszorg” *niet* per se een *goedkopere* gezondheidszorg bedoelen. Het doel van een goed gezondheidszorgbeleid is immers niet in de eerste plaats besparen maar het *produceren van gezondheid*. Jacobzone (OESO, 2003)¹ stelt: “*While the stakeholders are mostly focused on the financial relationships, the ultimate social goal of health care can be seen as producing health, which is the key factor contributing to improved well being.*” Het doel is dus het “produceren” van gezondheid, of anders gezegd het realiseren van gezondheidswinst. Een populatie met een betere gezondheid is immers productiever en zal ook meer consumeren en hierdoor bijdragen tot een groei van de welvaart.

¹ Jacobzone S. Introduction to the Ageing-Related Diseases Project. In A Disease-based Comparison of Health Systems What is best at what cost? OECD, 2003.

Maar, dit kan natuurlijk niet ten koste van alles: het wordt steeds meer begrepen en aanvaard dat we *ons als maatschappij niet meer kunnen veroorloven om te betalen voor een dure behandeling, indien blijkt dat die behandeling slechts een klein bijkomend gezondheidseffect zal hebben*. We moeten erover waken dat men de beschikbare middelen optimaal kan inzetten, dat men met het geld dat aan gezondheidszorg wordt besteed zoveel mogelijk gezondheid kan winnen. Hetzelfde principe geldt trouwens in elke sector waar men "iets" produceert: men tracht met de beschikbare middelen een zo groot mogelijke output (hier: gezondheidswinst) te realiseren, of men tracht een bepaalde output te realiseren met zo weinig mogelijk middelen. Besparen kan dan soms nuttig zijn, indien men kan aantonen dat men daarmee geen *gezondheidsverlies* veroorzaakt.

Internationale instanties zoals de OESO (Organisatie voor Economische Samenwerking en Ontwikkeling – Engels: Organisation for Economic Cooperation and Development – OECD) benadrukken eveneens dat een goed gezondheidsbeleid *doelmatigheid* moet nastreven (lees: het optimaal besteden van de middelen) onder andere via het meer uitvoeren van gezondheidseconomische evaluaties, en bovendien ook billijkheid moet garanderen (lees: iedereen die dezelfde gezondheidsbehoefte heeft moet ook dezelfde zorg kunnen krijgen).²

De gezondheidseconomische reflex en het streven naar doelmatigheid vindt natuurlijk meer opgang wanneer de budgetten voor gezondheidszorg beperkt blijken te zijn. Indien er *geen* beperking van het budget was, dan zou men *alle* nieuwe en bestaande preventieve en curatieve doeltreffende therapieën die ook maar enige gezondheidswinst opleveren naar believen toepassen en terugbetalen, zelfs als hun additioneel effect op de gezondheid zeer klein is. Maar de budgetten *zijn* beperkt, en zelfs indien ze groeien, is hun groei beperkt.

Daarom is het de uitdaging van het beleid om een afweging te maken van wat wél en niet kan binnen het beschikbare budget. Maar het is even essentieel dat iedereen die er belang bij heeft hierover kan meespreken en de principes en methodes van deze optimale verdeling van de middelen begrijpt.

² Hurst J. In: Measuring up. Improving Health System performance in OECD countries. OECD 2002.

In hoofdstuk 1 gaan we nog verder in op dit toenemend belang van gezondheidseconomische evaluaties bij het nemen van beslissingen in de gezondheidszorg.

In hoofdstuk 2 komen we dan bij onze hoofdrolspeler. De techniek die gebruikt wordt om de kosten en effecten van interventies in de gezondheidszorg te onderzoeken noemen we de *gezondheidseconomische evaluatie*.

Deze techniek verenigt gekende methoden uit verschillende wetenschappelijke disciplines: geneeskunde, farmacologie, epidemiologie, statistiek, psychologie en economie. Het is belangrijk hier reeds te noteren dat zonder goede klinische gegevens een goede gezondheidseconomische evaluatie nogal problematisch wordt, zoals we verder zullen zien.

Wanneer er geneesmiddelen betrokken worden in een gezondheidseconomische evaluatie dan spreekt men vaak van een *farmaco-economische evaluatie*. Maar, zoals eerder gezegd, kan een dergelijke evaluatie op gelijk welke preventieve, diagnostische of curatieve interventie in de gezondheidszorg betrekking hebben.

Dit tweede hoofdstuk beoogt de principes van de gezondheidseconomische evaluaties toe te lichten, geïllustreerd aan de hand van een abstract voorbeeld. Komen onder andere aan bod: de incrementele kosten-effectiviteitsratio en de QALY (Quality Adjusted Life Years). Op dat moment trachten we ook een antwoord te geven op de eerder gestelde vraag wat nu goed besteed geld is en wat niet.

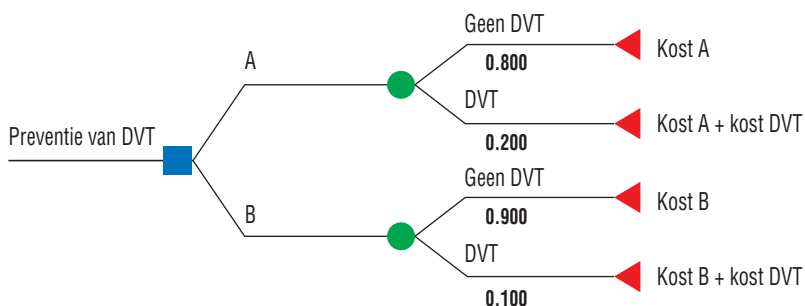
In hoofdstuk 3 worden de methoden verder uitgediept. Ruwweg bestaan er twee methoden om een economische evaluatie uit te voeren van een bepaalde interventie ten opzichte van een alternatieve interventie:

- 1) men organiseert een vergelijkende studie, hetzij retrospectief (terugblikkend in het verleden), hetzij prospectief (zoals een gerandomiseerde klinische studie), waarbij echter niet alleen klinische gegevens maar ook gegevens inzake medische consumptie verzameld worden (hoeveel consultaties, onderzoeken, hospitalisatiedagen, geneesmiddelen, ingrepen, ... per patiënt), waardoor men op het einde van de rit niet alleen de doeltreffendheid van de vergeleken alternatieven kan meten maar ook de totale kost ervan. In dit derde hoofdstuk zal blijken dat deze methode op een aantal methodologische en praktische problemen stuit. Ze wordt ook niet zo heel vaak gebruikt. De voornaamste problemen hebben te maken met het ontbreken van correcte gegevens in retrospectieve studies en met het

soms kunstmatige studieprotocol bij prospectieve studies.

2) het meer “populaire” alternatief is het toepassen van de medische beslisboom. In een medische beslisboom zal men de gevolgen van een keuze voor een bepaalde interventie in kaart brengen, en hierbij beroep doen op gegevens die uit verschillende bronnen komen. Stel dat men een nieuw geneesmiddel B met een bestaand geneesmiddel A vergelijkt bij de preventie van diep veneuze thrombosen (DVT). De doeltreffendheid van B blijkt beter te zijn volgens de resultaten van een klinische studie: 20% DVT met A versus 10% met B. Men zou dan de volgende beslisboom kunnen tekenen:

Figuur 1: eenvoudige beslisboom in de preventie van DVT



Legende: het vierkant is een “keuzeknoop” en wijst op de keuze tussen A en B. De cirkels zijn kansknopen, en de driehoeken zijn eindknopen.

Stel dat B duurder is dan A. Dan is het toch mogelijk dat, naast het boeken van gezondheidswinst, ook besparingen kunnen gerealiseerd worden doordat de kans op een – dure en gezondheidschadende – DVT merkkelijk verkleind wordt. Een beslisboom laat toe dergelijke vraagstukken in kaart te brengen en een oplossing aan te reiken. In het derde hoofdstuk bespreken we deze techniek meer in detail en zien we ook een meer complexe methode, met name het Markov model. Daarbij volgt een voorbeeld uit het domein van borstkanker. Dit gedeelte over beslisbomen en Markov modellen is vrij technisch. Toch is het belangrijk zich hier door te worstelen omdat veel gezondheidseconomische publicaties, ook diegene die verschijnen in klinische tijdschriften, gebaseerd zijn op dergelijke modellen.

In dit hoofdstuk komt veel cijfermateriaal voor. Omdat het gebruikelijk is in gezondheidseconomische berekeningen om decimalen aan de hand van een “.” voor te stellen, doen we dit ook in dit boek. Duizendtallen krijgen geen aparte aanduiding. Een half wordt dus 0.5

en duizend wordt 1000.

In hoofdstuk 4 worden dan richtlijnen voor het uitvoeren van kwaliteitsvolle gezondheidseconomische evaluaties beschreven. Dergelijke richtlijnen hebben meestal als doel om enerzijds onderzoekers aan te zetten om de best mogelijke onderzoeksopzetten te gebruiken en anderzijds de gebruikers van de studies (vaak beleidsmakers en zorgverstrekkers) toe te laten de kwaliteit ervan te beoordelen. Er bestaan algemene richtlijnen, die nogal "vrijblijvend" zijn, en ook meer specifieke richtlijnen die handelen over o.a. hoe men de kwaliteit van een beslisboom kan beoordelen, of de kwaliteit van een studie waarbij men retrospectief patiëntendata verzamelt. Bij het bespreken van die richtlijnen gaan we ook dieper in op mogelijke valkuilen.

In het vijfde en laatste hoofdstuk worden we weer wat met de voeten op de grond geplaatst (voor zover we aan het zweven waren) via een overzicht van de meest courante problemen die we vandaag nog zien bij het uitvoeren en interpreteren van gezondheidseconomische evaluaties. De discipline staat niet stil en er is al heel wat vooruitgang geboekt sinds haar intrede in het beleid in het begin van de jaren '90 van vorige eeuw (met Australië en Canada als voorlopers). Maar dit belet niet dat we nog met talrijke problemen geconfronteerd worden. Welke deze problemen zijn en hoe we er mee moeten omgaan wordt in dit laatste hoofdstuk uit de doeken gedaan.

We eindigen met een aantal adviezen, onder andere met betrekking tot de houding die men als zorgverstrekker best aanneemt naar deze discipline toe. We werpen ook een voorzichtige blik op de toekomst. Ik geloof zeer sterk in de kracht van de gezondheidseconomische evaluatie om de gezondheidszorg te wapenen tegen de uitdagingen van de toekomst, en ik hoop dat dit ook een beetje zal gelden voor u na het lezen van dit boek.

1 Het nut van de gezondheids-economische evaluatie

1.1 Het doel van de gezondheidszorg

Vele landen worstelen in de jongste decennia met het gegeven dat de uitgaven aan gezondheidszorg veel sneller groeien dan de totale welvaart van het land. Dat is natuurlijk onrustwekkend en men vraagt zich af waar dit zal eindigen. In het algemeen worden de veroudering van de bevolking, de opkomst van nieuwe, dure technologieën en de stijgende verwachtingen van de bevolking inzake betere gezondheidszorg als hoofdredenen aangegeven voor de grote stijging van de uitgaven. We gaan hier niet verder op in, maar willen wel opmerken dat van de drie bovengenoemde factoren de opkomst van nieuwe, dure technologieën als veruit de belangrijkste factor wordt aanzien door de meeste waarnemers.³

Maar die stijgende uitgaven zijn niet de enige bron van onrust. Andere problemen zijn de grote variaties in zorg, het soms verlenen van niet-adequate zorg, niet-optimale coordinatie tussen zorgverleners, wachttijden, en ongelijke toegang tot de zorg.

Door deze problematiek laten beleidsmakers zich nogal eens verleiden tot het beperken van het doel van de gezondheidszorg tot louter ... besparen.

Inderdaad, in de meeste landen zullen de beleidsmakers in hun plannen het vooral hebben over besparingen en over het onder controle houden van het budget. Het doel van een gezondheidszorgbeleid is echter niet besparen maar *gezondheid produceren*, zoals reeds in de inleiding gesteld. Men moet, met de middelen die men heeft, trachten zoveel mogelijk gezondheid te winnen, met andere woorden zorgen dat mensen zo lang mogelijk zo gezond mogelijk kunnen leven. Men mag overigens ook niet vergeten dat gezondheid vanuit economisch standpunt als een uiterst belangrijk tussenproduct kan

³ Bodenheimer, 2005 *Annals of Internal Medicine* Volume 142, Number 10.

beschouwd worden: zonder gezondheid kunnen we minder of niet productief zijn, kunnen we minder of niet aan vrijetijdsbesteding of aan andere vormen van consumptie doen. Zonder die productie en consumptie is er geen welvaart.

Met een boutade zou men kunnen stellen dat de beste manier van besparen erin bestaat om mensen die ziek zijn en substantiële kosten aan gezondheidszorg veroorzaken een dodelijke pil te geven, zodat we alle verdere kosten kunnen uitsparen. Hopelijk is iedereen het erover eens dat dat niet de bedoeling is van de gezondheidszorg en dat dit ethisch ondraaglijk zou zijn. Recente publicaties geven overigens aan dat gemiddeld genomen elke \$ die men investeert in gezondheidszorg meer dan zichzelf terugwint.⁴

Dat neemt uiteraard niet weg dat er in vele omstandigheden slechte investeringen en bestedingen gebeuren en in andere omstandigheden zeer goede. Het neemt ook niet weg dat we waar mogelijk moeten besparen, zolang dat dit een kwaliteitsvolle gezondheidszorg en dus productie van gezondheid niet in de weg staat.

1.2 De zoektocht naar doelmatigheid

Als we het erover eens zijn dat de gezondheidszorg als doel heeft gezondheid te produceren, dan zijn we nog maar bij de helft van het verhaal. Wie zegt "produceren" zegt ook *productief zijn*: de gezondheidszorg moet gezondheid produceren op de meest productieve manier, op de meest *doelmatige* manier.

Waarom screent men in de meeste landen niet voor borstkanker bij vrouwen vanaf 40 jaar? Waarom vaccineren we niet iedereen tegen pneumokokkeninfecties? Waarom is het af te raden om cholesterolverlagers te gebruiken bij mensen die enkel een licht verhoogd cholesterolgehalte hebben zonder andere risicofactoren?... Het antwoord op al die vragen is hetzelfde: omdat dat niet doelmatig is, omdat de kosten ervan te hoog zijn in verhouding tot wat het opbrengt aan gezondheid. *Als we veel gezondheid willen produceren met de beschikbare middelen, moeten we het geld toewijzen aan die interventies en programma's die het meest gezondheid opleveren per geïnvesteerde euro of dollar of pond, dus aan de meest productieve, de meest doelmatige.* Zoals eerder gezegd kan men geld immers slechts éénmaal uitgeven, en als we het verkeerd uitgeven missen we de opportuniteit om met dat geld betere dingen te doen.

⁴ Luce BR, Mauskopf J, Sloan FA, Ostermann J, Paramore LC. The return on investment in health care: from 1980 to 2000. *Value Health*. 2006 May-Jun;9(3):146-56.

De overheden en beleidsmakers zijn zich hier nog niet altijd volledig van bewust en besteden vaak meer aandacht aan enkel het besparen, zonder met die verhouding tussen input (geld) – output (gezondheid) rekening te houden, of anders gezegd zonder de nodige aandacht voor de prijs-kwaliteitsverhouding van de behandelingen, interventies en zorgprogramma's. Nog steeds worden jaarlijks budgetten naar voorgeschoven en worden in functie van die vooropgestelde budgetten besparingen voorgesteld, zonder meer.

Nochtans stelt de OESO (Organisatie voor Economische Samenwerking en Ontwikkeling) duidelijk dat enkel het vastleggen van een groeinorm weinig of geen verband houdt met productiviteit of optimaliteit van de zorg. Dergelijke beleidsinstrumenten moeten meer plaats maken voor het meten van de kosten en baten en het toepassen van de juiste stimuli om iedereen ertoe aan te zetten productieve zorg te verstrekken.⁵

We moeten dus streven naar *doelmatigheid*. Doelmatigheid wordt door gezondheidseconomen weleens beschouwd als de "derde trap van evidentie".

De eerste trap van evidentie is *werkzaamheid*: wanneer men kan aantonen dat een geneesmiddel beter werkt dan een placebo, dan zegt men dat het geneesmiddel werkzaam is. Bv. als een antihypertensivum zorgt dat de systole of diastole bloeddruk beter daalt dan met een placebo, dan zegt men dat het werkzaam is.

De tweede trap is *doeltreffendheid of effectiviteit*. Wanneer men in reële omstandigheden (rekening houdend met het gegeven dat de patiënt verschillende pathologieën kan hebben, niet altijd therapietrouw is enz...) kan aantonen dat een product een gezondheidswinst oplevert dan zeggen we dat het doeltreffend is.⁶ Dit betekent dat indien sommige patiënten niet op de juiste manier worden behandeld, of niet zo trouw zijn aan de therapie, neveneffecten en/of interacties vertonen die aanleiding geven tot stopzetting van de behandeling, ... de resultaten nogal eens afwijkend kunnen zijn van de oorspronkelijke klinische studies. Maar het betekent ook dat men naar relevante uitkomsten moet kijken. In het voorbeeld van het antihypertensivum moet men ook kunnen aantonen dat met dit product op lange termijn de

⁵ Jacobzone S. Introduction to the Ageing-Related Diseases Project. In A Disease-based Comparison of Health Systems What is best at what cost? OECD, 2003.

⁶ Davidson MH. Differences between clinical trial efficacy and real-world effectiveness. Am J Manag Care. 2006 Nov;12(15 Suppl):S405-11.

kans op hartaandoeningen vermindert. Eén en ander duidt erop dat deze stap tussen werkzaamheid en effectiviteit soms groot kan zijn. Men kan relatief makkelijk aantonen dat bepaalde behandelingen werkzaam zijn ter preventie van osteoporose, door te onderzoeken of ze de botdensiteit handhaven. Maar hoewel de botdensiteit van belang is voor de voorspelling van de kans op breuken, volstaat enkel deze informatie niet om een accuraat beeld te geven van de toekomstige kans op breuken met een geneesmiddel dat de botdensiteit verbetert.⁷ Nagaan of deze therapie ook werkelijk effectief is vergt een langdurige studie, met eindpunten die voor de patiënt en de maatschappij relevant zijn, met name het vermijden van breuken, de toename van kwaliteit van leven, de toename van de levensverwachting, enz...

Kortom, de brug van werkzaamheid naar effectiviteit heeft betrekking op twee facetten: de omstandigheden waarin gemeten wordt (van een "artificiële" klinische studie-omgeving naar "real life" omstandigheden) en wat er gemeten wordt (van intermediaire variabelen naar klinisch en maatschappelijk relevante eindpunten).

Stel dat er goede aanwijzingen zijn inzake de doeltreffendheid van een interventie, dan zal men pas spreken van *doelmatigheid* – de derde trap – wanneer men kan aantonen dat het geld, dat men aan deze interventie besteedt, goed besteed geld is. Of anders gezegd, wanneer men vaststelt dat men met hetzelfde geld méér gezondheidswinst had kunnen realiseren door het aan iets anders te besteden, dan is de onderzochte technologie minder of niet doelmatig.⁸ Een vaak gebruikt synoniem voor doelmatigheid is de term "efficiëntie". Velen maken de fout een bepaalde behandeling "efficiënt" te noemen, terwijl ze eigenlijk bedoelen dat de behandeling "effectief" is. Doeltreffendheid gaat dus over het bereiken van het doel, en doelmatigheid over de manier waarop en de middelen waarmee men dit doel bereikt.

Zoals reeds aangegeven in de inleiding is het moeilijk te bepalen wat nu goed besteed geld is en wat niet. Laat ons nu al stellen dat van een behandeling die ontzettend duur is, en omzeggens geen gezondheids-

⁷ Hailey D, Sampietro-Colom L, Marshall D, Rico R, Granados A, Asua J. The effectiveness of bone density measurement and associated treatments for prevention of fractures. An international collaborative review. *Int J Technol Assess Health Care*. 1998 Spring;14(2):237-54.

⁸ Drummond MF, Sculpher MJ, O'Brien BJ, Stoddart GL, Torrance GW. *Methods for the economic evaluation of health care programmes*. 3rd ed. Oxford: Oxford University Press, 2005.

winst biedt, bezwaarlijk kan gezegd worden dat ze waar voor haar geld biedt. Anderzijds zal een behandeling die heel veel gezondheidswinst oplevert voor een aanvaardbare prijs wel waar voor zijn geld bieden. Opgelet, “waar voor zijn geld” bieden wil niet zeggen dat de nieuwe behandeling kostenbesparend is. De ideale behandeling is weliswaar diegene die besparingen kan realiseren en bovendien ook gezondheidswinst. Zulke behandelingen komen we jammer genoeg niet vaak tegen. Maar zoals gezegd, ook behandelingen die meer kosten dan de huidige aanpak en niet tot besparingen leiden maar wel een naar verhouding aanvaardbare gezondheidswinst opleveren, bieden waar voor hun geld.

Het ganse verhaal over waar voor zijn geld bieden en doelmatigheid geldt overigens niet alleen voor een “product” op zich, maar ook en vooral voor de context waarin het wordt *toegepast*. Kosten-effectiviteit is geen verpakkingslabel: het gaat over het optimaal gebruik en inzetten van middelen in een specifieke indicatie/situatie. Hieronder staan bij wijze van voorbeeld een aantal typische vragen die beleidsmakers in de gezondheidszorg zich kunnen stellen:

- Zijn protonpompinhibitoren kosten-effectief bij patiënten met matige refluxsymptomen?
- Bij welke vrouwen (van welke leeftijd tot welke leeftijd) en met welke frequentie “is het gezondheidseconomisch aangewezen” (lees: biedt het waar voor zijn geld) om te screenen voor borstkanker?
- Bieden antidepressiva, alleen of in combinatie met psychotherapie, waar voor hun geld?
- Bieden cholesterolverlagers “waar voor hun geld” bij patiënten die enkel een matig verhoogd cholesterolgehalte vertonen, maar geen andere risicofactoren?
- ...

Uit deze enkele voorbeeldvragen blijkt dat de gezondheidseconomische evaluatie en de zoektocht naar doelmatigheid niet enkel gaat over de evaluatie van geneesmiddelen en technologieën maar ook over hoe we met die geneesmiddelen en technologieën omspringen. Die doelmatigheid moet niet enkel nagestreefd worden maar ook aangemoedigd worden.

1.3 Het aanmoedigen van doelmatigheid

Een optimaal beleid gaat ervan uit dat de gezondheidssector een productieve sector is, waarbij het product “gezondheid” geproduceerd wordt (zoals eerder al beschreven). Het komt er dan wel op aan om die productie zo optimaal mogelijk te laten verlopen.

Een mogelijke aanpak is om gezondheidsdoelstellingen te formuleren, die realistisch zijn (haalbaar en praktisch uitvoerbaar) en bovendien meetbaar zijn. Vandaag bestaan er in diverse landen gezondheidsdoelstellingen, maar vaak zijn ze bepaald op basis van vage (of geen) criteria, en is er geen duidelijke link met een beschikbaar budget.

Meer concreet kan men stellen dat gezondheidsdoelstellingen slechts nut hebben indien:

- Ze via concrete beleidsmaatregelen kunnen gerealiseerd worden
- Er een overeenkomend budget is
- Ze op een kosten-effectieve (lees: doelmatige) manier kunnen gerealiseerd worden, m.a.w. indien het resultaat de moeite waard is gegeven de nodige budgetten om het te halen.

Voor meer literatuur omtrent gezondheidsobjectieven verwijzen we naar Van Herten (2001).⁹

De principes van kosten-effectiviteit kunnen ook een rol spelen bij de betaling van artsen. In die optiek moet een gezondheidsbeleid zich niet alleen richten op het toepassen van kosten-effectiviteitsprincipes maar ook op het aanmoedigen van optimaal medisch handelen. Beide opdrachten kunnen gecombineerd worden door artsen die kosten-effectief handelen en die zich inzetten om doelstellingen op een kosten-effectieve manier te realiseren meer te betalen dan hun collega's. Het moet daarbij opnieuw benadrukt worden dat kosten-effectiviteit niet alleen te maken heeft met de medische technologieën (zoals geneesmiddelen) op zich maar ook en vooral met de manier waarop men met die technologieën omspringt. Cholesterolverlagers zijn, aan hun huidige prijs, kosten-effectieve middelen indien men ze correct toepast bij hoogrisicopatiënten, en niet wanneer men ze bv. toepast bij patiënten die enkel een verhoogd cholesterolgehalte hebben maar daarbuiten geen risicofactoren vertonen.¹⁰

⁹ Van Herten L. *Health Targets. Navigating in Health Policy*. TNO Prevention and Health. Leiden, The Netherlands, 2001.

¹⁰ Johannesson M. At what coronary risk level is it cost-effective to initiate cholesterol lowering drug treatment in primary prevention? *European Heart Journal* (2001) 22, 919–925.