

---

# Kustannusvaikuttavuus, arvoperusteinen terveydenhuolto ja arvon arviointi

---

## Juha Laine

FT, työelämäprofessori  
Turun yliopisto,  
jurlai@utu.fi

---

Laine, J: Kustannusvaikuttavuus, arvoperusteinen  
terveydenhuolto ja arvon arviointi. Dosis 37: 430–443, 2021

## Tiivistelmä

Terveydenhuollossa ja lääketoimialalla arvo (value) on muodostunut keskeiseksi käsitteeksi uusien teknologioiden hinnoittelun, arvioinnin ja käyttöönoton yhteydessä. Kustannusvaikutavuudesta ja ylipäätään arvon arvioinnista puhutaan mitä moninaisimmissa yhteyksissä. Termien merkitys ymmärretään hyvin monella tavoin ja niitä sovelletaan eri tavalla eri konteksteissa. Perinteinen taloudellinen arviointi, erityisesti kustannusutiliteettianalyysi, ja arvoperusteinen terveydenhuolto vievät vaikuttavuuden ja kustannusten arviointia jopa eri suuntiin. Näiden lisäksi on olemassa myös joukko muita päätöksentekoa tukevia arviointikehyksiä, joissa vaikuttavuutta ja kustannuksia arvioidaan eri tavoin. Olennaista on, että arviointiin ja arviointikehyksiin liittyvät määritelmälliset, menetelmälliset ja teoreettiset eroavaisuudet tiedostetaan ja ne tuodaan myös päätöksenteossa selkeästi esiin. Kustannusvaikuttavuus on loppujen lopuksi monimutkainen asia. Sen tavoittelemisen terveydenhuollon arjessa ei ole kovinkaan yksiselitteistä.

**Avainsanat:** kustannusvaikuttavuus, vaikuttavuus, arvoperusteinen terveydenhuolto, vaikuttavuusperusteinen terveydenhuolto, arvo

## Johdanto

Suomi kuuluu niihin maihin, joissa terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa (HTA, health technology assessment) sekä käyttöön-ottopäätöksissä ja -suosituksissa voidaan hyödyntää taloudellista arviointia. Terveystuotajärjestelmää pyritään ohjaamaan haluttuun suuntaan tuottamalla tietoa hoitomenetelmien ja toimintamallien kustannuksista ja hyödyistä (vaikuttavuudesta). Lääkehoitojen kohdalla tavoitellaan rationaalista lääkehoitoa. Kokeukseni mukaan Suomessa kustannusvaikuttavuus voi muodostua päätöksentekokriteeriksi, johon esimerkiksi päätös lääkkeen kohutuullisesta tukkuehinnasta ja korvattavuudesta voi viime kädessä lähes yksinomaan perustua. Tämä toki edellyttää, että kustannusvaikuttavuusarviointi on tehty uskottavasti.

Myös Fimean julkaisemissa sairaalalääkkeiden arvioinneissa kustannusvaikuttavuus-tarkastelu vaikuttaa selvästi yleistyneen (Fimea 2021). Lisäksi Palveluvalikoimaneuvosto ottaa suosituksissaan kantaa kustannuksiin ja vaikuttavuuteen (Palko 2021). Kustannusvaikuttavuuteen liittyvällä harkinnalla on jo nyt Suomessa merkitystä ja se on keskeinen osalualue terveydenhuollon menetelmien arvioinnissa ja osin myös päätöksenteossa. Vaikuttaa siltä, että kustannusvaikuttavuudesta voisi muodostua Suomessa vielä aiempaa merkityksellisempi päätöksenteko- ja priorisointikriteeri (Terveystuotajien palveluvalikoiman priorisointi - tutkimushanke 2021). Toisaalta taas terveydenhuollon arjessa arviointia voidaan tehdä ja toimintaa ohjata tavalla, jossa ei tehdä muodollista ja perinteistä taloudellista arviointia.

Kirjoitin vuonna 2014 lääketieteelliseen aikakauskirja Duodecimiin artikkelin, jossa käsittelemäni kustannusvaikuttavuuden käyttämistä priorisoinnissa (Laine 2014). Tarkastelin artikkelissa sellaisia järjestelmätason ja analyysin tekemiseen liittyviä kysymyksiä, jotka hankaloittavat kustannusvaikuttavuuden arviointia ja oppikirjamaista hyödyntämistä. Laajennan tässä tieteellisessä kommentissani näkökulmaa arvon arviointiin. Käsittelemäni pääasiassa taloudellista arviointia ja arvoperusteista terveydenhuoltoa suomalaisesta näkökulmasta. Laajennan tarkastelua lyhyesti myös eräisiin muihin resurssien jakami-

seen liittyvää päätöksentekoa palveleviin arviointiviitekehyksiin. Tarkastelen ensisijaisesti sitä, mistä näkökulmasta kustannuksia ja vaikuttavuutta eri arviointiviitekehyksissä tarkastellaan. Käsittelemäni lopuksi eräitä perinteiseen kustannusvaikuttavuusarviointiin liittyviä kysymyksiä, jotka voivat olla merkityksellisiä esimerkiksi priorisointiin ja vaihtoehtoiskustannuksiin liittyen.

## Taloudellinen arviointi ja arvoperusteinen terveydenhuolto

Terveystuotajien ja lääketieteellisten käsitteiden arvo (value, value for money) käytetään usein muun muassa uusien teknologioiden hinnoittelun, arvioinnin, hankinnan ja käytön yhteydessä. Esimerkiksi uusien hoitomenetelmien hoidollisen ja taloudellisen arvon arviointi on sisällöllisesti lähellä terveystaloustieteessä sovellettavaa taloudellista arviointia (Lääkkeiden hintalautakunta 2019). Arvosta puhutaan myös silloin, kun terveydenhuollon palvelutuottajat kehittävät ja vertailevat toimintaansa tai kun he pyrkivät tuottamaan palveluita potilaslähtöisesti ja tuottamaan niin sanottua potilasarvoa (Suomessa esim. Teperi ym. 2009, Kainu ym. 2016, Pitkänen ym. 2018). Arvoperusteisen terveydenhuollon (value-based healthcare, VBHC) viitekehys esiteltiin jo 15 vuotta sitten (Porter ja Teisberg 2006). Teperi (2021) on tehnyt tiiviin yhteenvedon siitä, miksi arvoperusteisen terveydenhuollon periaatteiden edistäminen on ollut Suomessa verrattain hidasta. Monissa sairaanhoitopiireissä ja sairaaloissa toimintaa kuitenkin kehitetään lisääntyvässä määrin arvoperusteisen terveydenhuollon viitoittamaan suuntaan.

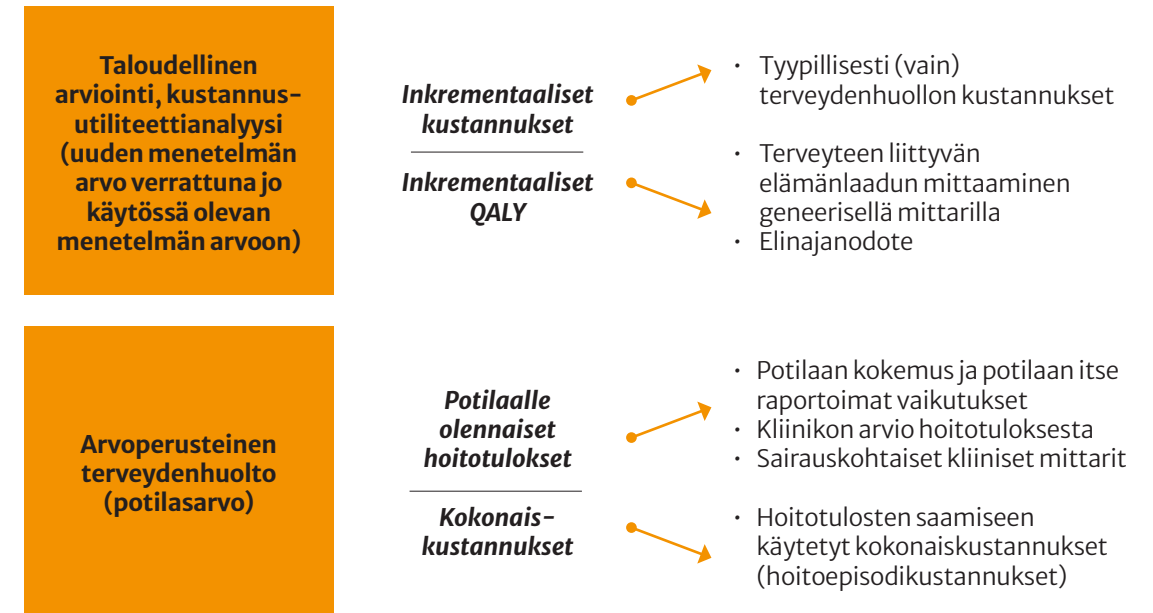
Hyvin usein arvoperusteisen terveydenhuollon sijaan käytetään termiä vaikuttavuusperusteinen terveydenhuolto, jolla tarkoitetaan samaa asiaa. Vaikuttavuusperusteisesta terveydenhuollosta (value-based healthcare) on jopa saatavilla kaikille avoin verkkokurssi (Rethinking health, Vaikuttavuusperusteisen terveydenhuollon perusteet 2021). Terveystuotajien huollossa puhutaan hyvin usein myös laadusta, mikä monimutkaistaa hieman terminologiaa (esim. Terveystuotajien ja hyvinvoinnin laitos 2020,

Kosonen 2021). Suomessa on käytössä useita terveydenhuollon laaturekisterejä. Niistä ei käytetä termiä vaikuttavuusrekisteri, vaikka juuri ne mahdollistavat vaikuttavuuden seurannan. Donabedianin (1966) klassisen määritelmän mukaan laadun voidaan käsittää sisältävän myös vaikuttavuuden. Edelleen voidaan puhua toimivuudesta tai suorituskyvystä tarkoittaen vaikuttavuuden ja kustannuksien mitaamista (esim. Peltola ym. 2009). Esimerkiksi vuoden 2022 Terveystaloustieteen päivien teemana on ”Terveystuotajien suorituskyvyn arviointi – Onko tietoa toimenpiteiden kustannusvaikuttavuudesta mahdollista käyttää terveydenhuollon toiminnan arvioinnissa ja suunnittelussa?”. Puhutaan sitten kustannusvaikuttavuudesta, arvosta tai suorituskyvystä, on tavoitteena jollakin tavalla arvioida kustannuksia ja hyötyjä.

Tarkastelen seuraavaksi, mistä lähtökohdistista terveyshyötyjä (vaikuttavuutta) ja kustannuksia mitataan erityyppisissä arviointikehyksissä. Pääpaino on terveystaloustieteellisen taloudellisen arvioinnin ja arvoperusteisen terveydenhuollon tarkastelussa. Kustannus- ja vaikuttavuuskomponenttien tarkastelu on tär-

keää, koska lähtökohtaisesti erityyppistä päätöksentekoa ja voimavarojen jakamista palvelevassa arvioinnissa on kaksi ulottuvuutta: kustannukset (resurssit) ja vaikuttavuus (hyödyt). Terveystuotajien lisäksi vaikuttavuus voi liittyä esimerkiksi sosiaalisiin, eettisiin tai organisaattoriin kysymyksiin ja vaikutuksiin, mutta ne on rajattu tämän tarkastelun ulkopuolelle.

**Kuvassa 1** on esitetty tiivistetysti arvoperusteisen terveydenhuollon ja terveystaloustieteessä sovellettavan taloudellisen arvioinnin välisiä eroja kustannusten ja vaikuttavuuden osalta. Tarkoitin tässä yhteydessä taloudellisella arvioinnilla erityisesti kustannusutiliteettianalyysia, jossa vaikuttavuus esitetään laatu-painotettujen elinvuosien avulla (quality-adjusted life-years, QALY). Tämä mahdollistaa eri sairauksien hoitojen kustannusvaikuttavuuden ja tuotettujen terveyshyötyjen keskinäisen vertailun yhteismitallisesti. Kustannusutiliteettianalyysi sopii menetelmänä niin yksittäisten hoitomenetelmien kuin erilaisten politiikka-toimenpiteiden arviointiin. Muita taloudellisen arvioinnin menetelmiä ovat kustannushyöty-analyysi, kustannusvaikuttavuusanalyysi ja kustannusten minimointianalyysi.



**Kuva 1.** Arvon laskenta taloudellisessa arvioinnissa ja arvoperusteisessa terveydenhuollossa (QALY, quality-adjusted life-years, laatu-painotetut elinvuodet).

Taloudellisessa arvioinnissa ja arvoperusteisessa terveydenhuollossa arvoa mitataan eri lähtökohdista. Perinteinen taloudellinen arviointi ja arvoperusteinen terveydenhuolto vievät arvon arviointia jopa eri suuntiin. Molemmissa on se perusajatus, että menetelmän tai toiminnan tuottamasta arvosta palkitaan ja sekä terveysvaikutukset että kustannukset tulee ottaa huomioon. Taloudellisessa arvioinnissa terveyshyötyä mitataan mielellään yhteismitallisesti QALY:jen avulla soveltamalla kustannusutiliteettianalyysia (Lääkkeiden hintalautakunta 2019).

Arvoperusteisessa terveydenhuollossa lähestymistapa on sairaus- ja potilasryhmäkohtainen. Siksi terveyshyötyä mitataan sairaus- tai potilasryhmäkohtaisesti usean erilaisen mittarin avulla. Tavoitteena ei ole terveyshyödyn mittaaminen yhteismitallisesti eri sairaus- ja potilasryhmien välillä. Eri mittarien avulla pyritään huomioimaan juuri kyseistä sairautta sairastaville potilaille merkityksellisiä asioita. Usein korostetaan potilaan itse raportoimia ja omaan kokemukseen perustuvia mittareita. Niiden rinnalla voidaan käyttää myös kliinisiä ja terveydenhuollon ammattilaisten raportoimia vaikuttavuusmittareita. Arvoperusteisessa terveydenhuollossa pyritään vaikuttavuuden mittaamisen kansainväliseen standardointiin ICHOM (International Consortium for Health Outcomes Measurement) -vaikuttavuusmittarien avulla.

Taloudellinen arviointi ja arvoperusteinen terveydenhuolto eroavat toisistaan myös kustannusten laskennan näkökulmasta. Taloudellisessa arvioinnissa kustannuksia tulisi mitata yhteiskunnallisesta näkökulmasta. Käytännössä usein sovelletaan suppeampaa terveydenhuollon näkökulmaa. Arvoperusteisessa terveydenhuollossa kustannuksissa huomioidaan kaikki kyseisen terveysongelman hoitoon liittyvät hoidot, palvelut ja toimenpiteet.

**Kuvasta 1** voidaan päätellä, että tarkasteltavien asioiden määrittelyyn ja mittaamiseen liittyy väistämättä monia valintoja, esimerkiksi näkökulman ja mittarien valinta. Vaihtelu voi hankaloittaa päätöksentekoa eri tilanteissa. Tästä syystä on ymmärrettävää, että näkökulmaa ja mittareita pyritään standardoimaan. **Kuvan 1** perusteella voidaan pohtia, ovatko taloudellinen arviointi ja arvoperuste-

nen terveydenhuolto toisiaan täydentäviä vai korvaavia. Onko niin, että uusien menetelmien käyttöönotto- ja saatavuuspäätöksissä tarvitaan formaalia kustannusvaikuttavuustarkastelua, kun taas arvoperusteisen terveydenhuollon menetelmät ja ajattelutapa ovat hyödyllisimmillään silloin, kun eri menetelmät ovat jo tuottajien käytettävissä ja kun palvelutuottajat pyrkivät parantamaan omaa toimintaansa? Arviointiviitekehysten konteksti on erilainen, joten onko kustannusten ja vaikuttavuuden näkökulmalla merkitystä? Näkemykseni mukaan on. Voisimme Suomessa vielä enemmän keskustella siitä, miten taloudellisen arvioinnin ja arvoperusteisen terveydenhuollon pitäisi nivoutua yhteen (esim. Walraven ym. 2021), miten ne täydentävät toisiaan, miten vaikuttavuuden mittaaminen on vertailukelpoista (esim. Lappalainen ym. 2021) ja miten taloudellista arviointia ja arvoperusteista terveydenhuoltoa sovelletaan päätöksenteon ja arvioinnin eri asteilla. Tämä keskustelu on Suomessa tärkeää, koska vaikuttavuuden mittaamisen ja arvoperusteisen terveydenhuollon soveltamisen yhteydessä puhutaan myös voimavarojen jakamisesta vaikuttavuuden tai arvon perusteella (esim. Järvinen ja Roine 2015, Roine 2016). Eli puhutaan juuri samoista asioista kuin taloudellisen arvioinninkin alalla. Tällöin joudumme pohtimaan, (i) missä määrin puhumme voimavarojen jakamisesta eri sairaus- ja potilasryhmien tai jopa eri palvelutuottajien välillä, (ii) missä määrin puhumme resurssien jakamisesta yhden sairaus- ja potilasryhmän sisällä ja (iii) millaista päätöksentekoa tukevaa arviointia ja tietoa näissä päätöksentekotilanteissa tarvitaan.

### Muut arvon arvioinnin viitekehykset

Kustannukset ja vaikuttavuuden huomioivia arvon arvioinnin viitekehyksiä on itse asiassa muitakin kuin taloudellinen arviointi ja arvoperusteinen terveydenhuolto. Niitä voidaan käyttää eri konteksteissa ja tasoilla. Niiden tavoitteeksi mainitaan usein se, että viitekehysten avulla tuotetaan tietoa hoitomenetelmien käyttöönottoon liittyvän päätöksenteon tueksi. Esimerkiksi kustannusvaikuttavuusarvioinnin sijaan voidaan soveltaa monikri-

teristä päätöksentekoa (MCDA, multi criteria decision analysis, Marsh ym. 2014, Caro ym. 2018, Marsh ym. 2018). Kyseessä on lähestymistapa, jossa pyritään ottamaan eksplisiitisti huomioon erilaisia ja jopa ristiriitaisia erilaisin painokertoimin varustettuja kriteerejä. Voidaan toki ajatella, että kaikenlainen päätöksenteko on aina monikriteeristä. Tässä tapauksessa kyseessä on kuitenkin usein arkipäätöksentekoa formaalimpi päätöksentekotapa. Tarkastelu tehdään lähtökohtaisesti sairaus- ja potilasryhmäkohtaisesti, joten MCDA tuottaa tietoa vain tarkasteltavana olevan sairausryhmän sisäiseen päätöksentekoon.

Saksassa Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG) soveltaa päätöksentekoa varten tekemissään arvioinneissa tehokkuusrintamamenetelmää (Efficiency frontier). Siinä vaikuttavuutta mitataan myös sairaus- ja potilasryhmäkohtaisesti yhdellä tai useammalla mittarilla yhtäaikaaisesti nettokustannusten kanssa (Caro ym. 2010, Institute for Quality and Efficiency in Health Care 2020). IQWiG:n soveltamassa viitekehysessä vaikuttavuuden arviointi on käytännössä näyttöön perustuvan lääketieteen (EBM, evidence based medicine) soveltamista. Satunnaistetuilla tutkimuksilla ja kliinisellä näytöllä on tällöin paljon painoarvoa.

Näytöstä päätöksentekoon (EtD, Evidence-to-decision) -arviointiviitekehykset ovat systemaattisia, läpinäkyviä ja monia ulottuvuuksia sisältäviä ja päätöksentekoa tukevia arviointikehyksiä. Norrisin ym. (2021) mukaan laajimmalle levinneitä ovat esimerkiksi GRADE (GRADE working group 2004) ja WHO-INTEGRATE (Rehfuess ym. 2019, Stratil ym. 2020), joita voidaan soveltaa kliinisessä päätöksenteossa tai ylemmällä tasolla esimerkiksi kansanterveysellisessä päätöksenteossa. GRADE-viitekehystä voidaan soveltaa esimerkiksi silloin kun arvioidaan, pitäisikö potilaita hoitaa varfariinin sijaan suoralta oraalilla antikoagulantilla (Alonso-Coello ym. 2016). Tällainen päätöksenteko-ongelma on esimerkki tilanteesta, jonka ratkaisuun voidaan soveltaa taloudellisen arvioinnin menetelmiä. Näytöstä päätöksentekoon viitekehysissä kustannusvaikuttavuutta voidaan tarkastella erilaisilla taloudellisen arvioinnin menetelmillä. Kustannusvaikuttavuus voi tällöin olla yksi päätöksenteossa huomioitava asia.

Erytistapauksena voidaan mainita vielä tautiryhmäkohtaiset arviointiviitekehykset. Esimerkiksi Yhdysvalloissa ASCO (American Society of Clinical Oncology), the Memorial Sloan Kettering Cancer Center ja NCCN (National Comprehensive Cancer Network) ovat kukin kehittäneet oman syöpähoitojen arviointia ja käyttöönottoa tukevan arviointikehyksensä. Niissä otetaan huomioon teho, haitat ja mahdollisesti (lääke)kustannukset. Westrichin ym. (2017) työryhmä on vertaillut näiden arviointikehyksien sisältöä ja yhdenmukaisuutta. Tutkimuksessa esimerkkisairautena oli multipelimityelöoma. Westrichin ym. (2017) mukaan arviointikehyksien sisältö vaihtelee ja arviointikehykset tuottivat jossakin määrin vaihtelevia tuloksia arvosta. Näissä arviointikehyksissä näkökulma on tyypillisesti suppeampi kuin laajoissa terveydenhuollon menetelmien arvioinneissa tai yhteiskunnallisesta näkökulmasta tehdystä taloudellisessa arvioinnissa.

### Kustannukset ja vaikuttavuus arviointikehyksissä

**Taulukossa 1** olen luokitellut edellä esitetyt arviointikehykset sen mukaan, miten niissä huomioidaan vaikuttavuus ja kustannukset. Taulukossa on mukana myös vertailun vuoksi DRG-kustannuslaskenta (Diagnose Related Groups) ja yksikkökustannuslaskenta, joita voidaan käyttää, jos arvioinnissa ja päätöksenteossa tarkastellaan vain kustannuksia (vrt. kustannusten minimointianalyysi). Vastavasti **Taulukossa 1** ovat mukana EBM ja ICHOM. Näytöstä päätöksentekoon (EtD, Evidence-to-decision) -arviointiviitekehykset eivät ole mukana. Niiden osalta voidaan soveltaa erilaisia taloudellisen arvioinnin menetelmiä (Rehfuess ym. 2019).

Ymmärrys vaikuttavuudesta ja kustannuksista auttaa voimavarojen jakamista koskevassa päätöksenteossa. Toisaalta kyse ei ole yksinomaan siitä, tarkastellaanko kustannuksia ja vaikuttavuutta, vaan myös siitä, missä laajuudessa niitä tarkastellaan. Vaikuttavuuden ja kustannuksien huomioimisessa on hyvä pitää mielessä seuraavat ilmeiset periaatteet:

➤ Kustannusten tarkasteleminen laaja-alaisesti yhteiskunnallisesta näkökulmasta voi



**Taulukko 1. Kustannukset ja vaikuttavuus tavanomaisimmissa arvon arvioinnin viitekehyksissä.**

<b>Kustannukset</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Diagnose related groups (DRG) –kustannuslaskenta</li><li>• Yksikkökustannuslaskenta</li></ul>	<b>Kustannukset ja vaikuttavuus yhteismitallisesti</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Taloudellinen arviointi (kustannusutiliteetti-analyysi, kustannushyötyanalyysi)</li></ul>
<b>Vaikuttavuus potilasryhmä- ja sairauskohtaisesti</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Näyttöön perustuva lääketiede (Evidence Based Medicine, EBM)</li><li>• International Consortium for Health Outcomes Measurement (ICHOM) –vaikuttavuusmittarit</li></ul>	<b>Vaikuttavuus ja kustannukset potilasryhmä- ja sairauskohtaisesti</b> <ul style="list-style-type: none"><li>• Arvoperusteinen terveydenhuolto (Value-Based Healthcare, VBHC)</li><li>• Monikriteerinen päätöksenteko (Multi Criteria Decision Analysis, MCDA)</li><li>• Sairauskohtaiset arviointiviitekehykset</li><li>• Tehokkuusrintama</li><li>• Taloudellinen arviointi (kustannusvaikuttavuusanalyysi)</li></ul>

johtaa erilaiseen lopputulokseen kuin kustannusten tarkastelu vain yhdestä, esimerkiksi sairaalan, näkökulmasta (esim. Laine ym. 2020).

› Vaikuttavuuden tarkasteleminen kustannusten rinnalla joko erillisenä komponenttina tai vaikuttavuuden ja kustannusten yhteisjakautumisen kautta voi johtaa erilaiseen lopputulokseen kuin pelkkiin kustannuksiin tai pelkkään vaikuttavuuteen perustuva päätöksenteko.

› Tehokkuustavoitteen näkökulmasta pelkkä vaikuttavuuden ja terveyshyödyn tarkastelu ei lähtökohtaisesti riitä, koska menetelmien käyttö ja toimenpiteiden suorittaminen vaativat aina resursseja (budjetti- ja resurssirajoitteet).

› Mediaani- tai keskiarvotarkastelu ei välttämättä, riitä vaan huomiota pitää kiinnittää myös jakaumiin.

› Lisäksi voidaan päätyä erilaisiin lopputuloksiin sen mukaan, tarkastellaanko populaatiota vai yksilöä.

Edellä esitetyn karkean luokittelun perusteella voidaan helposti havaita, että erilaisissa arviointikehyksissä sekä vaikuttavuutta että kustannuksia lähestytään eri tavalla. Tässä mielessä ei ole yllättävää, että terveystaloustieteellisessä kirjallisuudessa esimerkiksi kustannusvaikuttavuusanalyysi, monikriteerinen

päätöksenteko ja tehokkuusrintama nähdään jopa perustavanlaatuisesti erilaisina arviointiviitekehyksinä (esim. Caro ym. 2018). Terveystalouden arjessa voidaan myös käytännön syistä päätyä siihen, että arvioinnin näkökulma ja mittaaminen painottuvat aluksi joko kustannuksiin tai vaikuttavuuteen. Tällöin on syytä olla varovainen sen suhteen, millaisia voimavarojen jakamista koskevia päätelmiä voidaan tehdä.

### **Kustannusvaikuttavuus-analyysin ja laatu-painotettujen elinvuosien haasteet**

Edellä esitetyistä viitekehyksistä taloudellinen arviointi on monessa maassa keskeinen osa terveydenhuollon menetelmien arviointia, hoitomenetelmien käyttöönottopäätöksiä ja toiminnan kehittämistä. Näin on myös Suomessa. Kun arvon arvioimisessa on päädytty taloudelliseen arviointiin, joudutaan kohtamaan monia hankalia päätöksentekoon ja laskentaan liittyviä haasteita (esim. Laine 2014).

Davis (2014) on tehnyt kiinnostavan julkaisun siitä, että missä tilanteissa lähtökohtaisesti vaikuttava lääkevalmiste ei ole kustannusvaikuttava edes nolalahinnalla. Tällaisia tilanteita voi tulla vastaan muun muassa silloin, kun uusi hoito lisätään olemassa olevan vanhan mutta ei kustannusvaikuttavan hoidon päälle, tai sil-

loin, jos kustannuksia ja hyvinvointivaikutuksia arvioidaan kapeasti. Myös hoidon jatkuminen pitkään hoitovasteen säilyessä voi muodostua kustannusvaikuttavuuslaskennassa ongelmaksi. Tällaiset erityistilanteet ovat hyvin ongelmallisia uusien hoitomenetelmien kannalta. Jos arviointia ja päätöksentekoa tehdään vain vaikuttavuutta tarkastelemalla, voidaan päätyä Davisin (2014) mainitsemaan tilanteeseen. Tyypillisessä tilanteessa voisi käydä seuraavasti. Uutta lääkkeitä arvioidaan kliinisestä näkökulmasta. Arvioinnin perusteella hoidollinen arvo, mutta tähän liittyy merkittävää epävarmuutta. Myös lääkkeen yksikkökustannusta (lista- tai tukkuhintaa) voidaan pitää korkeana epävarmuuteen nähden. Kliininen epävarmuus ja korkeat yksikkökustannukset johtavat siihen, että lääkkeen käyttöönottoa ei suositella. Tällöin ei myöskään päästä sovelta- maan niin sanottua riskinjakosopimusta. Sopimus voitaisiin tällaisessa tapauksessa muotoilla esimerkiksi siten, että lääkkehoidosta ei makseta mitään, jos hoitovastetta ei saada. Tämän yksittäisen esimerkin avulla on tarkoitus havainnollistaa sitä, että kustannuksiin voidaan vaikuttaa myös niissä tilanteissa, joissa juuri vaikuttavuuteen liittyy suurta epävarmuutta (esim. Lukkarinen ym. 2021). Parametreihin liittyvää epävarmuutta ei ehkä pystytä poistamaan, mutta päätösepävarmuutta voidaan vähentää.

Terveystalouden liittyvän elämänlaadun ja terveyshyötyjen mittaaminen on haastavaa. Yksi keskeinen ongelma on se, kuinka hyvin eri mittarit mittaavat niin laaja-alaista ilmiötä kuin terveyshyöty tai koettu elämänlaatu ja kuinka yhdenmukaisia eri mittarien antamat tulokset ovat. Viime aikoina on keskusteltu myös siitä, keiden arvotuksia pitäisi käyttää esimerkiksi lasten kohdalla, millä tavalla laatu-painotettuja elinvuosia pitäisi lasten kohdalla laskea (Devlin ym. 2021) ja millä tavalla kroonisten sairauksien, vammaisuuden tai vakavien toimintakykyrajoitteiden kohdalla perinteistä QALY-laskentaa ylipäätään voidaan soveltaa (NDC 2019). On esimerkiksi mahdollista, että lasten ja aikuisten laatu-painotettujen elinvuodet eivät ole verrannollisia. Tällöin konventionaalinen tapa tehdä QALY-laskentaa voi johtaa hyötyjen aliarvioon. On myös mahdollista, että perinteiset arvotusmenetelmät ja QALY-laskenta tuotta-

vat epäedullisia tuloksia sellaisten potilaiden kohdalla, joilla on vaikeita toimintakykyvajeita. Potilaat voivat myös arvottaa erilaisia terveydentiloja eri tavoin kuin väestö. Terveystalouden arjessa on myös vaikeaa osoittaa ja eritellä kausaali vaikutuksia eli esimerkiksi sitä, mistä syystä jokin hoitopisodi tuottaa tai ei tuota vaikuttavuutta. Esimerkiksi prosesseihin, käyttäytymiseen, ympäristöön ja sattu- maan liittyvien tekijöiden vaikutuksen eritte- leminen voi olla mahdotonta.

Lakdawalla ym. (2020) ovat kehittäneet menetelmän riskivakioidun kustannusvai- kuttavuuden arvioimiseksi (Generalized Risk- Adjusted Cost-Effectiveness, GRACE). Lakda- wallan ym. (2020) työ on mielestäni kiinnos- tavinta mitä viime aikoina tässä yhteydessä on tuotettu, vaikka muun muassa laatu-painotettujen elinvuosien laskennasta ja siihen liittyvistä ongelmista on keskusteltu jo pit- kään (esim. Nord 1992, Nord ym. 1999, Nord ym. 2009). Riskivakioidun kustannusvai- kuttavuuden arvioinnin tarkoituksena on huomi- oida hoidon ja toivon arvo, potilaiden riskin- ottohalu ja hoitotulosten jakauma paremmin kuin perinteisessä kustannusvaikuttavuuden arvioinnissa, joka perustuu olettamukseen potilaiden riskineutraaliudesta. GRACE:lle voi- daan löytää uskottavat teoreettiset ja empiiri- set perustelut.

Edellä esitetystä huolimatta laatu-painot- tujen elinvuosien laskentaan ja sen teoreetti- siin lähtökohtiin liittyvä kriittinenkään kes- kustelu ei tyypillisesti pyri siihen, että QALY:sta tulisi kokonaan luopua. Tosin joissakin arvi- ointiviitekehyksissä QALY:sta on luovuttu (ks. edellä). Pikemminkin kyse on siitä, että laatu- painotettujen elinvuosien ja kustannusvai- kuttavuuden laskentaa voitaisiin kohdentaa, tehdä QALY vieläkin paremmaksi ja pitää se yhtenä, mutta ei ainoana, päätöksenteon tai hyödyn kriteerinä. Näistä kysymyksistä olisi kuitenkin syytä keskustella, jos päätöksenteossa tai priorisoinnissa sovelletaan jollakin tavalla QALY-mittaria. Samalla on aihetta käydä kes- kustelua siitä, millä tavoin eri hoitomenetel- mien yhteiskunnallisia vaikutuksia (hyötyjä) voitaisiin arvioida nykyistä laaja-alaisemmin ja millä perusteella tämän pohjalta terveyden- huollon menetelmien kansalliset käyttöönot- topäätökset tehdään (Laine ym. 2020).

Suomessakin on viimeisen 1,5 vuoden aikana keskusteltu enenevässä määrin vaihtoehtokustannuksista (esim. Claxton 2020). Edney ym. (2021) käsittelevät artikkelissaan tuotetun terveyshyödyn marginaalikustannuksia. Eri maissa on tuotettu estimaatteja vaihtoehtokustannuksista menetetyn terveyshyödyn näkökulmasta arvioituna (esim. Siverskog ja Henriksson 2019). Näissä estimoinneissa käytetään QALY:ja, jotta tuotettujen elinvuosien laatu voidaan huomioida. Vaihtoehtokustannuksiin liittyvää keskustelua ajatellen edellä esitetyt QALY:iin ja arviointikehyksiin liittyvät huomiot voivat olla merkityksellisiä.

## Lopuksi

Hoitomenetelmän tai palvelutuotannon tuotamaa arvoa on vaikea yksiselitteisesti mitata ja ennustaa. Kyse ei kuitenkaan ole ainoastaan teknisistä haasteista vaan myös arvovalintoihin ja kontekstiin liittyvistä kysymyksistä. Tässä mielessä aiemmin esitetyille viitekehyksille on kaikille sinänsä ymmärrettävät lähtökohdat ja sovelluskohteet.

Yleisenä pyrkimyksenä tulisi mielestäni olla se, että arvioinnissa ja terveydenhuollossa otetaan huomioon sekä kustannukset että vaikuttavuus mahdollisimman laaja-alaisesti ja yhdenmukaisesti. On kuitenkin hyvin ymmärrettävää, että terveydenhuollon arjessa lähdetään liikkeelle myös pienemmistä kokonaisuuksista. Suomessakin vaikuttavuusperusteisen terveydenhuollon ansioksi voidaan laskea se, että vaikuttavuuden mittaamisen eteen tehdään paljon töitä. Kausaalivaikutusten osoittaminen on haasteellista varsinkin havainnoivissa tutkimusasetelmissa ja terveydenhuollon arjessa. Siksi toiminnan tekemistä näkyväksi mittaamisen ja vertailukehittämisen (benchmarking) avulla voidaan pitää myönteisenä asiana ja niin sanotusti toiseksi parhaana ratkaisuna.

Eri tilanteissa voi myös olla arvon, kustannusvaikuttavuuden ja terveyshyödyn maksimoinnin lisäksi monia muita kriteereitä, joita arvioinnissa ja päätöksenteossa halutaan tai joudutaan ottamaan huomioon. Esimerkiksi yksilön oikeuksia painottava lainsäädäntö voi asettaa sellaisia rajoitteita, jotka hankaloittavat kustannusvaikuttavuuden saavuttamista ja

terveyshyödyn (esim. QALY:jen) maksimointia populaatiotasolla (esim. Nyblin ja Saarni ym. 2021).

## Summary

### Cost-effectiveness, value-based health care and value assessment

Juha Laine

PhD, Professor of practice  
University of Turku  
jurlai@utu.fi

‘Value’ has become a key concept in the pricing, evaluation and introduction of new technologies in healthcare and in the pharmaceutical industry. In principle, cost-effectiveness and value assessment are two sides of the same coin, but in practice they can be diverse concepts and their significance should often be understood in different ways. Traditional economic evaluation, especially cost-utility analysis, and value-based healthcare framework often take valuation in quite different directions. There are also a number of other assessment frameworks available and in use. However, it is essential that shortcomings in all evaluations or frameworks are recognized and clearly highlighted for decision-making processes. After all, although cost-effectiveness is a simple matter in principle, pursuing it in the daily practice is complex.

**Keywords:** cost-effectiveness, value-based healthcare, value

## Sidonnaisuudet

Työsuhte Roche Oy (Real World Data Lead & Health Economics Advisor), työsuhte Turun yliopisto (työelämäprofessori).

## Kirjallisuus

Alonso-Coello P, Oxman A, Moberg J ym.: GRADE Evidence to Decision (EtD) frameworks: a systematic and transparent approach to making well informed healthcare choices. 2: Clinical practice guidelines. *BMJ* 353:i2089, 2016

Caro J, Brazier J, Karnon J ym.: Determining Value in Health Technology Assessment: Stay the Course or Tack Away? *PharmacoEconomics* 37: 293–299, 2018

Caro J, Nord E, Siebert U ym.: The efficiency frontier approach to economic evaluation of health-care interventions. *Health Econ* 19: 1117–1127, 2010

Claxton K: Informing decisions about health care: the importance of assessing health opportunity costs. *Esitys Terveystaloustieteen päivillä 2020* (viitattu 28.10.2021). [https://tts.fi/images/claxton\\_vs1\\_finland%20keynote%20070220.pdf](https://tts.fi/images/claxton_vs1_finland%20keynote%20070220.pdf)

Davis S: Assessing technologies that are not cost-effective at a zero price. Report by the Decision Support Unit. School of Health and Related Research, University of Sheffield 2014.

Devlin N, Norman N, Ratcliffe J ym.: Do child QALYs = adult QALYs? Five reasons why they might not (viitattu 16.8.2021). <https://www.ohe.org/news/do-child-qalys-adult-qalys-five-reasons-why-they-might-not>

Donabedian A: Evaluating the Quality of Medical Care. *The Milbank Quarterly*: 83, 691–729, 2005. Reprinted from *The Milbank Memorial Fund Quarterly* 44: 166–203, 1966

Edney L, Lomas J, Karnon J ym.: Empirical Estimates of the Marginal Cost of Health Produced by a Healthcare System: Methodological Considerations from Country-Level Estimates *PharmacoEconomics* 2021 (viitattu 29.9.2021). <https://link.springer.com/article/10.1007%2Fs40273-021-01087-6>

Fimea 2021: Arviointiraportit (viitattu 11.11.2021). [www.fimea.fi/kehittaminen/hoidollinen\\_ja\\_taloudellinen\\_arvo/arvioinnit](http://www.fimea.fi/kehittaminen/hoidollinen_ja_taloudellinen_arvo/arvioinnit)

GRADE working group: Grading quality of evidence and strength of recommendations. *BMJ* 19: 328, 2004

Institute for Quality and Efficiency in Health Care: General methods. Version 6.0 of 5 November, 2020 (viitattu 28.10.2021). [www.iqwig.de/methoden/general-methods\\_version-6-0.pdf](http://www.iqwig.de/methoden/general-methods_version-6-0.pdf)

Järvinen T, Roine R: Terveystalouden säästöt vaativat priorisointia. *Suomen Lääkärilehti* 6: 294–295, 2015

Kainu T, Köhler A, Larsson S: The missing piece in Finnish healthcare reform. The Boston Consulting Group, 2016

Kosonen S: Missä on kehitetty laatua parhaiten? *Suomen Lääkärilehti* 42: 2416–2417, 2021

Laine J: Kustannusvaikuttavuus ei yksin riitä priorisoinnin perustaksi. *Lääketieteellinen aikakauskirja Duodecim*: 130: 2094–2098, 2014

Laine J, Ojala A, Turunen J: Lääkehoitojen yhteiskunnallisten hyötyjen arvioinnista. *Yhteiskuntapolitiikka* 3: 310–315, 2020

Lakdawalla D, Phelps C: Health technology assessment with risk aversion in health. *J Health Econ* 72: 102346, 2020

Lappalainen L, Stenvall H, Lavikainen P ym.: Patient-reported outcomes in coronary artery disease: the relationship between the standard, disease-specific set by the International Consortium for Health Outcomes Measurement (ICHOM) and the generic health-related quality of life instrument 15D. *Health Qual Life Outcomes* 19: 206, 2021

Lukkarinen H, Virtanen O, Tuppurainen K ym.: Harvinaissairaudet monikanavaisen lääkekorvausjärjestelmän puristuksessa. Keskustelualoite (viitattu 28.10.2021). [www.ppshp.fi/dokumentit/Kehitys%20ja%20tutkimus%20sisllytyppi/Harvinaissairaudet%20monikanavaisen%201%20A4%20A4k%20korvaus%20A4rjestelm%20A4n%20puristuksessa.pdf](http://www.ppshp.fi/dokumentit/Kehitys%20ja%20tutkimus%20sisllytyppi/Harvinaissairaudet%20monikanavaisen%201%20A4%20A4k%20korvaus%20A4rjestelm%20A4n%20puristuksessa.pdf)

Lääkkeiden hintalautakunta 2019: Hakemusohje. Terveystaloudellinen selvitys (viitattu 11.11.2021). [https://www.hila.fi/content/uploads/2020/01/Hakemusohje\\_TTS\\_2019.pdf](https://www.hila.fi/content/uploads/2020/01/Hakemusohje_TTS_2019.pdf)

Marsh K, Lanitis T, Neasham D ym.: Assessing the Value of Healthcare Interventions Using Multi-Criteria Decision Analysis: A Review of the Literature. *Pharmacoeconomics* 32: 345–365, 2014

Marsh K, Sculpher M, Caro J ym.: The Use of MCDA in HTA: Great Potential, but More Effort Needed. *Value in Health* 21: 394–397, 2018

NCD. Quality-Adjusted Life Years and the Devaluation of Life. National Council of Disability. Nov 6, 2019

Nord E: An Alternative To QALYs: The Saved Young Life Equivalent (SAVE). *BMJ* 305: 875–877, 1992

Nord E, Daniels N, Kamlet M: QALYs: Some Challenges. *Value in Health* 12: 10–15, 2009

Nord E, Pinto J, Richardson P ym.: Incorporating societal concerns for fairness in numerical valuations of health programmes. *Health Econ* 8:25–39, 1999



Norris S, Aung M, Chartes N ym.: Evidence-to-decision frameworks: a review and analysis to inform decision-making for environmental health interventions (viitattu 28.10.2021).  
[www.medrxiv.org/content/10.1101/2021.05.04.21256541v1](http://www.medrxiv.org/content/10.1101/2021.05.04.21256541v1)

Nyblin K, Saarni S: Apulaisoikeusasiamiehen rokotatarkaisu haastaa terveystalouden keskeisiä tavoitteita – ja antaa muutenkin aihetta kriittisiin huomioihin. Edilex 2021 (viitattu 11.11.2021).  
[www.edilex.fi/uutiset/70773](http://www.edilex.fi/uutiset/70773)

Palko: Palveluvalikoimaneuvosto. Valmiit suositukset (viitattu 11.11.2021).  
<https://palveluvalikoima.fi/valmiit-suositukset>

Peltola M, Juntunen M, Häkkinen U ym.: PERFECT- Menetelmäraportti PERFECT – Performance, Effectiveness and Cost of Treatment Episodes. Hoitoketjun toimivuus, vaikuttavuus ja kustannukset. Terveiden ja hyvinvoinnin laitos, Helsinki, 2009 (viitattu 11.11.2021)  
<https://thl.fi/documents/10531/3549401/PERFECTMenetelm%C3%A4raporttiV10.pdf/3b36515c-b47e-4c57-ad48-4e71763e4462>

Pitkänen L, Haavisto I, Vähäviita P ym.: Vaikuttavuus sotessa. Suoritteista tuloksiin. Nordic Healthcare Group (viitattu 28.10.2021).  
<https://nhg.fi/wp-content/uploads/2018/11/Vaikuttavuus-sotessa-suoritteista-tuloksiin.pdf>

Porter M, Teisberg E: Redefining Health Care: Creating Value-Based Competition on Results. Harvard Business School Press, Boston 2006

Rehfuess E, Stratil J, Scheel I ym.: The WHOINTEGRATE evidence to decision framework version 1.0: integrating WHO norms and values and a complexity perspective. BMJ Glob Health 4:e000844. DOI:10.1136/bmjgh-2018-000844, 2019

Rethinking health: Vaikuttavuusperusteisen terveydenhuollon perusteet 2021. Reactor Education, Gesund Partners ja Helsingin yliopisto, 2021 (viitattu 11.11.2021).  
<https://reaktoreducation.com/fi/courses/fi-rethinkinghealth/>

Roine R: Hoidon vaikuttavuuden arviointi 15D-mittarilla. Duodecim 132: 1537–1542, 2016

Siverskog J, Henriksson M: Estimating the marginal cost of a life year in Sweden's public healthcare sector. The European Journal of Health Economics 20: 751–762, 2019

Stratil J, Baltussen R, Scheel I m.: Development of the WHO-INTEGRATE evidence-to-decision framework: an overview of systematic reviews of decision criteria for health decision-making. Cost Eff Resour Alloc 18: 8, 2020.

Teperi J: Arvoperusteinen terveydenhuolto – joko nyt? Suomen Lääkärilehti 7: 391, 2021

Teperi J, Porter ME, Vuorenkoski L, Baron JF ym.: The Finnish Health Care System: A Value-Based Perspective. Sitra reports 82, 2009

Terveydenhuollon palveluvalikoiman priorisointi -tutkimushanke 2021. Helsingin yliopisto, Helsinki, 2021 (viitattu 11.11.2021).  
<https://www.helsinki.fi/fi/uutiset/terveempi-maailma/miten-terveydenhuollon-palvelut-saadaan-kohdentumaan-vaikuttavasti>

Terveyden ja hyvinvoinnin laitos: Diabetes-pilottirekisterin loppuraportti. Terveiden ja hyvinvoinninlaitos, Helsinki, 2020 (viitattu 28.10.2021).  
[https://thl.fi/documents/2616650/4353715/Diabetes\\_pilottirekisterin\\_loppuraportti.pdf/4ef6101b-12b4-8ccb-8c3f-5e177e688ed0?t=1607518754520](https://thl.fi/documents/2616650/4353715/Diabetes_pilottirekisterin_loppuraportti.pdf/4ef6101b-12b4-8ccb-8c3f-5e177e688ed0?t=1607518754520)

Walraven J, Jacobs M, Uyk-de Groot C: Leveraging the Similarities Between Cost-effectiveness Analysis and Value-Based Healthcare. Value in Health 24: 1038 – 1044, 2021

Westrich K, Buel L, Dubois R: Why Value Framework Assessments Arrive at Different Conclusions: A Multiple Myeloma Case Study. J Manag Care Spec Pharm 23: S28–S33, 2017

Laine, J: Kustannusvaikuttavuus, arvoperusteinen terveydenhuolto ja arvon arviointi. Dosis 37: 430–443, 2021