

Fra forskning til helsepolitisk beslutning.

Hva er en god metodevurdering i en beslutningsprosess?

Michael 2012;9: 165–173

Ny medisinsk teknologi gir nye muligheter for diagnostikk og behandling som gir bedre livskvalitet og helse for pasienter og samfunn. Samtidig øker gapet mellom hva som teknologisk er mulig å gjøre og hva som er ressursmessig gjennomførbart. Utfordringene med prioritering i helsevesenet gir behov for gode beslutningsprosesser. Derfor utvikles systemer og verktøy for å oppsummere og presentere eksisterende forskning som støtte til beslutningstagere på alle nivåer i helsetjenesten. HTA (Health Technology Assessment) ble bevisst utviklet som en ny fremgangsmåte for å støtte opp beslutninger på overordnet nivå hvor vitenskap og politikk møtes. HTA kombinerer formidling av resultater fra oppsummert forskning om helseeffekter av en gitt metode med en synliggjøring av økonomiske konsekvenser og etiske, sosiale organisatoriske og juridiske aspekter. Nasjonale HTA sentra i enkelte land kan i tillegg til oppsummering av kunnskap (assessment) og konsekvensvurdering (appraisal) også gi konkrete anbefalinger for beslutning, men som oftest er disse funksjonene adskilt. Tettere samarbeid mellom de nasjonale HTA organisasjonene og helsemyndighetene kan være et tegn på at helsetjenesten i økende grad blir kunnskapsbasert, men kan potensielt medføre en «politisering» av HTA prosessen. Hva er forutsetninger for at en metodevurdering fungerer godt i beslutningsprosessen? Hva er en god HTA?

Kunnskapsbasert helsetjeneste

Kunnskapsbasert helsetjeneste innebærer bruk av systematisk innhentet forskningsbasert kunnskap i kliniske beslutninger og i helseforvaltningen. I Nasjonal helse- og omsorgsplan (2011–2015) presiseres at helseforvaltningen og helse- og omsorgstjenesten må etterspørre oppsummert forskning: «Forskning og oppdatert kunnskap bør ligge til grunn for beslutninger om å innføre nye behandlingsmetoder, for finansiering av tjenester, for faglige retningslinjer, for utvikling av indikatorer og organisering av tjenester» (1).

Kunnskapsbasert praksis er en tilnærming til kunnskapshåndtering i klinikken og bruken av kunnskapsbaserte beslutninger i møte med pasienter. (2) HTA som beslutningsstøtte i norsk helsevesen er best innarbeidet i avgjørelser om opptak på generell refusjon og i arbeidet med kliniske retningslinjer. Begge prosesser innebærer prioriteringer mellom ulike tiltak hvor en ønsker å finne ut hvilket behandlingstilbud gir mest helse innen gitte budsjettammer og tilgjengelige ressurser. HTA brukes hittil i mindre grad til støtte i avgjørelser om valg av utstyr, legemidler og prosedyrer ved sykehus, men dette kan endre seg med nylig introdusert system for innføring av ny teknologi i spesialisthelsetjenesten (3). Formålet er å bidra i beslutningsprosessen med relevant oppsummert forskning om relative helseeffekter og kostnader av medisinske metoder for å støtte utviklingen av kunnskapsbasert helsetjeneste.

Metodevurdering som redskap i beslutninger

Det er ønskelig at en HTA kan fungere som bro mellom forskning og klinikk og helsepolitikk. Metodevurderinger setter resultater fra oppsummert forskning av tiltak innen forebygging, diagnostisering, behandling, rehabilitering eller organisering av helsetjenester i en nasjonal kontekst. Konsekvenser ved innføring av metoden belyses gjennom en helseøkonomisk analyse og hvor dette er relevant, vurderes etiske, sosiale, organisatoriske og juridiske aspekter. Prosessen skal være åpen, transparent, faglig og politisk uavhengig. (4-6) Internasjonalt brukes mye ressurser på metodisk utvikling av HTA som beslutningsstøtte og samarbeid på tvers av landegrenser. (http://www.eunetha.eu/Public/About_EUnetHTA/HTA/)

Hva er forutsetninger for en god HTA?

HTA kan vurderes ut fra dens metodiske kvalitet, ut fra dens nytteverdi i beslutningssammenheng og i forhold til dens virkning på helsefaglig praksis (implementering av resultater). Disse vurderinger blir ikke alltid sammenfallende fordi en metodisk bra HTA kan være irrelevant for beslutningen, og fordi ikke alltid gode og relevante HTAer blir implementert i praksis. Tillitt til presentert kunnskap og måten den ble fremskaffet på og relevans for beslutningen er fundamentale forutsetninger for en god HTA.

Tillitt og troverdighet

Tillit til utførende organisasjon er avgjørende fordi troverdigheten til en metodevurdering styrkes ved at utføreren av HTA oppfattes som faglig og politisk uavhengig. Dette er spesielt viktig ved kontroversielle problemstillinger (HPV- vaksine i barnevaksinasjonsprogram, screening for kolorek-

talkreft, tidlig ultralyd i svangerskap) eller ved kostnadskrevende metoder (PET, kreftlegemidler). Potensielle interessegrupper er industri, myndigheter, helseforetak og pasientorganisasjoner som konkurrer om de samme bevilgningene. Mange offentlig finansierte HTA sentre er integrert i helse-systemet på nasjonalt nivå som de nordiske, andre er tilknyttet universitetsmiljøer og forskningsinstitutter som f.eks i England og Wales. Det er også land som har regionale HTA-sentre. Enkelte land har private HTA organisasjoner som hovedsakelig leverer metodevurderinger i forbindelse med opptak på refusjon (7). Kunnskapscenteret som det norske HTA senteret er en del av den statlige forvaltningen, men skal ikke instrueres i faglige spørsmål og er uavhengig av profesjonene, industri og myndighetene. (www.kunnskapscenteret.no).

Like viktig som faglig og politisk uavhengighet til HTA senteret er at de forskere som utfører metodevurdering oppfattes som habile i saken. Det er blitt vanlig at forfattere av HTA rapporter deklarerer potensielle interessekonflikt (4). Foreløpig er det ikke vanlig å deklare sitt verdigrunnlag i aktuelle saker, men slik bekjentgjøring kan øke åpenheten og transparensten.

Åpen og uavhengig HTA prosess

Metodevurderinger som utføres av Kunnskapscenteret gjenspeiler som oftest områder med størst faglig og/eller politisk interesse. Kunnskapscenteret koordinerer bestillingsprosess for HTA. Innkomne forslag vurderes av eksternt uavhengig og tverrfaglig sammensatt gruppe: Bestillingsforum. Dette styrker tilliten til prioriteringer av aktuelle problemstillinger for HTA. Åpen HTA prosess innebærer også at forfattere har begrunnet problemstillingen for HTA og beskrevet valg av søkestrategi, inklusjonskriterier for studier og kvalitetskriterier for identifisert forskning. Denne delen av HTA prosessen kan knyttes til etterprøvbarehet av resultater, som er en del av den metodiske kvaliteten av en HTA (8).

Dokumentasjonsgrunnlaget

HTA oppsummerer effektdata fra systematiske oversikter og primære studier. Eksisterende kvalitetshierarkier av forskningsdata gjenspeiler den relative evidensstyrken knyttet til ulike typer design (evidenspyramiden – <http://www.ebmpyramid.org/>), men i prinsippet må valg av studier tilpasses problemstillingen. Utførelsen av denne delen av en HTA er i stor grad standardisert internasjonalt og bygger på metodikken for systematiske oversikter utviklet av Cochranesamarbeidet. Resultatene har vanligvis relevans internasjonalt. (www.cochranehandbook.org; www.EUNEHTA.org; www.kunnskapsbasertpraksis.no).

Innføring av nye metoder i helsetjenesten bør, ideelt sett, bygge på robuste forskningsdata, men mangelfull dokumentasjonsgrunnlag kan ikke hindre beslutninger om hvorvidt relevante metoder skal tas i bruk eller bør finansieres av det offentlige. Her kan HTA synliggjøre usikkerhet ved evidensgrunnlaget for beslutningen og behov for mer forskning. HTA vil ikke svare på hvordan denne usikkerheten bør håndteres av beslutningstakeren. Dette er både en styrke og en nødvendig begrensning ved HTA som beslutningsstøtte hvis HTA prosessen skal forbli faglig og politisk uavhengig.

Konsekvensvurderinger i HTA

Konsekvensvurderinger omfatter helseøkonomiske analyser, organisatoriske og juridiske konsekvenser og etiske utfordringer knyttet til innføring av en metode. Det er denne delen av HTA som skiller arbeidsprosessen og sluttproduktet fra andre typer oppsummert forskning.

Helseøkonomiske analyser er en viktig del av en fullstendig HTA. En helseøkonomisk analyse skal i prinsippet konkludere om en metode er kostnadseffektiv sammenlignet med alternativer (9, 10). Det finnes sjekklister for vurdering av metodisk kvalitet av helseøkonomisk analyse og anbefalinger for hvordan håndtere usikkerhet rundt estimatene. Åpenhet om forutsetninger som gjøres i forkant av en helseøkonomisk analyse er avgjørende for troverdighet og etterprøvbare resultater. Det samme gjelder valg av analysemetode, valg av komparator, tidshorisont for analyse og analysens perspektiv da disse faktorene påvirker resultatet. I likhet med de fleste HTA-sentre i europeiske land legger norske myndigheter samfunnsperspektivet til grunn (11). Internasjonalt brukes i refusjonssammenheng ofte helsevesenets perspektiv eller begrenset samfunnsperspektiv.

Det er ønskelig at beslutninger om refusjon og ressursallokering i størst mulig grad er kunnskapsbaserte. Prioriterings spørsmål står sentralt i beslutninger om offentlig finansiering av helsetjenester. De viktigste prioriteringshensynene i norsk helsevesenet er alvorlighetsgrad av sykdommen, nytte, og kostnadseffektivitet av tiltaket (12). Metodevurderinger bidrar per i dag med kunnskap om behandlingens effekt og kostnader men tar ikke stilling til vurderinger av alvorlighet av sykdommen. Dette fordi vurderinger av alvorlighet fortsatt er verdibaserte, selv om det gjøres forsøk på operasjonalisering av metoden.

Beslutninger om refusjon ved Legemiddelverket bygger på faglig grunnlag men samtidig gjenspeiler gjeldende politiske prioriteringer (www.legemiddelverket.no). Legemiddelverket gjør en samlet vurdering av effekt og kostandsnytte data i norsk kontekst og i forhold til kriterier for refusjonsverdighet. HTA prosessen skiller derimot mellom vitenskapelig fundert

formidling av forskningsresultater, og politisk og faglig kontekst for beslutningen. utfordringer ved dette er drøftet under etiske aspekter ved HTA.

Etiske aspekter i HTA

HTA er en *vurdering* og alle vurderinger er verdibasert. Dessuten er *helse* et verdiladet begrep. Det er derfor ikke overraskende at etikk, som blant annet omfatter læren om verdier, har en viktig plass for å informere gode beslutninger. Det er mulig at manglende fokus på de etiske aspektene ved helse tiltak gjør at HTA utredninger får relativ liten innflytelse på beslutningene. (13-15). En rekke etiske overveielser inngår også i beslutningsprosessen. Beslutningstakere baserer seg ikke på forskningsbasert kunnskap alene, men også på erfaringsbasert kunnskap og på pasientgruppens ønsker og behov i en gitt situasjon. Nye metoder utfordrer ofte moralske normer og verdier. Dette har vi blant annet sett ved innføringen av avansert bildeteknologi (MRI og PET), vaksiner (HPV, svineinfluensa), screening (tidlig ultralyd) og nye behandlingsmetoder (protonterapi).

Etiske spørsmål dukker også opp i metodevurderingen. Metodisk riktig studiedesign kan være uetisk å gjennomføre i praksis, eksempelvis om placebo brukes i kontrollgruppen når det finnes virkningsfulle alternativer. Valg av endepunkt i studien er ikke bare et faglig spørsmål. De perspektivene som gjør seg gjeldende ved gjennomføring av en HTA er etisk relevante: Er det pasientgruppens perspektiv på erfart helseeffekt, er det helsepersonells kompliserte avveining mellom altruistiske, personlige og faglige interesser, samfunnets velferdsperspektiv, byråkratiets effektivitetskriterier eller politikeres ønsker om gjenvalg som skal dominere?

Fortsatt inkluderer få metodevurderinger etikk, selv om det er mange argumenter for at etikk skulle være en vesentlig del av HTA. (16-20) Norge har vært et foregangsland ved tidlig å integrere etikk i HTA (19). Kunnskapssenteret anvender en metodikk som er spesialutviklet for å synliggjøre og drøfte moralske aspekter ved helsefaglige tiltak. Metoden inngår i en HTA – core modell og har blitt brukt i internasjonale standarder (21). Det finnes ulike metoder for å belyse sosiale og etiske aspekter ved medisinske metoder/teknologi (21-24). Mens metodemangfoldet kan være en utfordring i vitenskapelig forstand, behøver det ikke å være problematisk i praksis fordi sosiale og etiske aspekter er kontekstuelle for det enkelte lands helsevesen og helsepolitikk. Vurdering av teknologier for assistert reproduksjon vil være forskjellig i Tyskland og Storbritannia, der det er svært ulik lovgiving. Etiske (og filosofiske) perspektiv søker ikke bare å belyse de moralske aspektene ved et konkret helse tiltak, men også å fremme refleksjon over eget kunnskapsgrunnlag. Også kunnskapssystemene må forstås i sin kontekst.

Relevans for beslutningen

Det er ikke nok at det foreligger en eller flere HTA vurderinger på et faglig relevant område hvis disse ikke gjenspeiler informasjonsbehovet i forhold til en bestemt beslutningsprosess.

Dette er ofte en utfordring i refusjonssammenheng og i retningslinjearbeid hvor dokumentasjonsgrunnlaget skal settes i nasjonal kontekst, dvs. hva som er norsk relevant pasientpopulasjon, behandlingspraksis, gjeldene retningslinjer, tilgjengelige ressurser osv. Tettere samarbeid med bestilleren, bruk av kliniske eksperter og involvering av pasienter bidrar til økt relevans av HTA. Internasjonalt samarbeid i HTA (EUnetHTA) kan bidra til at beslutningstagere vil få raskere tilgang til nye HTA rapporter som har relevans på tvers av landegrenser.

I tide

Ideelt sett bør en metodevurdering foreligge i forkant av en beslutning eller parallelt med beslutningsprosessen (25). Tidlig identifisering av informasjonsbehov for fremtidige beslutninger er viktig fordi det tar tid å utarbeide en fullstendig HTA. Like viktig er riktig ressursallokering i forhold til informasjonsbehovet ved HTA sentra (5, 26). Internasjonal samarbeid mellom offentlige HTA sentra, helsemyndigheter og produsenter av teknologien (EUNEHTA, HTAi) kan bidra til bedre allokering av HTA ressurser internasjonalt (www.htai.org).

Formidling

Målgruppe for HTA spenner fra helsepersonell og pasienter til helseadministratorer og politikere og andre aktører i helse- og omsorgstjenesten. Dette stiller krav til HTA-prosessen og til målrettet formidling av resultater. Relevante brukere av en HTA, bestillere, pasienter og de som eier teknologien bør sannsynligvis i større grad blir inkludert i selve HTA-prosessen. Mens involvering av industrien og politikere i HTA-prosesser fortsatt er omdiskutert, arbeides det aktivt med involvering av pasientorganisasjoner i HTA (6, 27, 28). Fagekspertise som trekkes inn i HTA-prosessen bidrar til økt forankring og implementering av resultater.

Tilgjengelighet

Tilgjengelighet av en HTA er avgjørende for at resultatene blir brukt i beslutningssituasjoner. De fleste HTA-sentra internasjonalt gjør sine vurderinger tilgjengelig for bredt publikum ved å publisere rapporter på sine nettsider og har oppsummeringer på engelsk.

Metodevurdering er ferskvare

Kontinuerlig oppdatering av generert kunnskap i en HTA er nødvendig fordi oppsummert kunnskap kan gå ut på dato. Dette er spesielt viktig hvis ny forskning peker på behov for endringer i praksis. Oppdatering av HTA metodevurderinger blir ofte nedprioritert til fordel for nye HTA vurderinger.

Utfordringer

Riktige prioriteringer er avgjørende for et bærekraftig helsesystem, men HTA tar ikke stilling til prioriteringsproblemer. Et sterkere fokus på organisatoriske konsekvenser, konsekvenser for berørte pasientgrupper og etiske aspekter ved innføringen av en metode i HTA kan gi bedre grunnlag for beslutningstagere som må forholde seg til konteksten for en beslutning. HTA arbeidsformen bør forankres i regionale helseforetak og i sykehusene.

Det kan bli vanskelig å holde fast på et formelt skille mellom vitenskap og samfunn fordi kunnskapen verdiveies og politiseres. Vitenskapelige sannheter blir til i en sosial kontekst, der det forhandles og reforhandles mellom aktører. Trender innen vitenskapsteori og Science and Technology Studies (STS), samt HTA internasjonalt, peker mot nærmere integrering mellom fakta og verdier, mellom kunnskap og beslutninger, og mellom tjenestenyter og tjenesteyter. HTA sentrene samarbeider tett med myndigheter og fagmiljøer og har god innsikt i bakgrunnen for forespørselen. Teoretisk kan derfor presentasjonen av data i en HTA dreies i retninger som bygger opp under ønskede politiske eller faglige beslutninger. Slik utvikling vil kunne undergrave tilliten og legitimiteten til HTA. Samtidig er det behov for sterkere bånd mellom HTA sentra og brukere på lokalt nivå for å bedre implementering og resultatoppfølging av kvaliteten av helsetjenester og pasientutfall (29).

HTA som metode for formidling av kunnskap har hatt en formidabel utvikling internasjonalt og i Norge, men det er lite forskning på hvordan dette har påvirket helsetjenesten. Fremtidig bruk av HTA i beslutninger forutsetter fortsatt gjensidig tillitt mellom bestillere, brukere og utførere og respekt for deres ulike roller i beslutningsprosessen. Gode HTAer kan fremme god klinisk praksis og riktig innovasjon.

Litteratur

1. Helse og omsorgsdepartementet. *Nasjonal helse- og omsorgsplan (2011-2015)*. St. meld. nr. 16 (2010-2011). Oslo: Helse- og omsorgsdepartementet, 2011.
2. Vandvik PO, Eiring O. Kunnskapsbasert praksis for norske leger? *Tidsskr Nor Legefor* 2011; 131: 1755.
3. Johansen M, Norderhaug I. *Ny og kostnadskrevende metoder. Forslag til system for håndtering av ny teknologi i helsetjenesten*. Rapport IS-13/2009. Oslo: Helsedirektoratet, 2009.

4. Grutters JB, Seferina SC, Tjan-Heijnen VC et al. Bridging trial and decision: a checklist to frame health technology assessments for resource allocation decisions. *Value in health: The journal of the International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research*. 2011; 14: 777-84.
5. Morland B, Ringard A, Rottingen JA. Supporting tough decisions in Norway: a health-care system approach. *Int J Technol Assess Health Care* 2010; 26: 398-404.
6. Fronsdal KB, Facey K, Klemp M, Norderhaug IN, Morland B, Rottingen JA. Health technology assessment to optimize health technology utilization: using implementation initiatives and monitoring processes. *Int J Technol Assess Health Care* 2010; 26: 309-16.
7. Chalkidou K, Whicher D, Kary W, Tunis S. Comparative effectiveness research priorities: identifying critical gaps in evidence for clinical and health policy decision making. *Int J Technol Assess Health Care* 2009; 25: 241-8.
8. INAHTA. *A checklist for Health Assessment Technology reports*. <http://www.asmn.re.it/allegati/qualitaclinica/HTAchecklist.pdf> (09.02.2012).
9. Drummond M. Evaluation of health technology: Economic issues for health policy and policy issues for economic appraisal. *Soc Sci Med*. 1994; 38: 1593-600.
10. Drummond MF, Schwartz JS, Jonsson B, Luce BR, Neumann PJ, Siebert U, et al. Key principles for the improved conduct of health technology assessments for resource allocation decisions *Int J Technol Assess Health Care* 2008; 24: 244-58; discussion 362-8.
11. Statens Legemiddelverk. *Retningslinjer for helseøkonomiske analyser av legemidler*. Oslo: Statens legemiddelverk, 2011.
12. Norges offentlige utredninger. Prioritering på ny. Gjennomgang av retningslinjer for prioritering innen norsk helsetjeneste. NOU 1997: 18. Oslo: Statens forvaltningstjeneste.
13. Hofmann B. Toward a procedure for integrating moral issues in health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 2005; 21: 312-8.
14. Oliver A, Mossialos E, Robinson R. Health technology assessment and its influence on health-care priority setting. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 1-10.
15. ten Have H. Ethical perspectives on health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 71-6.
16. Droste S, Gerhardus A. Ethische Aspekte in Kurz-HTA-Berichten-eine systematische Übersicht[Ethical aspects of short health technology assessments – a systematic review] *Zeitschrift für ärztliche Fortbildung und Qualitätssicherung* 2003; 97: 711-5
17. Lehoux P, Tailliez S, Denis JL et al. Redefining health technology assessment in Canada: diversification of products and contextualization of findings. *Int J Technol Assess Health Care* 2004; 20: 325-36.
18. Lehoux P, Williams-Jones B. Mapping the integration of social and ethical issues in health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 2007; 23: 9-16.
19. Hofmann BM. Why ethics should be part of health technology assessment. *Int J Technol Assess Health Care* 2008; 24: 423-9.
20. ten Have HA. *Medical technology assessment and ethics. Ambivalent relations*. The Hastings Center report. 1995; 25: 13-9.
21. Saarni SI, Hofmann B, Lampe K et al. Ethical analysis to improve decision-making on health technologies. *Bulletin of the World Health Organization*. 2008; 86: 617-23.

22. Hofmann B, Lysdahl KB. Moral principles and medical practice: the role of patient autonomy in the extensive use of radiological services. *Med Ethics*. 2008; 34: 446-9.
23. Saarni SI, Braunack-Mayer A, Hofmann B, van der Wilt GJ. Different methods for ethical analysis in health technology assessment: an empirical study. *Int J Technol Assess Health Care* 2011; 27: 305-12.
24. Burls A, Caron L, Cleret de Langavant G, Dondorp W, Harstall C, Pathak-Sen E, et al. Tackling ethical issues in health technology assessment: a proposed framework. *Int J Technol Assess Health Care* 2011; 27: 230-7.
25. Whicher DM, Chalkidou K, Dhalla IA, Levin L, Tunis S. Comparative effectiveness research in Ontario, Canada: producing relevant and timely information for health care decision makers. *The Milbank Quarterly* 2009; 87: 585-606
26. Noorani HZ, Husereau DR, Boudreau R, Skidmore B. Priority setting for health technology assessments: a systematic review of current practical approaches. *Int J Technol Assess Health Care* 2007; 23: 310-5.
27. Facey K, Boivin A, Gracia J, Hansen HP, Lo Scalzo A, Mossman J, et al. Patients' perspectives in health technology assessment: a route to robust evidence and fair deliberation. *Int J Technol Assess Health Care* 2010; 26: 334-40.
28. Facey KM, Hansen HP. Patient-focused HTAs. *Int J Technol Assess Health Care* 2011; 27: 273-4.
29. Sorenson C, Drummond M, Kristensen FB et al. *How can the impact of health technology assessments be enhanced?* In: Policies. WHO European Ministerial Conference on Health Systems; 25-27 June 2008; Tallin: Health Systems and Policy Analysis; 2008.

Krystyna Hviding

krystyna.hviding@legemiddelverket.no

Seksjon for legemiddelrefusjon, Statens legemiddelverk

Postboks 63, Kalbakken

0901 Oslo

Bjørn Hofmann

bjoern.hofmann@hig.no

Avdeling for helse, omsorg og sykepleie, Høgskolen i Gjøvik

Teknologivn. 22

2815 Gjøvik