

Ökonomische Evaluation von Gesundheitstechnologien

VL V: Effekte 3 (Nutzen)

PD. Dr. med. Wilm Quentin

FG Management im Gesundheitswesen, Technische Universität Berlin
(WHO Collaborating Centre for Health Systems Research and Management)
&
European Observatory on Health Systems and Policies

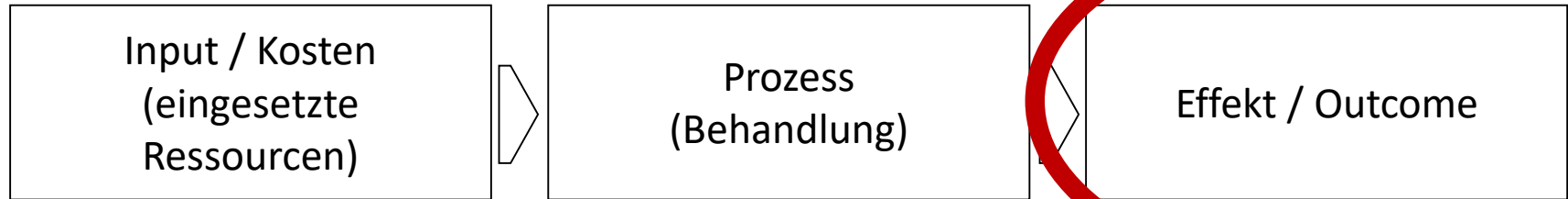


Datum		Inhalt der Lehrveranstaltung	Dozent/in
15.10.2019	10-12	Organisatorisches / Vorstellung Seminararbeiten	Berger/ Winkelmann
	12-14	VL I: Einführung in die gesundheitsökonomische Evaluation	Quentin
22.10.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL I	Berger/ Winkelmann
	12-14	VL II: Kosten 1	Quentin
29.10.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL II	Berger
	12-14	VL III: Kosten 2	Berger
05.11.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL III	Quentin
	12-14	VL IV: Effekte 1 (klin. Parameter, LQ)	Quentin

Datum		Inhalt der Lehrveranstaltung	Dozent/in
12.11.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL IV	Berger
	12-14	VL V: Effekte 2 (Nutzwerte)	Berger/ Winkelmann
19.11.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL V	Winkelmann
	12-14	VL VI: Effekte 3 (Nutzen)	Quentin
26.11.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL VI	Oschmann
	12-14	VL VII: Modellierung	Quentin
03.12.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL VII	Winkelmann
	12-14	VL VIII: Studientypen, Umgang mit Unsicherheiten	Quentin
10.12.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL VIII	Berger
	12-14	VL IX: Entscheidungsfindung I	Quentin

Datum		Inhalt der Lehrveranstaltung	Dozent/in
17.12.2019	10-12	Vertiefungsübung zu VL IX	Berger
	12-14	VL X: Entscheidungsfindung II	Quentin
07.01.2020	10-12	VL XI: Klausurvorbereitung	Quentin
	12-14	Vertiefungsübung zu VL XI	Berger/ Oschmann/ Winkelmann
14.01.2020	10-12	Klausur	Berger/ Oschmann/ Winkelmann
	12-14	<i>Übung I – Ideen Seminararbeiten</i>	Berger/ Oschmann/ Winkelmann
21.01.2020	10-14	<i>Übung II – Zwischenstand Seminararbeiten</i>	Berger/ Oschmann/ Winkelmann

Datum		Inhalt der Lehrveranstaltung	Dozent/in
28.01.2020	10-14	<i>Übung III – Zwischenstand Seminararbeiten</i>	Berger/ Oschmann/ Winkelmann
04.02.2020	10-14	<i>Übung IV – Zwischenstand Seminararbeiten</i>	Berger/ Oschmann/ Winkelmann
11.02.2020	10-14	Präsentation der Seminararbeiten	Quentin/ Oschmann/ Winkelmann



- Verbesserung klinischer Parameter (z. B. Blutdruck)
- Verlängerung der Lebensdauer
- Nutzwerte, die Lebenszeit und gesundheitsbezogene Lebensqualität berücksichtigen
- in Geldeinheiten bewertete gesundheitliche Effekte

Bewertungsmaß = Kosten / Outcome
(Typ der Analyse wird durch Maßeinheit
des Outcomes bestimmt)

Outcomes / Effektmaße

Klinische Parameter

Lebensqualität

Nutzwerte

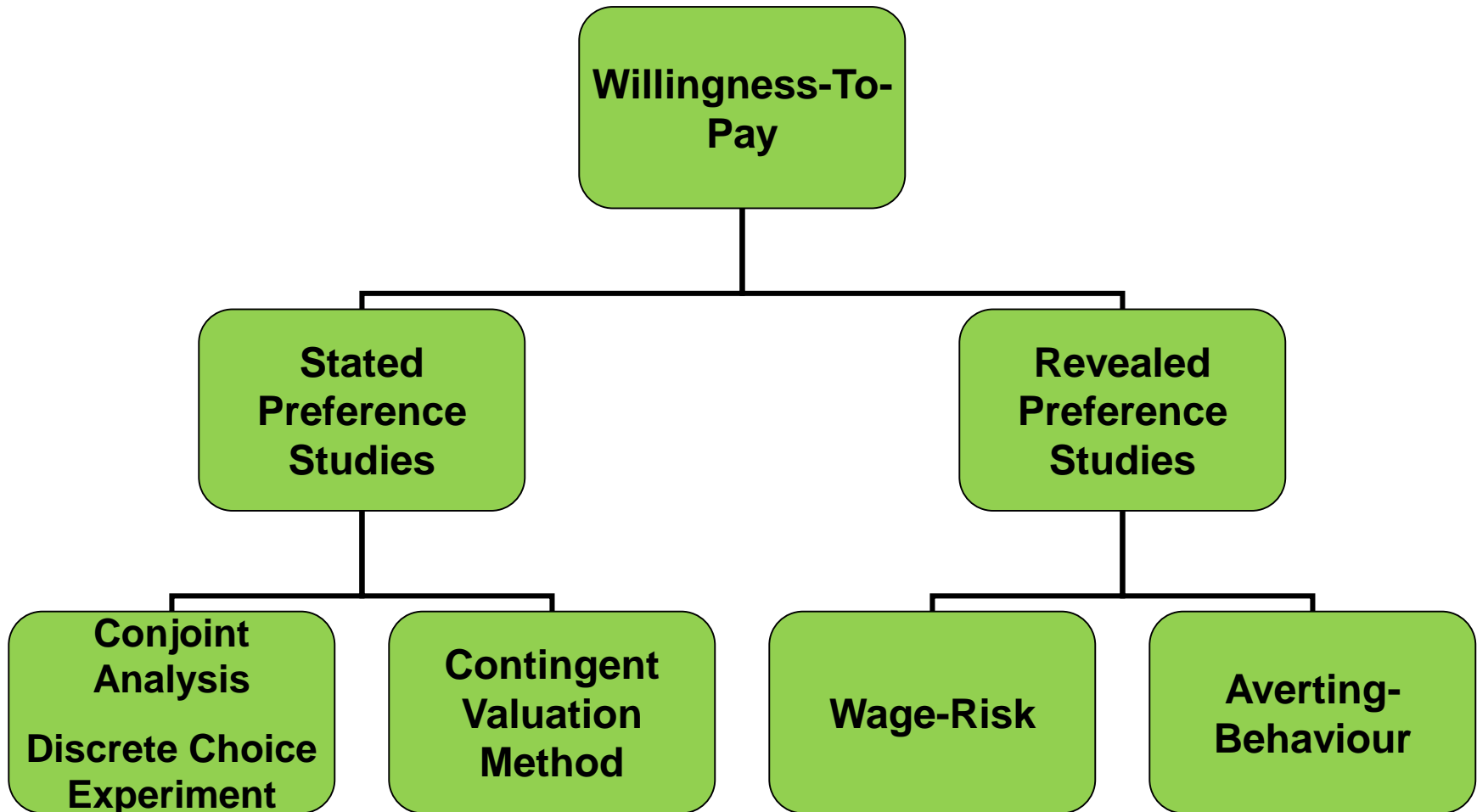
**Zahlungsbereitschaft
(„Nutzen“)**

Willingness-To-Pay

- Im Unterschied zum Vorgehen bei der Ermittlung von Nutzwerten, werden beim Verfahren der Zahlungsbereitschaft alle gesundheitlichen (und andere Effekte), **direkt in monetären Einheiten** bewertet
- Dieser Wert kann direkt als **Nutzen** interpretiert werden
- WTP dient als Überbegriff mehrerer Ansätze, welche herausfinden wollen, wie viel eine Person für ein bestimmtes Gut (z.B. gewonnene QALYs/ vermiedene DALYs) zu zahlen bereit ist

Hintergrund

- Die meisten ökonom. Evaluationen verwenden klinische Parameter oder Nutzwerte.
- Zunehmendes Interesse an Methoden zur direkten Messung des Nutzens in monetären Einheiten.
- Klinische Parameter und Nutzwerte berücksichtigen kaum relevante nicht gesundheitlichen Aspekte einer Intervention.
- Monetarisierung von menschlichem Leben erscheint oft ethisch fragwürdig → aber passiert auch in anderen Ansätzen
- Die meisten WTP Studien beschäftigen sich mit der Möglichkeit den Nutzen zu messen und sind keine wirklichen ökonom. Evaluationen



Revealed Preference Studies (I)

- Annahme: implizite Bewertung von Effekten auf die Lebensdauer und -qualität wird vorgenommen, ohne dass sich die Individuen dessen bewusst sind
- Indirekte Messung der Zahlungsbereitschaft durch Beobachtung tatsächlichen Verhaltens
- Beispiele:
 - Zusatz-Krankenversicherung wird von Individuen nachgefragt
→ Ermittlung des Wertes von zusätzlich gewährten Leistungen
 - Nachtzuschläge werden gezahlt, um Verluste an Lebensqualität auszugleichen
- **Wage-Risk-Studien** und **Averting-Behavior-Studien** sind auch auf Lebensdauer/-qualität anwendbar

Statistisches Leben: Bsp. Wage-risk

„Suppose jobs A and B are identical except that workers in job A have higher annual fatal injury risks such that, on average, there is one more job-related death per year for every 10 000 workers in job A than in job B, and workers in job A earn \$500 per year than those in job B. The implied value of statistical life is then 5 million for workers in job B who are each willing to forgo 500 per year for a 1-in-10 000 lower annual risk.“

Textauszug von Fisher et al. (1989), The value of reducing risks of death: a note on new evidence; *Journal of Policy and Management*. Zitiert nach Drummond et al. 2015

Revealed Preference Studies (II)

Vorteile:

- Keine aufwändigen Primärerhebungen nötig
- Keine Verzerrungen durch Methode der Befragung

Nachteile:

- Möglicherweise verzerrtes Bild (z.B. viele Faktoren beeinflussen Löhne)
- Risikoneigungen der Probanden
- Situationen sind nicht immer einfach zu konstruieren

The Value of Specialty Oncology Drugs

*Dana P. Goldman, Anupam B. Jena, Darius N. Lakdawalla,
Jennifer L. Malin, Jesse D. Malkin, and Eric Sun*

Objective. To estimate patients' elasticity of demand, willingness to pay, and consumer surplus for five high-cost specialty medications treating metastatic disease or hematologic malignancies.

Data Source/Study Setting. Claims data from 71 private health plans from 1997 to 2005.

Study Design. This is a revealed preference analysis of the demand for specialty drugs among cancer patients. We exploit differences in plan generosity to examine how utilization of specialty oncology drugs varies with patient out-of-pocket costs.

Data Collection/Extraction Methods. We extracted key variables from administrative health insurance claims records.

Principal Findings. A 25 percent reduction in out-of-pocket costs leads to a 5 percent increase in the probability that a patient initiates specialty cancer drug therapy. Among patients who initiate, a 25 percent reduction in out-of-pocket costs reduces the number of treatments (claims) by 1–3 percent, depending on the drug. On average, the value of these drugs to patients who use them is about four times the total cost paid by the patient and his or her insurer, although this ratio may be lower for oral specialty therapies.

Conclusions. The decision to initiate therapy with specialty oncology drugs is responsive to price, but not highly so. Among patients who initiate therapy, the amount of treatment is equally responsive. The drugs we examine are highly valued by patients in excess of their total costs, although oral agents warrant further scrutiny as copayments increase.

Key Words. Willingness to pay, economic analysis, cost–benefit analysis, oncology

Table 3: Annual Net Benefit Ratio for Specialty Oncology Drugs, Stratified by Drug Type

<i>Drug</i>	<i>N (Person-Years)</i>	<i>% of Patients for Whom Net Benefit Ratio < 1.0</i>	<i>Net Benefit Ratio (Annual WTP Divided by Total Spending)</i>					
			<i>Range</i>	<i>Mean</i>	<i>Percentile</i>			
					<i>25th</i>	<i>50th</i>	<i>75th</i>	<i>90th</i>
Rituximab	1,885	1.6	0.200–61.6	4.59	2.23	3.31	4.84	6.72
Nonrituximab (injectables)	129	23.3	0.200–70.2	3.06	1.20	2.25	3.58	6.30
Nonrituximab (orals)	664	55.0	0.166–57.1	1.10	0.739	0.963	1.20	1.51
All	2,678	26.1	0.166–70.2	4.04	1.72	2.90	4.46	6.21

Stated Preference Studies

- Annahme: Individuen bewegen sich in einem funktionierenden Markt
- Direkte Messung der Zahlungsbereitschaft durch explizite Bewertung eines hypothetischen Sachverhaltes
- Einfachstes Beispiel: Explizites Abfragen einer maximalen Zahlungsbereitschaft von Betroffenen

Vorteil:

Einfach durchführbar

Nachteil:

Verzerrungen durch strategisches Verhalten der Befragten

Contingent Valuation (I)

- Verschiedene Gesundheitszustände werden den Probanden vorgelegt, deren Bewertung anhand offener oder binärer Fragen geschieht

Zwei Alternativen:

- a) Maximalbetrag wird ermittelt, den eine Person für eine Verbesserung des Gesundheitszustandes zu zahlen bereit ist (willingness-to-pay)
- b) Es wird ermittelt, welchen Betrag eine Person als Entschädigung für eine bestimmte Verschlechterung ihres Gesundheitszustandes akzeptiert (willingness-to-accept)

Statistisches Leben: Bsp. contingent valuation

„Suppose that you are buying a particular make of car. You can, if you want, choose to have a new kind of safety feature fitted to the car at an extra cost. The next few questions will ask about how much extra you would be prepared to pay for some different types of safety feature. You must bear in mind how much you can personally afford.

As we said earlier, the risk of a car driver being killed in an accident is 10 in 100 000. You could choose to have a safety feature fitted to your car which would halve the risk of the car driver being killed, down to 5 in 100 000. Taking into account how much you can personally afford, what is the most that you would be prepared to pay to have this safety feature fitted to the car?”

Hypothetical example

Current risk of death without safety feature = 10 in 100 000

New risk with safety feature = 5 in 100 000 → reduction in risk (dR) 5 in 100 000

Maximum premium willing to pay (dV) = £50

Implied value of life = $dV/dR = £50/5 \times 10^{-5} = £ 1 \text{ m}$

Textauszug von Jones-Lee et al. (1985), The value of safety: results of a national sample survey. *Economic Journal*. Zitiert nach Drummond et al. 2015

Beispiele Fragen zur Ermittlung von Stated Preferences

- Offene Frage:
 - Wieviel wären Sie maximal bereit für einen Gesundheitszustand / eine Behandlung zu bezahlen?
 - Wieviel müsste man Ihnen mindestens zahlen um auf eine Behandlung zu verzichten?
- Geschlossene Frage:
 - Wären Sie bereit für diesen Gesundheitszustand / Behandlung 50 Euro zu bezahlen? Wenn ja: wären Sie bereit 60 Euro zu bezahlen?
 - Wären Sie bereit 50 Euro zu bezahlen? → Jeder Teilnehmer erhält nur eine Frage.

Anwendung WTP/WTA

Box 7.8 Use of willingness-to-pay and willingness-to-accept questions in the contexts of compensating variation and equivalent variation

Temporal perspective and Programme status:		Does this consumer gain or lose in utility from before–after change?	Compensating variation (CV)	Equivalent variation (EV)
Before	After		\$+/- required <i>after</i> the change to make utility same as before the change	\$+/- required <i>before</i> the change to make utility the same as after the change
Project A	No programme	Gain	A ₁ WTP: maximum amount that must be taken from gainer to maintain at current (before) level of utility	A ₃ WTA: minimum amount that must be paid to <i>potential</i> gainers to forgo the gain and make utility equal to what it would have been after the change
		Loss	A ₂ WTA: minimum amount that must be paid to loser to maintain at current (before) level of utility	A ₄ WTP: maximum amount that must be taken from <i>potential</i> loser to forgo the loss and make utility level equal to what it would have been after the change
Project B	Programme	Loss	B ₁ WTA: minimum amount that must be paid to loser to maintain at current (before) level of utility	B ₃ WTP: maximum amount that must be taken from <i>potential</i> loser to forgo the loss and make utility level equal to what it would have been after the change
		Gain	B ₂ WTP: maximum amount that must be taken from gainer to maintain at current (before) level of utility	B ₄ WTA: minimum amount that must be paid to <i>potential</i> gainers to forgo the gain and make utility equal to what it would have been after the change

From O'Brien and Gafni (1996).

Quelle: Drummond et al. 2015

Contingent Valuation (II)

Vorteil:

- Gegenüber direkt angegebener Zahlungsbereitschaft wird strategisches Verhalten erschwert

Nachteile:

- Unterschiedliche Ergebnisse je nach gewählter Methode möglich
- Ergebnisse sind sehr anfällig für Verzerrungen (range-bias, anchoring)

Conjoint-Analyse (CJ)

- Im Unterschied zur contingent valuation wird keine ganzheitliche Bewertung des Gutes (z.B. ein Medikament), sondern die Bewertung von Teilaspekten (z.B. Nebenwirkungen, Anwendung, etc.) angestrebt

Vorgehen:

- Das Produkt bzw. die Maßnahme wird in Eigenschaften zerlegt
- Diese Eigenschaften werden im nächsten Schritt unterschiedlich kombiniert (Bildung sog. Stimuli) und den Probanden zur Bildung eines **Rankings** bzw. **Ratings** vorgelegt


Discrete-Choice-Experiment (DCE)

- Stellt eine Weiterentwicklung der Conjoint-Analyse dar
- Das Verhalten von Individuen soll anhand von Präferenzen für Produkteigenschaften erklärt und vorausgesagt werden

Vorgehen:

- Das Produkt bzw. die Maßnahme wird in Eigenschaften zerlegt, welchen Ausprägungen zugewiesen werden.
- Diese Eigenschaften werden im nächsten Schritt unterschiedlich kombiniert (Bildung sog. Stimuli) und den Probanden zu einer konkreten **Entscheidung** vorgelegt

Beispiel Discrete Choice Experiment


The University of Sydney
PhD Research Study

	Medication A	Medication B
Symptom Severity	1 out of 10	7 out of 10
On medication, daily symptoms are now felt:	6 days per week	2 days per week
The severity of daily medication side effects	1 out of 10	4 out of 10
For every 100 people taking this medication, the number of people who will have unwanted effects in the next 10 years is:	35	95
For every 100 people with this illness, 85 will die in the next 10 years. On medication, this number reduces to:	65	65
The medication is taken:	Once a day	Once a day
Can you drink alcohol?	Yes	Yes
Your monthly cost for the medication:	\$10	\$50
Which would you prefer?	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

Would you continue taking both as the doctor suggested?

Yes

No

Quelle: Laba et al. 2012: Understanding rational non-adherence to medications. A discrete choice experiment in a community sample in Australia. BMC Fam Pract. 2012; 13: 61.

DCE können auch nicht-gesundheitliche Aspekte enthalten (etwa „Innovationskraft“) und werden dann auch „Multi-criteria decision analyses“ (MCDA) genannt

Table 1 Comparison of key features of cost-effectiveness analysis (CEA), benefit-cost analysis (BCA) and multi-criteria decision analysis (MCDA)

	CEA	BCA	MCDA
Benefits included	Health and direct economic consequences of changes in health (such as healthcare spending and productivity loss)	All health and non-health benefits (in practice, only a subset of them may be feasible to include)	All health and non-health benefits that are deemed important
Outcome of analysis	Ratio between net costs and net health gains	Ratio between monetised benefits and monetised costs	Multiple outcomes representing desirable objectives. They can in principle be integrated into a single outcome (e.g. by taking a weighted sum)
How the trade-off between health and consumption is expressed	Cost-effectiveness threshold, the maximum consumption that is judged to be worth foregoing to improve a unit of health	Individual willingness to pay to avoid loss of health	Explicit or implicit tariffs between different objectives
Source of values for the trade-off	Societal judgment, as expressed through a budget limit, an economic reference case, a committee's deliberations or other means	Individual stated or revealed preferences	Values elicited from stakeholders or members of the public

CJ-Analyse und DCE

Vorteile:

- Im Gegensatz zu anderen Methoden „Marginal-Betrachtung“ möglich
- Strategisches Verhalten ist schwierig

Nachteile:

- Großer Aufwand zur Erhebung
- Ggf. falsche Ergebnisse durch Aufteilung der Eigenschaften, falsches Setzen von Stimuli

Zusammenfassung

Klinische Parameter

Lebensqualität

Nutzwerte

**Zahlungsbereitschaft
(„Nutzen“)**

Zusammenfassung (I)

Wahl des Effektmaßes hängt von der Zielstellung der medizinischen Intervention bzw. des Programms ab

Klinische Parameter

Bsp.: Blutdruck in mmHg, Lungenfunktion in FEV₁, absolute Risikoreduktion, Überlebensraten, identifizierte Fälle in einem Screening-Programm

Vorteil: harter, quantifizierbarer Parameter, Zugang

Nachteil: nicht ausreichende Abbildung der Gesamteffekte einer Maßnahme

Zusammenfassung (II)

Gesundheitsbezogene Lebensqualität

Bsp.: SF-36, SF-12, Health Utility Index, EuroQoL

Vorteil: Effekte einer Maßnahme auf unterschiedliche gesundheitliche Dimensionen erfassbar

Nachteil: einzelne Dimensionen im Aggregat nicht mehr vergleichbar

Nutzwerte

Bsp.: QALYs, DALYs

Zweidimensionales Maß (Überleben und Präferenzen)

Vorteil: gesamter Gesundheitseffekt erfassbar

Nachteil: unterliegt einer Vielzahl von Annahmen

Zusammenfassung (III)

Nutzen: Monetarisierte Effekte

Sämtliche Dimensionen werden zu einem Parameter zusammengefasst

Vorteil: gesamter Gesundheitseffekt und andere nicht gesundheitsbezogene Aspekte sind erfassbar

Nachteil: Probleme, die sich aus der Methodik zur Messung der Zahlungsbereitschaft ergeben