

Att navigera i okända vatten med hjälp av hälsoekonomiska modeller

André Sjöberg

André Sjöberg, doktorand, Institutionen för Epidemiologi och Global Hälsa, Umeå Universitet. ORCID: 0009-0006-5434-912X. E-post: andre.sjoberg@umu.se.

För att fatta välgrundade beslut om resursfördelning krävs modeller som inte bara väger samman kostnader och hälsoutfall, utan också klarar att hantera både osäkerhet och komplexitet. Inom välfärdssektorn, där datatillgången ofta är begränsad och kunskapen om kausala samband osäker, ställs särskilda krav på beslutsfattare. I dessa sammanhang kan hälsoekonomiska modeller inte bara stödja prioriteringar, utan även bidra till större transparens och förståelse i beslutsprocessen. Den här texten belyser hur sådana modeller, när de tillämpas på rätt sätt, potentiellt kan stärka beslutsfattandet inom välfärdsområdet.

To make well-informed decisions about resource allocation, models are needed that not only synthesize costs and outcomes but also handle uncertainty and complexity. In the welfare sector, where data availability is often limited and knowledge of causal relationships is uncertain, decision-making becomes particularly challenging. In such contexts, health economic models can not only support prioritization but also enhance transparency and understanding of the decision-making process. This text highlights how these models, when applied appropriately, can strengthen decision-making within the welfare sector.

Vi lever i en komplex samtid där det blir allt svårare att förutse de långsiktiga effekterna av de beslut vi fattar. Beslutsfattande kan alltmer liknas vid en färd genom okända vatten. Hur kan vi fatta rimliga och välgrundade beslut om vår välfärd när konsekvenserna är så pass svåra att förutse? Ironiskt nog så är det inte en brist på data som är problemet, tvärtom, data finns det i överflöd (Kleerings et al., 2015). Det verkliga dilemmat handlar snarare om hur vi ska tolka och värdera den information vi redan har. För att kunna uppskatta vilken effekt de beslut vi fattar idag kommer att på lång sikt, så måste vi kunna kombinera olika typer av data från flera olika källor. Detta är en förutsättning för att beslutsfattare ska få tillgång till underlag som på ett realistiskt sätt speglar verkligheten. Detta är särskilt utmanande inom välfärdssektorn, där systemen är öppna och människors beteenden spelar en avgörande roll för en interventions framgång (Blackwood et al., 2010). Detta medför att en intervention, för att lyckas, ofta måste bygga på flera olika komponenter, vilket gör det mycket svårare att isolera de verksamma mekanismerna i en experimentell studie. Men dessa öppna system gör inte bara resultatmätning mer komplex, utan skapar också en mer mångfacetterad problembild.

Ett program för att minska missbruk kan till exempel ha långtgående effekter på individens hälsa, men kan även leda till stora samhällsvinster. När en person blir fri från missbruk minskar inte bara vårdkostnader, samtidigt minskar även risken för kriminalitet och individen får bättre förutsättningar att skaffa ett avlönat arbete. För en hälsoekonom med ett samhällsperspektiv är alla dessa utfall av intresse och bör inkluderas i beräkningarna (Brouwer & van Baal, 2023). Men denna typ av effekter visar sig dock ofta först långt in i framtiden, vilket gör det näst intill omöjligt att direkt observera dem. Det är inte heller ovanligt att resultat från olika studier är spretiga eller att den aktuella kontexten skiljer sig avsevärt från den där den ursprungliga studien genomfördes (Petticrew et al., 2013). Sammanfattningsvis så leder detta till att våra beslutsfattare behöver tillgång till en enorm mängd data, långt mer än vad någon enskilda studie någonsin kan erbjuda.

Det är utmanande att utvärdera komplexa samhällsinterventioner, det finns sällan tillräckligt med data och dess kvalitet är ofta bristfällig. Data kan ha låg validitet (resultaten mäter inte det vi behöver veta) eller låg reliabilitet (resultaten är osäkra och svåra att återskapa). Trots dessa utmaningar ställs beslutsfattare ofta inför situationer där de måste fatta beslut om resursfördelning här och nu, även när det nuvarande evidensläget är osäkert. Ett sätt att hantera denna osäkerhet är med hjälp av matematiska modeller och simuleringar. Dessa modeller skapar en artificiell miljö där vi kan uppskatta hur kostnadseffektiviteten hos olika insatser påverkas av de antaganden som görs i modellen.

Matematiska modeller som beslutsstöd

Det är viktigt att poängtera att en hälsoekonomisk analys framför allt är tänkt att fungera som ett stöd vid beslutsfattande. En modell kan aldrig ge en exakt bild av verkligheten, men kan ändå vara till stor hjälp när det gäller att fatta komplexa beslut. För att utvärdera kostnadseffektivitet så måste vi identifiera den insats med störst uppskattat netto nytta utifrån den information som finns tillgänglig. Beslut sker aldrig i ett vakuum, utan påverkas alltid av omständigheter, resurser och tidsramar. Detta medför att det inte alltid går att lösa osäkerheter genom att utreda dem *ad infinitum*, ibland krävs att vi fattar prioriteringsbeslut här och nu.

Ett nyckelbegrepp inom hälsoekonomin är alternativkostnad, vilket motsvarar värdet av det vi går miste om när vi väljer ett alternativ framför ett annat. En hälsoekonomisk analys utgår alltid från att vi måste välja mellan två och flera ömsesidigt uteslutande alternativ inom ramarna av en begränsad budget. Men om vi väljer att spendera våra resurser på intervention A så väljer vi också att avstå från intervention B. De hälso- eller välfärdsvinsterna som vi går miste om när vi väljer intervention A över intervention B motsvarar beslutets alternativkostnad. Även när vi väljer att avstå från en förändring så är detta ett beslut, ett beslut där vi väljer att använda resurserna för att upprätthålla den befintliga verksamheten, vilket i sin tur också får konsekvenser.

Alla prioriteringsbeslut fattas utifrån de förutsättningar som råder vid en given tidpunkt. En konsekvens av detta är att statistisk signifikans inte alltid är det mest relevanta verktyget för att bedöma trovärdigheten i resultaten från en hälsoekonomisk analys (Briggs et al., 2006). Oavsett hur stor den uppskattade skillnaden i hälsovinster och kostnader är mellan två alternativ, så speglar denna skillnad den förväntade netto nyttan för respektive alternativ, baserat på den information som fanns tillgänglig vid beslutstillfället. Om vi skulle avstå från en intervention enbart för att skillnaden inte är statistiskt signifikant, skulle vi i praktiken välja ett alternativ med lägre förväntad netto nytta. För en hälsoekonom är det därför mer relevant att värdera, bedöma och uppskatta osäkerheten i resultaten genom att analysera felmarginaler, snarare än att förlita sig på signifikansnivåer.

Crash-course i hälsoekonomiska modeller

En av de vanligaste modelleringsmetoden inom hälsoekonomin är så kallade 'Markovmodeller' (Brennan et al., 2006). Här skapar man ett stokastiskt system av definierade tillstånd, eller *states*, för att simulera olika scenarier över tid. Varje tillstånd representerar en specifik hälsosituation, som till exempelvis missbrukare, icke-missbrukare, återfallsmissbrukare, eller avliden. Modellen förflyttar sedan en del av personerna (transition probability) mellan de olika tillstånden

med ett givet tidsintervall (vanligtvis ett år). En viktig implikation och svaghet är att modellen i grunden är "minneslös", vilket innebär att den inte håller koll på individens väg genom modellen. Detta gör att de inte går att ta hänsyn till hur länge en person har befunnit sig i ett visst tillstånd eller hur många gånger en personen har varit i samma tillstånd tidigare, exempelvis vid återfall i missbruk.

Varje levnadsår som spenderas i ett specifikt tillstånd justeras med hjälp av en livskvalitetsvikt. Detta görs vanligtvis med hjälp av kvalitetsjusterade levnadsår (QALYs), som är ett utfallsmått som utvecklades för att möjliggöra jämförelser mellan olika sjukdomstillstånd. För att kunna göra detta så antas att värdet på en QALY alltid är en QALY, oavsett på vilket sätt eller av vem som denna QALY har intjänats (Whitehead & Ali, 2010). Detta innebär att två levnadsår med en livskvalitetsvikt på 0.5 är lika mycket värd som ett år med en livskvalitetsvikt på 1.0 (perfekt hälsa). Detta gäller även om vi jämför huvudvärkstabletter mot det senaste inom precisionsmedicin. Men att spendera ett levnadsår i ett specifikt tillstånd innebär inte enbart livskvalitetsvinster, det medför även kostnader. Personer i tillståndet 'icke-missbrukare' kanske har 10% arbetslöshet, medan personer i 'missbruk' har en arbetslöshet på 25%, skillnaden mellan dessa motsvarar en produktivitetsförlust. Men det kan även tillkomma andra kostnader, som till exempel högre vårdkostnader på grund av ökad psykisk ohälsa. Vilka kostnader som bör inkluderas avgörs av modellens perspektiv. Det är väldigt vanligt att ett samhällsperspektiv förespråkas, där alla relevanta kostnader ska inkluderas oavsett vars de uppstår. För en enskilds beslutsfattare kan dock vara mer intressant med ett betalarperspektiv, det vill säga vad kommer detta kosta min verksamhet? Vad som är det korrekta valet beror på kontexten där beslutet ska fattas. Modellen ska underlätta ett beslut, inte försvåra det.

För att kunna bygga en robust modell krävs en stor mängd data. Vi behöver demografisk data (könsfördelning, arbetslöshet, ålder), estimat för våra övergångssannolikheter (risken för återfall, antalet missbrukare i befolkningen) samt kostnadsuppskattningar (vårdkonsumtion, produktionsförlust) samt livskvalitetsvikter för alla tillstånd. För många parametrar kan det helt saknas information. Hur länge får en person nytta av en missbruksintervention, är det ett år, fem år, tjugo år, eller kanske hela livet? Vad händer med dem som återfaller i missbruk, återvänder de till samma liv, eller bär de fortfarande nytta av det de fick ta del av under interventionen? Hur många lyckas bli av med sitt missbruk efter ett återfall, och hur lång tid tar det i så fall? En modell vill inkludera alla relevanta kostnader och hälsovinster, vilket innebär att vi ofta är tvungna att använda långa tidshorisonter. Det är inte ovanligt att man modellerar personer över hela deras livstid. För att kunna bygga en modell så måste vi därför göra massvis med antaganden. Av praktiska skäl så baseras dessa ofta på informerade gissningar, snarare än vetenskaplig data.

Ett viktigt antagande i de flesta hälsoekonomiska modeller handlar om hur framtida kostnader och nytta ska diskonteras. Diskontering är en teknik som används för att ge mindre vikt åt framtida kostnader och nytta jämfört med det som uppstår idag (se ekvation 1). Anledningen till detta beror dels på alternativkostnaden, där vi skulle kunna använda resurserna för att investera i en annan intervention som ger nytta här och nu, dels på en medfödd mänsklig otålighet (time preference). Vi tenderar nämligen att värdera omedelbara nytta, kostnader och risker högre än sådana som uppstår i framtiden (Attema, 2012). Låt oss ta ett exempel, säg att en intervention kostar 1 000 kronor och producerar hälsovinster värda 2 QALYs per år. Efter fem utan diskontering skulle interventionen medfört kostnader på 5000 kr och hälsovinster på 10 QALYs. Med en diskonteringsränta på 5% är nuvärdet av dessa framtida QALYs ungefär 8.66 i stället för 10. På samma vis är den totala diskonterade kostnaden ungefär 4 330 konor i stället för 5 000 kronor.

$$\text{Nuvärdet av hälsovinster} = \sum_{t=1}^n \frac{10 \text{ QALYs}}{(1 + 0,05)^t} \quad (1)$$

Alla dessa antaganden gör att modeller på sätt och vis kan liknas vid en fabel, där man medvetet offrar realism och variation för att uppnå en tydlighet i berättelsen (Rodrik, 2015). Detta är både en svaghet och en nödvändighet. Kom ihåg att syftet med en hälsoekonomisk analys är att underlätta ett beslut som måste fattas här och nu. Vid alla beslutssituationer gör vi alltid massvis med antaganden, medvetet eller omedvetet. Skillnaden är att vi med en hälsoekonomisk modell måste vara explicita och göra antagandena kvantifierade och transparenta.

Osäkerhet och hypotetiska scenarier

Den evidensbaserade rörelsen (EBM/EBP etc) innefattar en sund skepticism mot institutionella sanningar och auktoritära experter, men inkluderar även en viss acceptans emot osäkerhet (Howick, 2015). Vi kan aldrig vara helt säkra att det nuvarande kunskapsläget berättar hela sanningen. En av modellernas stora styrkor är att kunna använda data från olika källor och från olika studietyper. Även om randomiserade kontrollerade studier ofta är de bästa för att utvärdera kausala samband, är de inte alltid möjliga att genomföra eller relevanta för just den specifika frågeställningen. Modellering står inte i konflikt med experimentella studier, utan bör snarare ses som ett komplement (Brennan & Akehurst, 2000). Men hälsoekonomer måste förlita sig på den kunskap som finns tillgänglig, vilket innebär att vi ibland måste förlita oss på osäkra och spretiga data.

Resultat från en kvantitativ studie presenteras nästan alltid tillsammans med en felmarginal. Storleken på denna felmarginal illustreras ofta med hjälp av ett konfidensintervall. Där ett smalare konfidensintervall betraktas som ett bättre konfidensintervall då de exkluderar fler falska värden (Morey et al., 2016). Ett 95%igt konfidensintervall innebär att om vi fortsätter dra stickprov från samma population, och räknar ut ett konfidensintervall för samtliga, förväntar vi oss att 95% av dessa intervall kommer innehålla det sanna populations medelvärdet. Men eftersom vi har tillgång till dessa osäkerhetsparametrar kan vi inte betrakta alla parametrar i en modell som likvärdiga. Precis som med ränta-på-ränta-effekten växer den totala osäkerheten exponentiellt ju fler osäkra parametrar vi inkluderar i modellen. Hur parametrarna samspelar över längre tidsperioder är inte heller så lätt att förutse. Detta gör modellering till något av en balansakt. Vi vill inte bygga en alltför enkel modell, eftersom den då riskerar att ge en missvisande bild av verkligheten. Samtidigt vill vi inte skapa en alltför osäker modell, eftersom den inte kommer att ge tillförlitliga resultat.

Det finns nästan alltid någon eller några parametrar som "driver" modellen. Där en liten justering i en av dessa kritiska antaganden kan medföra en markant skillnad i modellens resultat (Rodrik, 2015). För att identifiera dessa kritiska antaganden kan vi använda oss av känslighetsanalyser. En känslighetsanalys kan ses lite som en modern applicering av Ockhams rakkniv, en filosofisk princip som strävar efter enkelhet genom att eliminera onödiga antaganden (Piasini et al., 2023). Vid en känslighetsanalys justeras parametrarna systematiskt för att se hur slutresultatet påverkas. Detta gör att vi kan särskilja de mest kritiska parametrarna från de mindre viktiga och det är dessa parametrar som vi bör granska noggrannast. En känslighetsanalys löser inte problemet med osäkra data, men hjälper oss åtminstone att illustrera modellens känslighet.

Det finns även andra metoder för att hantera osäkerhet, en av dessa är scenarioanalyser, vilket kan ses som en kombination av flera känslighetsanalyser. Vid en scenarioanalys så bygger vi olika hypotetiska scenarion, där vi justerar flera olika parametrar samtidigt. Detta kan ge oss en tydligare bild av hur olika parametrar samverkar för att påverka kostnader och effekter. Genom att utforska flera möjliga framtida scenarion kan man bättre förstå de potentiella riskerna med beslutet. För beslutsfattare kan det vara användbart att också genomföra en tröskelanalys, där man undersöker under vilka vars gränserna går för att kostnaderna skulle vara för höga för att rättfärdiga en viss insats.

Genom att använda olika typer av känslighetsanalyser kan vi studera hur mycket resultatet "vibrerar" beroende på vilka antaganden vi gör (Ioannidis et al., 2014). Detta ger oss en indikation på resultatets robusthet och trovärdighet. Både känslighetsanalyser och scenarioanalyser är exempel på vad som kallas deterministiska känslighetsanalyser, men det finns även probabilistiska känslig-

hetsanalyser. I stället för att manuellt justera parametrarnas värden så används en sannolikhetsfördelning för att simulera olika värden (Hatswell et al., 2018). Ett annat sätt att öka trovärdigheten i en hälsoekonomisk modell är att använda konservativa antaganden. Detta innebär att man applicerar mer "negativa" antaganden för osäkra parametrar som rör interventionen, och mer "försiktiga" antaganden för den befintliga praxisen. Detta görs inte för att öka realismen i modellen, utan snarare för att öka trovärdigheten hos avsändare. Detta är framför allt viktigt när vi undersöker en ny insats som konkurrerar mot en redan välfungerande sedvanlig verksamhet. Det finns ofta visst motstånd mot förändring, men kan vi visa att den nya interventionen är kostnadseffektiv även under konservativa antaganden så ökar trovärdigheten av analysen.

Sammanfattning

Ibland känns det lättare att spela på hästar än att förutse effekterna av komplexa interventioner. Trots detta, så tvingar verkligheten oss ibland att fatta beslut, även då vi saknar fullständig information. Det är inte ovanligt att matematiska modeller och algoritmer ibland möter motstånd när de ska implementeras, trots att de har många fördelar jämfört med att förlita sig enbart på intuition vid viktiga beslut (Meehl, 1954).

Det är viktigt att inte enbart prata om kostnadseffektivitet som ett tekniskt problem, med enkla rätt eller fel-svar (Devlin et al., 2024). Alla typer av beslut innebär någon form av subjektiva bedömningar. Men matematiska modeller tvingar oss att vara explicita i våra antaganden, vilket också belyser var vi saknar kunskap. Även osäkra resultat öppnar upp för en mer konstruktiv debatt om de antaganden som ligger till grund för ett beslut. Alla modeller kräver förenklingar och antaganden, och det är inte rationellt att förkasta en modell enbart för att vissa av dessa antaganden inte är helt realistiska. Det är genom förenklingar som vi gör det komplexa begripligt. Som George Box en gång sa: "Alla modeller är felaktiga, men vissa är användbara" (Box, 1979). Fundera i stället på hur resultatet skulle påverkas om de mest kritiska antagandena inte håller.

Modeller är ett användbart verktyg som kan hjälpa oss att fatta mer välgrundade beslut, samtidigt som de ökar transparensen i beslutsprocessen. När vi seglar använder vi sjökort för att hitta vägen, trots att vi vet att de ibland kan vara missvisande. Vi måste fortfarande använda våra sinnen för att säkert navigera båten. På samma sätt kan modeller hjälpa oss att fatta beslut. De kan visa var de största hindren och strömmarna finns, men det är fortfarande upp till oss att navigera rätt och komma fram till rätt beslut.

Referenser

- Attema, A. E. (2012). Developments in time preference and their implications for medical decision making. *Journal of the Operational Research Society*, 63(10), 1388–1399. <https://doi.org/10.1057/jors.2011.137>
- Blackwood, B., O'Halloran, P., & Porter, S. (2010). On the problems of mixing RCTs with qualitative research: The case of the MRC framework for the evaluation of complex healthcare interventions. *Journal of Research in Nursing*, 15(6), 511–521. <https://doi.org/10.1177/1744987110373860>
- Box, G. (1979). Robustness in the Strategy of Scientific Model Building. In R. L. Launer & G. N. Wilkinson (Eds.), *Robustness in Statistics* (pp. 201–236). Academic Press. <https://doi.org/10.1016/B978-0-12-438150-6.50018-2>
- Brennan, A., & Akehurst, R. (2000). Modelling in health economic evaluation. What is its place? What is its value? *Pharmacoeconomics*, 17(5), 445–459. <https://doi.org/10.2165/00019053-200017050-00004>
- Brennan, A., Chick, S. E., & Davies, R. (2006). A taxonomy of model structures for economic evaluation of health technologies. *Health Economics*, 15(12), 1295–1310. <https://doi.org/10.1002/hec.1148>
- Briggs, A., Claxton, K., & Sculpher, M. (2006). *Decision Modelling for Health Economic Evaluation* (1st edition). Oxford University Press.
- Brouwer, W., & van Baal, P. (2023). Moving Forward with Taking a Societal Perspective: A Themed Issue on Productivity Costs, Consumption Costs and Informal Care Costs. *Pharmacoeconomics*, 41(9), 1027–1030. <https://doi.org/10.1007/s40273-023-01307-1>
- Devlin, N. J., Drummond, M. F., & Mullins, C. D. (2024). Quality-Adjusted Life Years, Quality-Adjusted Life-Year-Like Measures, or Neither? The Debate Continues. *Value in Health: The Journal of the International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research*, 27(6), 689–691. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2024.04.021>
- Hatswell, A. J., Bullement, A., Briggs, A., Paulden, M., & Stevenson, M. D. (2018). Probabilistic Sensitivity Analysis in Cost-Effectiveness Models: Determining Model Convergence in Cohort Models. *Pharmacoeconomics*, 36(12), 1421–1426. <https://doi.org/10.1007/s40273-018-0697-3>
- Howick, J. (2015). *The Philosophy of Evidence-Based Medicine*.
- Ioannidis, J. P. A., Greenland, S., Hlatky, M. A., Khoury, M. J., Macleod, M. R., Moher, D., Schulz, K. F., & Tibshirani, R. (2014). Increasing value and reducing waste in research design, conduct, and analysis. *The Lancet*, 383(9912), 166–175. [https://doi.org/10.1016/S0140-6736\(13\)62227-8](https://doi.org/10.1016/S0140-6736(13)62227-8)
- Klerings, I., Weinhandl, A. S., & Thaler, K. J. (2015). Information overload in healthcare: Too much of a good thing? *Zeitschrift Fur Evidenz, Fortbildung Und Qualitat Im Gesundheitswesen*, 109(4–5), 285–290. <https://doi.org/10.1016/j.zefq.2015.06.005>
- Meehl, P. E. (1954). *Clinical versus statistical prediction: A theoretical analysis and a review of the evidence* (pp. x, 149). University of Minnesota Press. <https://doi.org/10.1037/11281-000>
- Morey, R. D., Hoekstra, R., Rouder, J. N., Lee, M. D., & Wagenmakers, E.-J. (2016). The fallacy of placing confidence in confidence intervals. *Psychonomic Bulletin & Review*, 23(1), 103–123. <https://doi.org/10.3758/s13423-015-0947-8>
- Petticrew, M., Anderson, L., Elder, R., Grimshaw, J., Hopkins, D., Hahn, R., Krause, L., Kristjansson, E., Mercer, S., Sipe, T., Tugwell, P., Ueffing, E., Waters, E., & Welch, V. (2013). Complex interventions and their implications for systematic reviews: A pragmatic approach. *Journal of Clinical Epidemiology*, 66(11), 1209–1214. <https://doi.org/10.1016/j.jclinepi.2013.06.004>
- Piasini, E., Liu, S., Chaudhari, P., Balasubramanian, V., & Gold, J. I. (2023). How Occam's razor guides human decision-making. *bioRxiv*, 2023.01.10.523479. <https://doi.org/10.1101/2023.01.10.523479>
- Rodrik, D. (2015). *Economics Rules: The Rights and Wrongs of the Dismal Science* (First Edition). W. W. Norton & Company.
- Whitehead, S. J., & Ali, S. (2010). Health outcomes in economic evaluation: The QALY and utilities. *British Medical Bulletin*, 96(1), 5–21. <https://doi.org/10.1093/bmb/ldq033>