Gyógyszerészet 50. 555–557. 2006.

Hatásosság versus hatékonyság. Értjük, avagy félreértjük egymás szavát?

Herczeg Balázs és dr. Vincze Zoltán

Bevezetés

Jelenleg az egészségügyi ellátásban alkalmazott gazdasági irányító mechanizmusok legtöbbje magától értetődőnek tartja, hogy minden eljárás, minden helyzetben és minden betegnek *a priori* jót tesz. Ugyanakkor az egészségügyi szolgáltatások komoly hányadának a hatásossága a vizsgálatok szerint megkérdőjelezhető és esetleg többet árt, mint használ, sőt rutin körülmények között alkalmazva klinikailag számottevő egészségjavulást sem lehet elérni [1, 2]. *Archie Cochrane* könyvében már 30 évvel ezelőtt kitartóan érvelt amellett, hogy az egyes gyógyító-megelőző eljárások hatásosságát és költséghatékonyságát is mérni kell, és a rendelkezésre álló forrásokat a kapott eredmények ismeretében kell használni.

Jelen dolgozatunkban néhány gyakran használt szakkifejezés értelmét szeretnénk megvilágítani és ösztönözni azok pontos, szabatos használatára.

Hatásosság

A hatásosság mérésének jelenleg alkalmazott eszközei a klinikai kutatások. A klinikumban jelenleg a randomizált kontrollált klinikai vizsgálatok (RCT) eredményei képezik az ún. *gold standardot* és minden más vizsgálat adatait ehhez mérik [3]. A szigorúan ellenőrzött feltételekkel és beválogatási kritériumokkal rendelkező RCT-k szolgáltatják ugyanis a legrelevánsabb információt az eljárások hatásosságáról (*efficacy*) és relatív ártalmatlanságáról (*safety*).

A mindennapos egészségügyi ellátás érdekében azonban fontos megkülönböztetni az ideális (kontrollált) körülmények között elérhető teljesítményt a hétköznapi, rutin körülmények között elérhető teljesítménytől [4]. Szükség van erre azért, mert az ideális körülmények között elérhető teljesítmény általában nem érhető el rutin körülmények között, aminek komoly terápiás, gazdasági, sőt társadalmi következményei is lehetnek. Az ideális körülmények közötti hatásosság (*efficacy*) és a rutin körülmények közötti hatásosság (*effectiveness*) fogalma közös abban, hogy mindkettő arra fókuszál: egy tevékenység, terápiás eljárás, gyógyszeres kezelés mennyire éri el a kitűzött célt [5]. Ugyanakkor e két fogalom elkülönítése nem is annyira triviális.

Például a vesetranszplantáció területén az RCT-k eredményei több okból is kiegészítésre szorulnak [9]. A vesetranszplantációs randomizált kontrollcsoportos klinikai vizsgálatok legtöbbször kis vagy közepes létszámú csoporttal folynak (maximum 200 beteg/csoport). Emellett esetenként igen magas a vizsgálati gyógyszert vagy kontrollterápiát abbahagyó betegek száma, hiszen a terápiás kudarc akár fatális kimenetelű is lehet. A követési idő 6 hónaptól maximálisan 3 évig terjed, általában egyéves eredményekre fókuszálva, ugyanakkor a klinikumot és a betegeket nyilvánvalóan a hosszú távú

Randomizált, kontrollált klinikai vizsgálat: (randomized controlled clinical trial – RCT): olyan kísérleti vizsgálat, amelyben egy egészségügyi beavatkozás biztonságosságának és/vagy hatásosságának vizsgálata során a résztvevőket véletlenszerűen két vagy több csoportba, a kísérleti és a kontroll csoportba sorolják, és összehasonlítják a két csoportban elért eredményeket. A véletlenszerű soroláshoz számos módszert használhatnak, mint pl. számítógép által generált random számok. A bizonyítékokon alapuló orvoslásban (evidence based medicine – EBM) a legmagasabb szintű tudományos bizonyítékokat a nagy mintaelemszámú (lehetőleg multicentrikus), jól megtervezett és végrehajtott RCT-k szolgáltatják, amelyeknél a randomizáció biztosítja, hogy az adott kísérleti csoportok lényeges tulajdonságaikat tekintve azonosak. Így az egyetlen különbség az, hogy az egyik csoport részesül a terápiában, a másik nem, így várhatólag a két csoport közt jelentkező különbséget az alkalmazott terápia okozza.

Az *egyszeres vak kísérlet* során a páciens nem tudja, melyik csoportba kerül, a *duplavak* módszer esetén a kezelőorvos sem tudja, hogy melyik páciens milyen terápiában részesül. (A *háromszoros vak módszer* esetén pedig még az eredményt értékelők sem tudják, hogy melyik csoportot értékelik.)

Szisztematikus (rendszerezett) irodalmi áttekintés („systematic review”): azok a *rendszerezett* irodalmi összefoglalók, melyek előre meghatározott, igényes tudományos módszertannal dolgozzák fel az összes elérhető szakirodalmat, hogy elkerüljék az irodalmi összefoglalók („review”-k) leggyakoribb hibáit (pl. a publikációs hibából adódó közlési elfogultságot). A módszeres irodalmazást követően a tudományos közleményeket előre meghatározott feltételek alapján minőségi elemzésnek vetik alá, és a megfelelő vizsgálatok eredményeit kvalitatív, vagy kvantitatív (meta-analízis) módszerrel összesítik. Ilyen rendszerezett irodalmi áttekintések találhatók a Cochrane Könyvtárban is.

Meta-analízis: a rendszerezett irodalmi áttekintések során alkalmazott statisztikai módszer. Segítségével kvantitatívan összesítik a különböző tanulmányok végeredményét. A statisztikai összesítés során az egyes tanulmányok eltérő súllyal szerepelnek. A meta-analízis valójában a különböző vizsgálatok adatait és eredményeit statisztikailag is összesítő és értékelő szisztematikus irodalmi áttekintés.

E három metódus segítségével képezhetők a legjobb minőségű bizonyítékok az adott terápiára vonatkozóan.

kimenetel, a graft (szerv)- és a betegtúlélés érdekli (kemény végpont – *hard end point*). A veseátültetést követő gyógyszeres terápiákkal végzett klinikai vizsgálatok végső következtetései legtöbbször ún. közbülső végpontokra (*intermediate outcomes*) hagyatkoznak. Ám abban az esetben, ha egy új gyógyszer egy közbülső végpontot javít (pl. akut rejekció), míg egy másikat ront (pl. poszttranszplantációs diabetes mellitus vagy szérum koleszterinszint), nagyon nehéz megállapítani, hogy a szóban forgó gyógyszer valóban javítja-e a beteg életkilátásait, életminőségét (kemény végpontok).

A szervátültetés területén – ellentétben sok más területtel, rendelkezésre áll többféle, széleskörű és pontos adatokat tartalmazó transzplantációs adatbázis (ún. regiszterek), amelyek révén rutin adatok nyerhetők az egyes terápiákra vonatkozóan. Az RCT/regiszter vonatkozásában a különbség – erősen leegyszerűsítve – úgy is megfogalmazható, hogy a klinikai vizsgálatokból ideális adatok (*efficacy*), a regiszterekből pedig rutin adatok (*effectiveness*) nyerhetők, s így az adott terápia valós értékére következtethetünk. E fenti két kifejezést gyakran nevezik hatékonyságnak is, ami helytelen [4, 6].

Hatékonyság

A magyar közgazdasági szakirodalom a helyes értelemben használja a hatékonyság kifejezést, azonban a köznyelv és az orvos- illetve a gyógyszerésztársadalom jó része a terápia várható hatását is hatékonyságnak nevezi, így ugyanazzal a kifejezéssel illetnek két különböző fogalmat. E két fogalom keveredése azonban nem csak hazánkra jellemző: az angol köznyelv az *efficacy/effectiveness* és *efficiency* szavakat ugyanúgy szinonimának tekinti és szabadon cserélgetve használja. Ékes példája ennek az angol-magyar szótár, de nem leszünk sokkal okosabbak, ha például egy angol-magyar gazdasági szótárban próbáljuk az említett szavak jelentését megkeresni. Az angol egészség-gazdaságtani szaknyelv természetesen igazodik az általános közgazdasági szaknyelvhez, és helyes értelemben használja a kifejezéseket.

A magyar szakmai közéletben egy rossz fordítás nyomán terjedt el a klinikai hatékonyság (*clinical effectiveness*) fogalom [4, 6] is, amely a fent leírt *effectiveness*-fogalom ismeretében nehezen értelmezhető, annak jelentése nem világos, így használata nem javasolt. Ugyanis bármelyik hatásosság-fogalom csak az eredményoldalt veszi figyelembe, míg a hatékonyság (*efficiency*) közgazdasági fogalom, a ráfordítás és az eredmény viszonyát írja le, vagyis a kívánt eredmény eléréséhez szükséges költséget is vizsgálja [5, 7]. A hatékonyság természetéből adódik, hogy csak összehasonlításban értékelhető.

A közgazdaságtan a hatékonyságnak több szintjét különíti el: az erőforrások hatékony felhasználása – ez fokozottan vonatkozik az egészségügyre – egyidejűleg teljesíti mindegyik szintet.

A hatékonyság kifejezést több tudományterület használja. Az egészség-gazdaságtan hatékonyság fogalma az általános közgazdaságtan hatékonyság-értelmezésére épül és annak megfelelően az elért eredményeket a felhasznált erőforrásokhoz viszonyítva írja le.

A hatékonyság közgazdasági értelmezése a következőket jelenti:

a) Ne pazaroljuk erőforrásainkat, minden terméket, szolgáltatást a legkisebb költséggel állítsunk elő [8]. Ez a termékek előállítására, a termelésre vonatkozik, ezért jellemzően a *termelési hatékonyság* (*production efficiency*) kifejezést használják a leírására. Bármilyen termék előállítása is történik, az akkor hatékony, ha az erőforrások olyan kombinációját alkalmazzák, amely a termék előállítását a legkisebb költséggel teszi lehetővé. Ez az értelmezés azonban nem foglalkozik azzal a kérdéssel, hogy a termék előállítása menynyire kívánatos, hogy azt a társadalom tagjai mennyire értékelik.

b) Azokat a terméktípusokat és mennyiségeket állítsuk elő, amelyeket az emberek a legtöbbre értékelnek [8]. A hatékonyság második szintje, amelyet *allokációs hatékonyságnak* (*allocative efficiency*) nevezik, egyesíti magában a termékek előállítását és azok fogyasztását is. Minden egyén a rendelkezésre álló forrásból azokat a termékeket vásárolja meg, amelyeket a legtöbbre értékel. A termelők pedig olyan mennyiségben állítják elő ezeket a termékeket, amilyen mennyiségben a társadalom tagjai azt hajlandók fogyasztani. A termelési és az allokációs hatékonyság elkülönítésének alapvető kritériuma az, hogy az utóbbi az egyéni (vagy társadalmi) preferenciákat is magába foglaló értékelését adja a felhasznált erőforrások allokációjának. Ezen preferenciák milyensége és kifejezésük módja értékválasztási kérdés.

A három angol nyelvi terminus szabatos magyar fordítása éles polémiát váltott ki az utóbbi években a hazai egészségügyi közgazdász szakemberek között, amelynek végeredményeként az a megegyezés született, hogy az *efficacy*-t *hatásosságnak*, az *effectiveness*-t *eredményességnek*, míg az *efficiency*-t *hatékonyságnak* nevezik el.

Költséghatékonyság

A közgazdasági értékelés (*economic evaluation*) alapvetően hatékonyságértékelés, amely az egészségügyben két vagy több egészségügyi eljárás összehasonlítását jelenti azok eredménye és költsége vonatkozásában [8]. A közgazdasági értékelés több módszerét dolgozták ki. Mindegyik módszerben közös, hogy az egyik oldalon a költségeket, a másik oldalon pedig az eredményeket fejezik ki valamilyen mértékegységben. A költ-

ség-haszon elemzésben (*cost-benefit analysis*) az eredményt (a hasznot) pénzben fejezik ki, a költség-hasznosság elemzésben (*cost-utility analysis*) az egészségnyereséget számszerűsítik (pl. QALY-ban), a költséghatásosság (*cost-efficacy analysis*) és a költség-eredményesség (*cost-effectiveness analysis*) elemzéseknél a következményeket természetes, legtöbbször egydimenziós egységekben (fiziológiai paraméterek, megnyert életévek stb.) fejezik ki. E két utóbbi analízis csak annyiban különbözik egymástól, hogy az egyik esetben az eredmények klinikai vizsgálatokból származnak, a másik esetben – elméletileg – valós, rutin körülmények között nyert adatokon alapulnak. Gyakran előfordul persze, hogy a költség-eredményesség vizsgálatokban is klinikai vizsgálatokból nyert adatokat használnak fel.

Látható, hogy a hatékonyság értékelésére használt elemzési típusok egyik angol elnevezésében sem szerepel a hatékonyság (*efficiency*) kifejezés. Az angol szaknyelv a *cost-effective* megnevezést használja, ha egy eljárás alacsonyabb költséggel éri el ugyanazt a hatást, gyakran függetlenül attól, hogy az elemzési típusok közül melyiket alkalmazták [8].

A magyar szakirodalomban a *cost-effectiveness analysis* egy rossz fordítás eredményeképpen költséghatékonyság elemzésként terjedt el, ez azonban félreértésekre adhat okot, mert ezáltal némelyek azt gondolják, hogy az *effectiveness* szó hatékonyságot jelent [8].

A költséghatékonyság kifejezés azonban széles körben elterjedt, ezért annak elhagyása nem igazán lehetséges, de nem is indokolt, hiszen alapvetően nem téves a használata. A szakemberek javasolják gyűjtőfogalomként való használatát, vagyis a költséghatékonysági elemzés vonatkozzék mindhárom közgazdasági elemzési típusra (a költség-haszon elemzési típus nélkül) [8]. Ebből következően költséghatékony (*cost-effective*) az az eljárás, amelyik egy költség-hatásosság, költség-eredményesség vagy egy költség-hasznosság analízis során jobbnak bizonyult az összehasonlításban szereplő más eljárásoknál.

A hatásosság és a hatékonyság egyértelmű elkülönítésének azonban nemcsak tudományos (a szakemberek értsék egymást), de egészségpolitikai jelentősége is van, hiszen a közfinanszírozott egészségügyben minden járulékfizető elemi érdeke, hogy a gyógyszereknek (és más gyógyító eljárásoknak) ne csak a hatásosságát, eredményességét, hanem a hatékonyságát is figyelembe vegyék a rendelkezésre álló pénzek elköltésekor. Sőt a döntéshozó számára igazából nem is az a fontos, hogy egy terápia ideális körülmények között képes-e a kívánt hatás elérésére, hanem az a lényeges, hogy a rutin gyakorlatban használva milyen hatást fejt ki.

IRODALOM

Az 1–9. sz. irodalom az MGYT honlapjáról (www.mgyt.hu) letölthető és kérésre a szerkesztőség az érdeklődőknek megküldi.

B. Herczeg and Z. Vincze: ***Efficacy versus efficiency. Getting or passing each other?***

Semmelweis Egyetem Gyógyszerésztudományi Kar, Egyetemi Gyógyszertár Gyógyszerügyi Szervezési Intézet, Budapest Hőgyes E. u. 7–9. – 1097

MEGHÍVÓ

a Kazay Endre születésének 130. évfordulója alkalmából szervezett tisztelgő látogatásra és Kazay Emléktúrára

Szeptember 22-én (péntek) du. 4 órától koszorúzás lesz Vértesacsán, Kazay sírjánál, egyben néhány fiatal, gyógyszertárban dolgozó gyógyszerésznek – a hétköznapi munkánál kicsit többet teljesítő személyeknek – szerény pénzügyi támogatás átadására is sor kerül.

Szeptember 23–25. között „Látogatás Erdélybe – egy körút Kazay nyomában" címmel különleges programot szervez a „Vértesacsai Kazay Gyógyszerészeti Alapítvány", az MGYT Gyógyszerésztörténeti Szakosztályának és a Magyar Gyógyszerésztörténeti Társaság egyetértő támogatásával.

Az emléktúra főbb állomásai: Nagybánya, Marosludas, Szilágysomlyó, Vaskoh, Kolozsvár, Gyanta.

Indulás Budapestről szeptember 23-án reggel 6 órakor. Visszaérkezés 25-én hétfőn az esti órákban.

A részvételi díj a jelentkezők számának ismeretében válik véglegessé.

További részleteket az érdeklődőknek közvetlenül küldünk, illetve a 22-353-143 tel/faxon adunk.

Részvételi szándékát legkésőbb szeptember 1-ig szíveskedjék jelezni.

Dr. Burgetti László
a Kuratórium elnöke