

newborn suffers from breathing problems. Diagnostic work-up includes flexible laryngoendoscopy followed by MRI- or CT-scan. Treatment is usually surgical.

LITERATUUR

- ¹ Prescott CAJ. Nasal obstruction in infancy. Arch Dis Child 1995;72:287-9.
- ² Shott SR, Myer 3rd CM, Willis R, Cotton RT. Nasal obstruction in the neonate. Rhinology 1989;27:91-6.
- ³ Coates HL. Nasal obstruction in infancy. Practical pediatric otolaryngology. Vol 27. Philadelphia: Lippincott-Raven; 1999. p. 449-68.
- ⁴ Coates HL. Nasal obstruction in the neonate and infant. Clin Pediatr (Phila) 1992;31:25-9.
- ⁵ Friedman NR, Mitchell RB, Bailey CM, Albert DM, Leighton SEJ. Management and outcome of choanal atresia correction. Int J Pediatr Otorhinolaryngol 2000;52:45-51.
- ⁶ Josephson GD, Vickery CL, Giles WC, Gross CW. Transnasal endoscopic repair of congenital choanal atresia: long-term results. Arch Otolaryngol Head Neck Surg 1998;124:537-40.
- ⁷ Källén K, Robert E, Mastroiacovo P, Castilla EE, Källén B. CHARGE association in newborns: a registry-based study. Teratology 1999;60:334-43.
- ⁸ Henger AS, Strome M. Choanal atresia: a new embryologic theory and its influence on surgical management. Laryngoscope 1982;92:913-21.
- ⁹ McLeod IK, Brooks DB, Mair EA. Revision choanal atresia repair. Int J Pediatr Otorhinolaryngol 2003;67:517-24.
- ¹⁰ Abbeele T van den, Triglia JM, Francois M, Narcy P. Congenital nasal pyriform aperture stenosis: diagnosis and management of 20 cases. Ann Otol Rhinol Laryngol 2001;110:70-5.
- ¹¹ Losken A, Burstein FD, Williams JK. Congenital nasal pyriform aperture stenosis: diagnosis and treatment. Plast Reconstr Surg 2002;109:1506-11.
- ¹² Rollins N, Booth T, Biavati M. Case 40: congenital pyriform aperture stenosis. Radiology 2001;221:392-4.
- ¹³ Ramadan HH, Ortiz O. Congenital nasal pyriform aperture (bony inlet) stenosis. Otolaryngol Head Neck Surg 1995;113:286-9.
- ¹⁴ Brown OE, Myer 3rd CM, Manning SC. Congenital nasal pyriform aperture stenosis. Laryngoscope 1989;99:86-91.
- ¹⁵ Batsakis JG, el-Naggar AK, Luna MA. Teratomas of the head and neck with emphasis on malignancy. Ann Otol Rhinol Laryngol 1995;104:496-500.
- ¹⁶ April MM, Ward RF, Garelick JM. Diagnosis, management, and follow-up of congenital head and neck teratomas. Laryngoscope 1998;108:1398-401.
- ¹⁷ Ducic Y. Nasal gliomas. J Otolaryngol 1999;28:285-7.
- ¹⁸ Wang DY, Bernheim N, Kaufman L, Clement P. Assessment of adenoid size in children by fiberoptic examination. Clin Otolaryngol 1997;22:172-7.
- ¹⁹ Kuijck MAP van, Verbeek AM, Klevering BJ, Semmekrot BA. Dysmorfe gelaatskenmerken door gecompliceerde congenitale traanbuisobstructie. Ned Tijdschr Geneesk 2000;144:873-7.

Aanvaard op 5 november 2003

Commentaren

Kostenutiliteit op waarde geschat; een nuttige basis van bewijs voor keuzen in beleid

E. BUSKENS

Het artikel over kostenutiliteitsanalyse van De Neeling elders in dit nummer geeft een breed overzicht van de stand van de wetenschap op dit specifieke terrein.¹ Vooral met als doel de methoden en een aantal kernbegrippen te introduceren en inzichtelijk te maken werden eerder in het Tijdschrift doelmatigheid en kosteneffectiviteit al eens beknopt aan de orde gesteld.² In tegenstelling tot het laatstgenoemde overzichtsartikel stelt het nu gepubliceerde artikel zich tot doel van één bepaalde vorm van economische evaluatie de beperkingen aan te geven.¹ Echter, de breedte en daarmee noodzakelijke beknoptheid leiden ertoe dat een belangrijk deel van de nuancering en discussie verloren gaat. De indruk die daardoor mogelijk wordt gewekt, dat kostenutiliteitsanalyse op dit moment geen nuttige bijdrage zou kunnen leveren aan keuzen in het beleid, kan vanuit wetenschappelijk standpunt bestreden worden.

Zie ook het artikel op bl. 1106.

KOSTENUTILITEITSANALYSE VOOR EFFICIËNTE VERDELING VAN DE BESCHIKBARE MIDDELEN
Het is duidelijk dat in een tijd van toenemende vraag naar gezondheidszorg, zowel in absolute zin als financieel, ergens grenzen gesteld moeten worden om het voor de gezondheidszorg beschikbare budget te kunnen beheersen. Daartoe dient een raamwerk voorhanden te zijn waarmee tot een redelijke verdeling van de beschikbare middelen gekomen kan worden. Beleidsmakers zagen zich enkele decennia geleden voor de praktisch onmogelijke taak gesteld om in dit kader weloverwogen keuzen te maken. Hoe kan men bijvoorbeeld kiezen tussen het verlichten van het lijden ten gevolge van een chronische aandoening als reumatoïde artritis en het voorkómen van een absoluut verlies aan levensjaren ten gevolge van een aandoening als het acute myocardinfarct? Gezondheidseconomen ontwikkelden daarop een model dat tot een efficiëntere verdeling van de beschikbare middelen zou kunnen leiden.

Universitair Medisch Centrum Utrecht, Julius Centrum voor Gezondheidswetenschappen en Eerstelijngeneeskunde, Postbus 85,500, 3508 GA Utrecht.
Hr.dr.E.Buskens, MTA-deskundige/klinisch epidemioloog.

Alle middelen die bij de preventie, diagnose en behandeling van een aandoening gebruikt worden, laten zich min of meer rechtstreeks vertalen in (monetaire) kosten. Alhoewel de discussie ten aanzien van de waardering van gebruikte middelen en kostenposten nog niet geheel gesloten is, betreft het een uiteindelijk te traceren stroom euro's. Effecten worden echter typisch in ziektespecifieke maten uitgedrukt. De reumapatiënt van zo-even wordt gecontroleerd en behandeld onder andere op basis van pijnklachten, beperkingen, röntgen-diagnostiek en laboratoriumuitslagen. De patiënt met familiale hypercholesterolemie wordt vooral behandeld op basis van bepaalde laboratoriumuitslagen, terwijl er over het algemeen bij aanvang van therapie nog geen symptomen zijn. Behandeling richt zich op het voorkómen van snel progressieve atherosclerose. Stel nu dat gekozen moet worden tussen deze twee bestedingsmogelijkheden. Hoe kan men kiezen tussen innovatieve medicatie die op korte termijn pijnverlichting en functieherstel bewerkstelligt en medicatie die het langetermijnrisico op hart- en vaatziekten verlaagt? Vanuit dergelijke vraagstellingen hebben zich het vakgebied van de 'medical technology assessment' (MTA) en een bepaalde vorm van economische evaluatie in de gezondheidszorg in engere zin, namelijk kostenutiliteitsanalyse, ontwikkeld.

De kerngedachte van de zogenaamde utiliteitsmaat is dat het mogelijk is aan gezondheidstoestanden een rangorde en vervolgens een waardering toe te kennen. De tijd in een bepaalde gezondheidstoestand kan gewaardeerd worden op een schaal met twee ankerpunten. Men kan in alle opzichten optimaal gezond zijn, men kan komen te overlijden, en er zijn toestanden denkbaar daartussenin, of zelfs erger dan dood. Door de ankerpunten per definitie vast te leggen op respectievelijk 1 en 0, komt men vervolgens tot een handzame uitkomstmaat waarin levensjaren en bijbehorende kwaliteitswaardering worden samengevat in zogenaamde voor kwaliteit gecorrigeerde levensjaren ('quality adjusted life year'; QALY). Als concept is deze maat voor gezondheidseffecten generiek, dat wil zeggen geschikt om willekeurig welk gezondheidseffect te kwantificeren. Door de monetaire kosten van twee (of meer) alternatieve interventies te vergelijken, en dit eveneens te doen voor de effecten in termen van QALY's, kan tenslotte de ratio van extra kosten en extra effecten berekend worden; de zogenaamde incrementele kostenutiliteitsratio (iKUR). Deze ratio is de maat voor doelmatigheid. Terzijde: indien voor andere effectmaten gekozen wordt, bijvoorbeeld levensjaren of sterfte, spreekt men van een kosteneffectiviteitsratio.

Terug naar het voorbeeld van reuma en familiale hypercholesterolemie. Men kan op bovenbeschreven wijze de iKUR van bijvoorbeeld standaard- versus innovatieve (en meestal duurdere) reumatherapie vergelijken met de iKUR van niet behandelen versus statinetherapie. Een keuze voor de behandeling met de gunstigste iKUR zou louter vanuit het standpunt van doelmatigheid voor de hand liggen, met andere woorden een keuze voor de hoogste opbrengst in termen van QALY's per

geïnvesteerde euro. Het moge duidelijk zijn dat een dergelijke simplistische benadering niet de insteek van MTA- of kostenutiliteitsanalisten is. De iKUR kan nooit het enige criterium zijn op basis waarvan beleidsmatige keuzen worden gemaakt. Wel mag hier benadrukt worden dat indien gewerkt wordt volgens de huidige, min of meer wereldwijde, maar in ieder geval nationaal geaccepteerde richtlijnen, een schatting van de iKUR verkregen wordt die als objectieerbare en reproduceerbare kwantitatieve informatie goed bruikbaar is ter onderbouwing van beleidsmatige keuzen. Hier nu ligt naar mijn mening de kracht van kostenutiliteitsanalyse ten opzichte van andere methoden om beleidsmatige keuzen te onderbouwen. Een correct uitgevoerde kostenutiliteitsanalyse heeft in opzet een goede interne validiteit.

Met in gedachten het voorbeeld van reuma en hart- en vaatziekten kan men zich afvragen hoe een verantwoorde keuze kan worden onderbouwd, dan wel hoe de consequenties van een eenmaal genomen besluit inzichtelijk kunnen worden gemaakt. De discussiepunten rondom kostenutiliteitsanalyse waarvan het artikel van De Neeling een verdienstelijke opsomming geeft,¹ betreffen vooral de methode van integratie van beleidsrelevante informatie. Voor alle bestaande discussiepunten verwijs ik hier naar enkele lezenswaardige leerboeken.³⁻⁵ Ik wil er liever op wijzen, ter nuancering van de gedachtevorming, dat in het artikel geen concrete alternatieven worden aangedragen. Belangrijker nog wellicht is dat het impliciet aanbevolen alternatief van keuzen maken zonder numerieke onderbouwing en zonder expliciet geïntegreerd overzicht van de consequenties, volledig buiten beschouwing blijft. Zonder de punten die in het artikel worden aangehaald te willen bagatelliseren, mag gesteld worden dat het exposé onvoldoende recht doet aan hetgeen is bereikt op het terrein van MTA, economische evaluatie en kostenutiliteitsanalyses.

KOSTENUTILITEITSANALYSE TER ONDERSTEUNING VAN TOETSBAAR BELEID

Wellicht is het goed de geneeskunst als zodanig eens met een objectieve en kritische blik te aanschouwen. Neem nu statinetherapie. Reeds decennia is bekend dat een hoge serumcholesterolconcentratie gepaard gaat met hogere cardiovasculaire morbiditeit en sterfte. Met het ter beschikking komen van geneesmiddelen die effectief en met weinig bijwerkingen de cholesterolconcentratie verlagen, en waarvan onomstotelijk is komen vast te staan dat het netto-effect op de overleving gunstig is, leek een pathofysiologisch plausibel model te worden bevestigd. Vervolgens is de therapie breed geïmplementeerd. Er was voldoende reproduceerbaar en valide geacht bewijs voorhanden, dat bovendien paste binnen het gangbare ziektemodel. Echter, inmiddels schrijft het inzicht voort en blijkt dat niet de cholesterolconcentratie per se de sleutel tot het succes van de behandeling vormt. Zo zijn er duidelijke aanwijzingen dat de medicamenteuze beïnvloeding van lokale ontstekingsprocessen onderdeel uitmaakt van het werkingsmechanisme. Wie nu zou willen beweren dat het besluitvormingsproces rondom brede implementatie van statinetherapie bij

een hoge cholesterolconcentratie onbruikbaar is, alleen omdat het gebaseerd is op een niet volledig, boven alle discussie verheven model? Deze retorische vraag is naar mijn mening de sleutel tot het op juiste waarde schatten van kostenutiliteitsanalyses.

Iedere stap voorwaarts, iedere vraag waar een oplossing voor gezocht wordt, vraagt om een kader, een model waarbinnen de antwoorden passen. De wetenschappelijke benadering vereist een toetsbaar en reproduceerbaar model. Geneeskunde neemt daarin zeker geen uitzonderingspositie in, ook al wordt het concept van 'evidence-based medicine' pas recent werkelijk gedragen. In die zin is het wat betreft 'evidence-based policy making' nog tamelijk treurig gesteld. Zelfs in kringen van beleidsmakers, of organen die hun adviseren, geeft men de indruk niet unaniem overtuigd te zijn van de noodzaak van een wetenschappelijke benadering bij het nemen van beleidsbeslissingen.

MTA gebruikt als (multi)discipline de wetenschappelijke benadering om alle voor het beleid relevante informatie te integreren. Een deel van deze informatie is per definitie specifiek voor een bepaalde omgeving. In het bijzonder de kosten van de gezondheidszorg zijn niet generiek, maar indien ze op adequate en toetsbare wijze worden geschat, doet dit niets af aan de accuratesse van die schattingen. De kosten en de structuur van de gezondheidszorg en de maatschappij in het algemeen hebben landspecifieke kenmerken die maken dat met name het kostendeel van de kostenutiliteitsratio niet generaliseerbaar is. De effecten en utiliteiten, zo is althans de vigerende opvatting, zouden minder gevoelig zijn voor lokale dan wel (inter)nationale variaties. Niet (inter)nationaal generaliseerbaar zijn kan echter niet als bewijs van niet-valide onderzoek gezien worden. Voorop dient te staan dat alle relevante informatie op te verifiëren wijze is verkregen en geïntegreerd en daarmee wetenschappelijk toetsbaar en reproduceerbaar wordt. Men kan met tenminste even grote autoriteit stellen dat kostenutiliteitsanalyse, mits voldaan wordt aan inmiddels redelijk algemeen onderschreven richtlijnen, de kinderschoenen wel degelijk is ontgroeid, en beleidsrelevante informatie oplevert.

Nu dit is opgemerkt, kan geconstateerd worden dat er nog wetenschappelijke uitdagingen liggen, maar ook dat kostenutiliteitsanalyses, mits aan bepaalde richtlijnen wordt voldaan, een concrete onderbouwing van beleidsmatige keuzen kunnen vormen. Tot voor kort behoorde Nederland met Canada en Australië internationaal gezien tot de landen met een voortrekkersrol. Doelmatigheidsonderzoek en een (voorgenomen) vereist farmaco-economisch dossier bij nieuw te introduceren geneesmiddelen gaven doelmatigheid en kostenutiliteit formeel een plaats bij de besluitvorming.

Met het intrekken dan wel minimaliseren van de voornaamste financieringsbronnen voor dit type onder-

zoek en uitstel van de eis van een farmaco-economisch dossier verliest Nederland een koppositie. Engeland bijvoorbeeld heeft ondertussen een omvangrijk en succesvol 'Health technology assessment'-programma ontwikkeld, dat de besluitvorming in het kader van de National Health Service ondersteunt met concreet klinisch gericht en methodologisch onderzoek (www.nchta.org). In België is men recent eveneens met een dergelijk ambitieus programma gestart.

Als het aan onze huidige generatie beleidsmakers en hun adviesorganen lag, zou de in Nederland opgedane ervaring en de beschikbare expertise wel eens in snel tempo verloren kunnen gaan. Zonder deze expertise is onderzoek naar de doelmatigheid van onze gezondheidszorg niet mogelijk, wat ertoe zal leiden dat wij qua onderbouwing van het beleid uiteindelijk terug bij geraaken. Ik wil daarom een lans breken voor kostenutiliteit en MTA. Het is aan de lezer om het relaas te overzien, op waarde te schatten, en vervolgens open te blijven staan voor een vakgebied dat net als elk ander voortdurend in ontwikkeling is.

Belangenconflict: geen gemeld. Financiële ondersteuning: geen gemeld.

ABSTRACT

Value of cost-utility analysis; evidence-based policy making. – In this issue of the *Journal* a review on the present state of science regarding cost-utility analysis is presented. The article can be regarded as a laudable enumeration of the points of academic discussion still associated with cost-utility analyses. Indeed, various schools of researchers with different positions on specific points contribute to these discussions. However, it would be incorrect to conclude that cost-utility analyses are therefore not useful. If performed according to current insights and clearly presented, they are transparent and can be assessed and reproduced. Thus they can contribute to a scientific underpinning of policy decisions. Notably, the alternative of 'opinion'-based policy making should be kept in mind when assessing cost-utility analyses.

LITERATUUR

- 1 Neeling JND de. Kostenutiliteitsanalyse; onzekerheden beperken toepasbaarheid. *Ned Tijdschr Geneesk* 2004;148:1106-10.
- 2 Buskens E. 'Medical technology assessment'; er is meer dan alleen werkzaamheid. *Ned Tijdschr Geneesk* 2000;144:622-6.
- 3 Drummond MF, O'Brien BJ, Stoddart GL, Torrance GW. *Methods for the economic evaluation of health care programmes*. Oxford: Oxford University Press; 1997.
- 4 Gold MR, Siegel JE, Russell LB, Weinstein MC, editors. *Cost-effectiveness in health and medicine*. New York: Oxford University Press; 1996.
- 5 Hunink MG, Glasziou P, Siegel JE, Weeks J, Pliskin J, Elstein AA, et al. *Decision making in health and medicine: integrating evidence and values*. Cambridge: Cambridge University Press; 2001.

Anvaard op 23 maart 2004