

The Use of Economic Evaluation For Decision Making: Methodological Opportunities and Challenges

Mark Sculpher

Karl Claxton

Centre for Health Economics

University of York, UK

iHEA, Barcelona, 2005

Outline

- The need for a normative framework decision making
- Implied requirements for economic evaluation methods
- Some methodological challenges

Variability in methods guidelines

Choice of comparator (n=27)

Most commonly used	8
Existing, most effective or minimum practice	2
Existing or most effective	1
Justify	1
Existing and no treatment	2
Most common, least costly, no treatment	1
Most common, least costly, no treatment, most effective	2
Most common, least costly, most effective	1
Most likely to be displaced	1
Most efficient, most effective, do nothing	2
All relevant comparators	2
Most effective and no treatment	1
Not clear/specific	3

Variability in methods guidelines

Methods for utility (n=27)

EQ5D	3
SG, TTO	2
Need to justify	4
Not stated/not specific	10
SG, TTO, VAS	2
EQ5D or HUI	1
SG, TTO, EQ5D	2
Generic	2
Choice-based	1

Variability in methods guidelines

Methods for sensitivity analysis (n=27)

Need to state and justify	3
Not stated/not specific	10
Probabilistic sensitivity analysis (PSA)	3
One-way, multi-way	1
One-way, two-way	2
Multi-way (of most important)	1
One-way, multi-way and PSA	5
One-way, multi-way and worst-best scenario	1
One-way with tornado diagram	1

A theoretical foundation

- Standard welfare theory:
 - Provides strong normative and methodological prescriptions
 - Values are not universal
 - Requires a first-best neoclassical world
 - Existing distribution of income is acceptable
 - Problems in application (second best)
- Societal decision making foundation:
 - Often implicit support in health care
 - Normative content requires external legitimacy
 - Should be a legitimate societal decision maker
 - Crude formulation of objectives and constraints

Two decisions for new health care technologies

Is the technology cost-effective based on existing evidence?

		Yes	No
Is additional research cost-effective?	Yes	Adopt Demand additional evidence Revisit decision	Do not adopt Demand additional evidence Revisit decision
	No	Adopt Do not demand extra evidence Review decision if other evidence emerges	Do not adopt Do not demand extra evidence Review decision if other evidence emerges

An analytical framework for decision making

- When is a technology cost-effective (adoption decision)?
- When is additional research cost-effective (research decision)?

When is a cost-effective (adoption decision)?

Requirement

A clear objective function

Characterising constraints

Compare all alternative options
Incorporate all relevant evidence
Relevant to the decision context

Assumptions and judgements

- Evidence
- Structure

Methods challenges

Health gain and preferences

Defining constraints

Constrained maximisation methods

Mixed treatment comparisons

Exchangeability in synthesis

Characterising additional uncertainty

When is additional research cost-effective (research decision)?

Requirement

Explicit quantification of uncertainty in adoption decision

Quantification of the cost of making the wrong decision

Compare the cost of new research with the value of the additional information

Methods challenges

All sources of uncertainty

Objective function

Comparing full range of research designs

Heterogeneity

Thrombolytics vs. angioplasty: follow-up

study	1 month							6 month						
	death	re-infarction	fatal stroke	non-fatal stroke	hemorrhagic stroke	combined endpoint	death	re-infarction	fatal stroke	non-fatal stroke	hemorrhagic stroke	combined endpoint		
Zijlstra93	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Ribeiro93	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Zwolle94	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Berrocal03	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Zijlstra97	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Y	Y	
Widimsky00	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
de Boer02	Y	Y	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Widimsky03	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
DeWood90	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Grines93	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Gibbons93	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Y	Y	Z	Z	Z	Z	
Ribichini98	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Y	
Garcia99	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	
GUSTO IIb97	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Le May01	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Y	Y	Y	
Bonnefoy02	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Schomig00	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Vermeer99	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Kastrati02	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Aversano02	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Y	Z	Y	
Grines02	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Andersen03 Rete	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Andersen03 Invas	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
	23	21	4	17	7	17		9	6	0	3	1	8	

More trials report 1-month outcomes, only a few report 6-month. Centre For Health Economics

Heterogeneity

Thrombolytics vs. angioplasty: endpoints

study	1 month							6 month						
	death	re-infarction	fatal stroke	non-fatal stroke	hemorrhagic stroke	combined endpoint	death	re-infarction	fatal stroke	non-fatal stroke	hemorrhagic stroke	combined endpoint		
Zijlstra93	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Ribeiro93	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Zwolle94	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Berrocal03	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Zijlstra97	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	
Widimsky00	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
de Boer02	Y	Y	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Widimsky03	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
DeWood90	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Grines93	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Gibbons93	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
Ribichini98	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Garcia99	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
GUSTO IIb97	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Le May01	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	
Bonnefoy02	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Schomig00	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Vermeer99	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Kastrati02	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Aversano02	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	
Grines02	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Andersen03 Refe	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Andersen03 Invas	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
	23	21	4	17	7	17	9	6	0	3	1	8		

Every trial reports deaths at 1 month

Heterogeneity

Thrombolytics vs. angioplasty: endpoints

study	1 month							6 month						
	death	re-infarction	fatal stroke	non-fatal stroke	hemorrhagic stroke	combined endpoint	death	re-infarction	fatal stroke	non-fatal stroke	hemorrhagic stroke	combined endpoint		
Zijlstra93	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
Ribeiro93	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
Zwolle94	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
Berrocal03	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
Zijlstra97	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	
Widimsky00	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
de Boer02	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Widimsky03	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
DeWood90	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Grines93	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Gibbons93	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Y	Y	Z	Z	Z	Z	
Ribichini98	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Garcia99	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
GUSTO IIb97	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Le May01	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Bonnefoy02	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Schomig00	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Vermeer99	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Kastrati02	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Aversano02	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Y	
Grines02	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Andersen03 Refe	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Andersen03 Invas	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
	23	2	4	1	7	17	9	6	0	3	1	8		

There is little information on fatal and on hemorrhagic strokes.

Heterogeneity

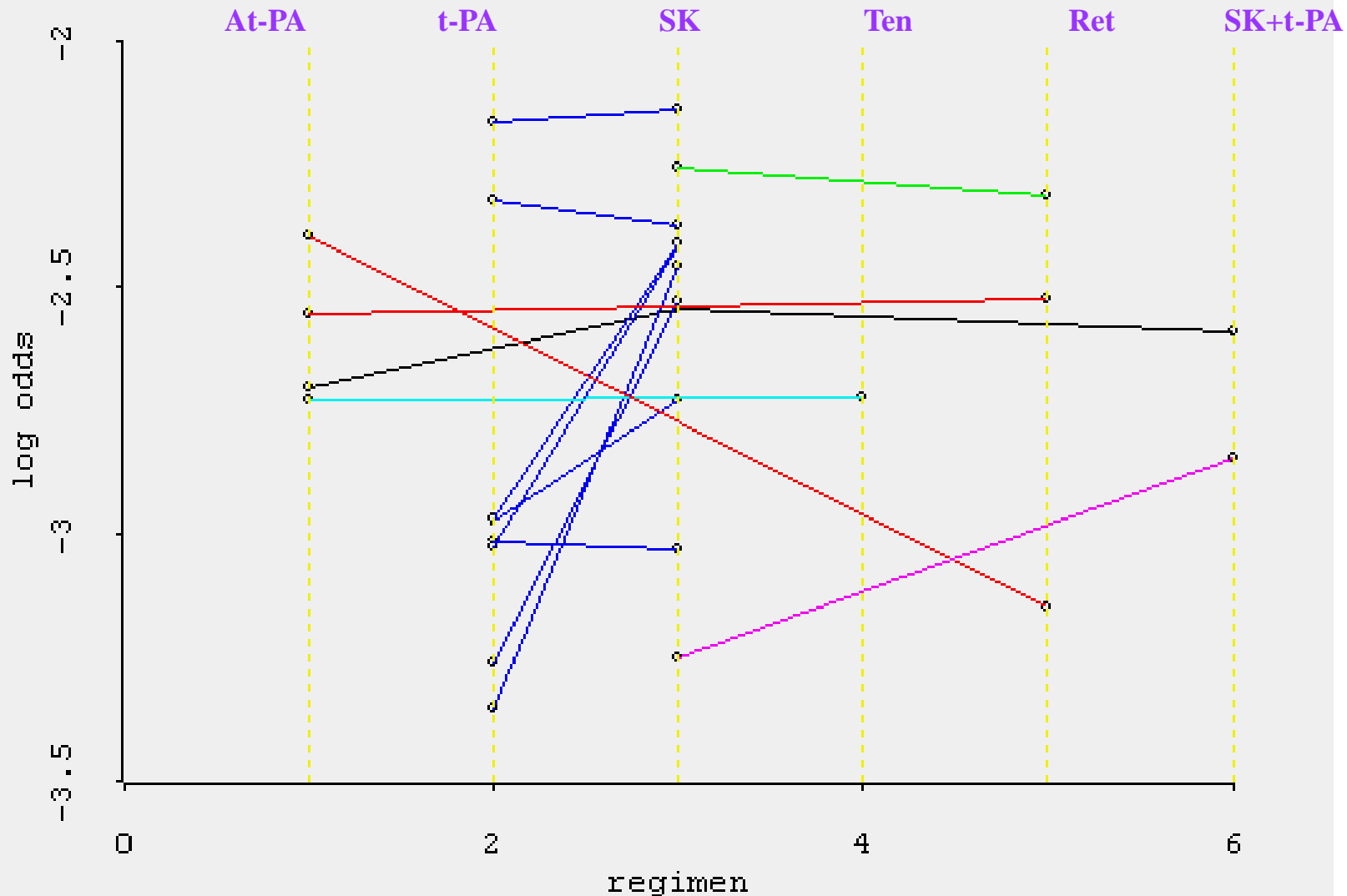
Thrombolytics vs. angioplasty: endpoints

study	1 month							6 month						
	death	re-infarction	fatal stroke	non-fatal stroke	hemorrhagic stroke	combined endpoint	death	re-infarction	fatal stroke	non-fatal stroke	hemorrhagic stroke	combined endpoint		
Zijlstra93	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Ribeiro93	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Zwolle94	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Berrocal03	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Zijlstra97	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	
Widimsky00	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
de Boer02	Y	Y	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Widimsky03	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
DeWood90	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Grines93	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Gibbons93	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
Ribichini98	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Y	
Garcia99	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	
GUSTO IIb97	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Le May01	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Y	Y	Z	Y	Y	Z	Y	
Bonnefoy02	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Schomig00	Y	Y	Z	Z	Z	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Vermeer99	Y	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Kastrati02	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Y	
Aversano02	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Y	Y	Z	Y	Z	Z	Y	
Grines02	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Andersen03 Refe	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
Andersen03 Invas	Y	Y	Z	Y	Z	Y	Z	Z	Z	Z	Z	Z	Z	
	23	21	4	17	7	17	9	6	0	3	1	8		

The definition of “combined endpoint” differs between trials

Evidence synthesis

Mixed treatment comparison



A framework for analysis

- Bayesian methods
 - Probability statements useful for decision making
 - Formal framework for learning
 - Flexibility in incorporating different types and sources of evidence
- Decision theory
 - Explicit about loss function
 - Links adoption and research decisions