



STUDIE FÁZE III PRO FARMAKOEKONOMICKÉ HODNOCENÍ

Ing. Milan Vocolka

Sekce cenové a úhradové regulace

Osnova

- 👁 Základní hodnocené oblasti v řízení o úhradě
- 👁 Zdroje dat pro potřeby analýzy nákladové efektivity
- 👁 Požadavky na předkládanou dokumentaci
- 👁 Použití dat z registru
- 👁 Nejistota spojená se vstupními parametry do analýzy nákladové efektivity („ANE“)

Rozhodnutí Ústavu o úhradě zohledňuje tyto aspekty

Posouzení přínosů terapie oproti dostupné léčbě:

- postavení v klinické praxi
- relativní účinnost
- relativní bezpečnost
- inovativnost a medicínská potřeba

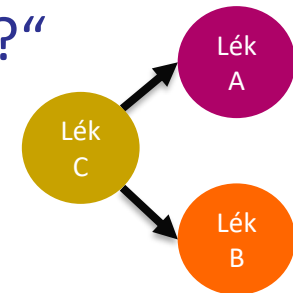
Posouzení ekonomické otázky:

- nákladová efektivita (přínosy pro pacienta oproti komparátoru vs. náklady)
- dopad na rozpočet

Farmakoeconomické analýzy

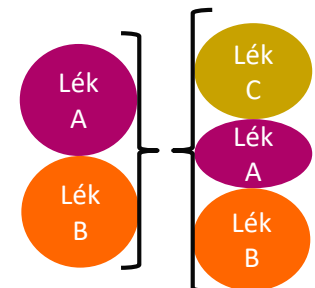
Nákladová efektivita

- „Odpovídá u nového LP požadovaná úhrada přínosům oproti současně používané a hrazené terapii?“



Dopad na rozpočet

- „O kolik bude potřeba vyčlenit financí navíc?“



Zdroje dat pro účely nákladové efektivity

👁 Údaje o účinnosti a bezpečnosti

- *čas do progrese onemocnění, celkové přežití, podíl pacientů s komplikací, výskyt nežádoucích účinků, doba setrvání na léčbě, atd.*
- **Klinické studie, meta-analýzy, network meta-analýzy, epidemiologické (observační) studie, registry**

👁 Náklady

- *náklady čerpané z prostředků zdravotního pojištění*
- *skládají se z frekvence čerpání péče („resource use“) oceněné jednotkovými náklady*
- **Klinické studie, meta-analýzy, observační studie, network meta-analýzy, dotazníková šetření, panely expertů**
- **Platná legislativa (např. vyhláška se seznamem zdravotnických výkonů) a číselníky (SCAU, DRG)**

👁 Údaje o kvalitě života

- *ovlivnění kvality života pacientů v důsledku onemocnění a léčby*
- **Klinické studie, kontrolované studie, dotazníková šetření**

Dokumentace předkládaná se žádostí

- 👁 Požadavky na předkládanou evidenci uvádí § 39f odst. 5 a 6 zákona č. 48/1997 Sb.
- 👁 Strukturu „klinické“ dokumentace uvádí § 45 odst. 2 až 5 vyhlášky č. 376/2011 Sb.:
 - veškeré informace týkající se přípravku (ty relevantní) týkající se účinnosti, bezpečnosti a porovnání nákladů a přínosů
 - klinická hodnocení:
 - systematické přehledy
 - meta-analýzy kontrolovaných randomizovaných studií (i nepřímá srovnání, atd.)
 - kontrolované randomizované studie
 - výsledky srovnávacích studií s jinými, v klinické praxi užívanými přípravky pro léčbu posuzovaných indikací, není-li takových, proti placebo
 - sledování výsledku péče v podmínkách klinické praxe nejlépe v ČR
 - výsledky dosud veřejně nepublikovaných studií, které jsou uvedeny v SPC a jsou hodnotitelné
 - dokumenty se předkládají v plném znění a uvede se jejich stručný souhrn s uvedením základních parametrů, výsledků a vyhodnocení
 - tj. včetně appendixu, supplementary data, atd.

Použití dat z registru pro účely ANE

- 👁️ Zásadní limitací registrů (nejen VILP) bývá absence kontrolního ramene pro validní komparativní analýzu
- 👁️ Určitou limitací může být odlišnost populace v registru od populace zkoumané v registračních studiích hodnocených při žádosti o dočasnou úhradu
- 👁️ Při odlišnosti ve významných charakteristikách nelze provést prosté srovnání registru a kontrolního ramena ze studie
 - např. věk, předléčennost, stádium onemocnění, výkonnostní stav, konkomitantní terapie atd.
- 👁️ Pokud žadatel trvá na použití dat z registru je třeba použít pokročilejších statistických metod
 - *propensity-score, matching-adjusted, indirect comparison, simulated treatment comparison*
 - scénář s použitím **přímé evidence ze studie fáze III nebo meta-analýzy** je však vyžadován, pokud je tato evidence k dispozici

Použití dat z registru pro účely dopadu na rozpočet

- 👁️ Národní registr je vhodným zdrojem pro odhad velikosti cílové populace resp. počtu léčených pacientů
- 👁️ Registry bývají vhodné pro kalkulaci nákladů pro účely
 - Dávkování hodnoceného LP
 - Doba na léčbě hodnoceného LP
 - Konkomitantní terapie jinými LP aj.

Nejistota ve vstupních parametrech ANE

- 🌀 Míra nejistoty všech vstupních údajů je v analýze nákladové efektivity popsána a kvantifikována v analýze senzitivity

- 🌀 Používané způsoby snížení nejistoty a maximalizaci „užitku“:
 - stanovení podmínek úhrady pro účelné použití přípravku
 - *podle návrhu držitele rozhodnutí o registraci při současném zohlednění dostupné evidence (včetně stanoviska odborné společnosti)*
 - doporučení uzavření dohody o sdílení rizik spojených s použitím přípravku mezi držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami
 - *risk-sharing scheme*
 - *patient access scheme*
 - *managed entry agreement*



Děkujeme za pozornost

STÁTNÍ ÚSTAV PRO KONTROLU LÉČIV

Šrobárova 48, 100 41 Praha 10

tel.: +420 272 185 111

fax: +420 271 732 377

e-mail: posta@sukl.cz