

STÁTNÍ ÚSTAV PRO KONTROLU LÉČIV

HODNOCENÍ NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY PŘI STANOVENÍ ÚHRAD LÉČIVÝCH PŘÍPRAVKŮ

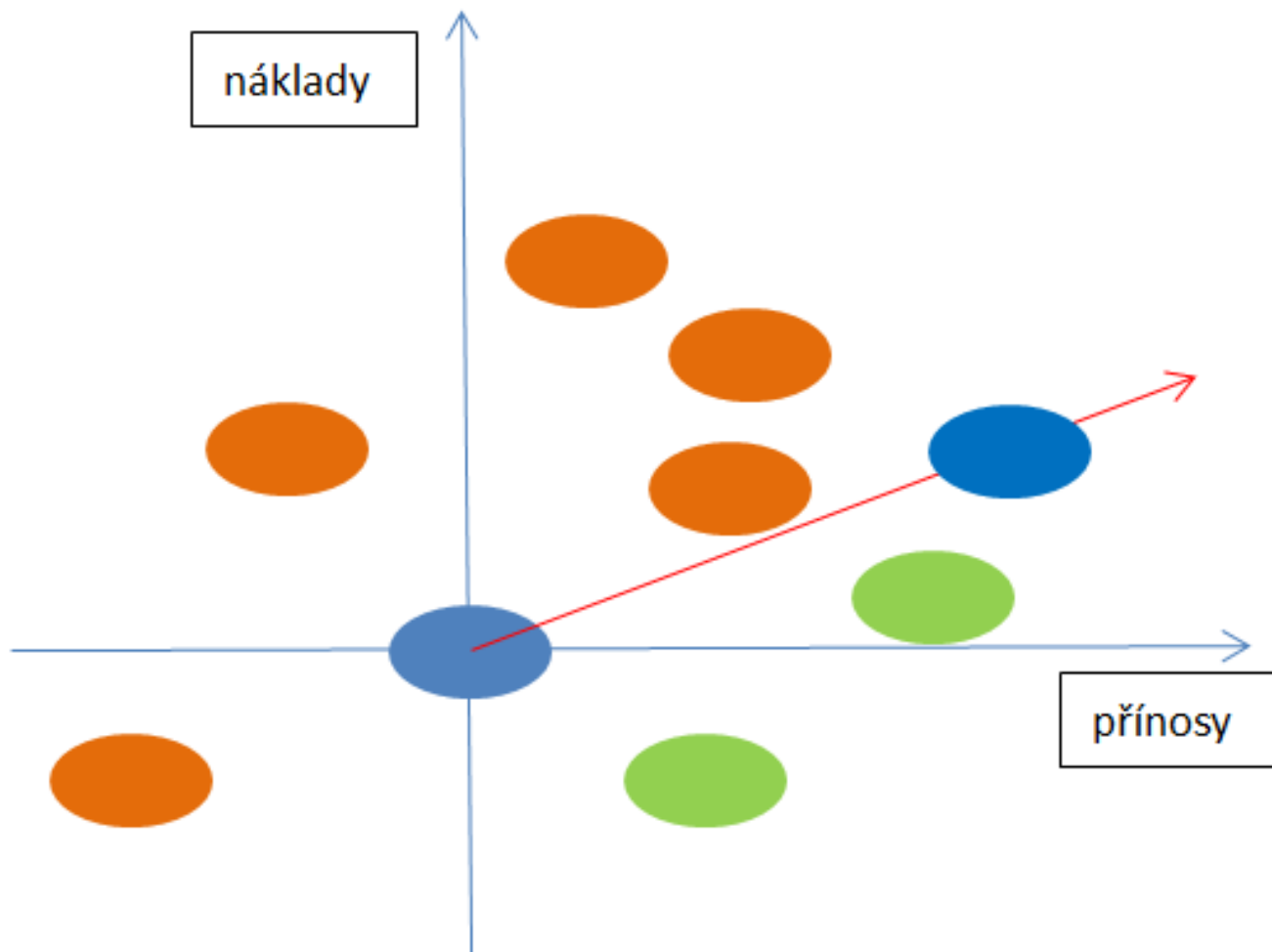
Mgr. Helena Skácelová

Obsah prezentace

- 🌀 Hodnocení nákladové efektivity – rozhodovací praxe
- 🌀 Hodnocení relativní účinnosti a bezpečnosti léčiv
- 🌀 Metodika hodnocení nákladové efektivity – stávající stav a vývoj

§ 15 odst. 8 zákona č. 48/1997 Sb.


- ☉ **Nákladovou efektivitou** se rozumí určení poměru mezi náklady a přínosy spojenými s použitím léčivého přípravku nebo potraviny pro zvláštní lékařské účely ve srovnání s použitím jiného léčivého přípravku, potraviny pro zvláštní lékařské účely nebo léčebného postupu; nákladová efektivita je hodnocena ve srovnání s takovým terapeutickým postupem hrazeným z prostředků zdravotního pojištění, který je obecně přijímán jako obvyklý.
- ☉ **Nákladově efektivní** jsou takové léčebné postupy, které
 - při srovnatelných nákladech přinášejí stejný nebo vyšší terapeutický účinek spočívající v prodloužení života, zlepšení kvality života nebo zlepšení podstatného a měřitelného kritéria příslušného onemocnění, nebo
 - které při alespoň srovnatelném terapeutickém účinku znamenají nižší celkové náklady pro systém zdravotního pojištění, nebo
 - při vyšších nákladech a vyšším terapeutickém účinku je tento poměr srovnatelný s jinými terapeutickými postupy hrazenými z prostředků zdravotního pojištění.



WHO - CHOICE

Hranice ochoty platit (WTP):

- Vysoce nákladově efektivní: pod 1 HDP/os
- Nákladově efektivní: 1-3x HDP/os
- Nákladově neefektivní: nad 3x HDP/os

 Pro ČR: 405 tis. Kč – 1,2 mil. Kč (ČSÚ, 2014)

http://www.who.int/choice/publications/p_2003_generalised_cea.pdf
https://www.czso.cz/csu/czso/hmu_cr

Požadavky zákona

☞ §15 odst. 6: **Ústav nepřízná úhradu, jde-li o léčivé přípravky, ... které nesplňují podmínky účelné terapeutické intervence**

☞ § 15 odst. 7: **Účelnou terapeutickou intervencí se rozumí zdravotní služby poskytované k prevenci nebo léčbě onemocnění za účelem dosažení co nejúčinnější a nejbezpečnější léčby při zachování nákladové efektivity.**

Přístup SÚKL k LP nad doporučení WHO

- ☞ Individuální posouzení – aplikace více kritérií při vstupu nového přípravku do systému nebo rozšíření podmínek úhrady
 - Terapeutická účinnost a bezpečnost (hodnotí se velikost celkového přínosu v léčbě onemocnění)
 - Závažnost onemocnění (zejména u vysoce závažných onemocnění dle vyhlášky č. 376/2011 Sb.)
 - Nahraditelnost v léčbě - nedostupnost alternativní hrazené léčby (často splněno u orphan drugs)
 - Celkový dopad na rozpočet zdravotního pojištění (často nízký u orphan drugs - malý počet pacientů; vysoký u LP, které nepřekračují WTP - glifloziny)
 - Nákladová efektivita – hodnotí se míra překročení doporučení WHO, porovnání s ICER již hrazených LP
 - Doporučené postupy odborných institucí (hodnotí se zejména síla doporučení)



„Implicitní a flexibilní hranice ochoty platit“

Příklady správních řízení

Xolair (omalizumab) – astma u dětí 6-11let

- ICER 1,6 mil. Kč/QALY
- BIA 3,6 mil. Kč v 5.roce
- Vysoce závažné onemocnění, přípravek nemá alternativu

Nexavar (sorafenib) – hepatocelulární karcinom

- ICER 1,46 mil. Kč/LYG
- BIA 68,5 mil. Kč v 5.roce
- Vysoce závažné onemocnění, nemá alternativu, VILP
- orphan, dobrý bezpečnostní profil

Použití více kritérií při rozhodování

PRO ÚHRADU

Závažnost onemocnění
Nenahraditelnost v léčbě
(VILP)
Nízký dopad do rozpočtu
Celkový přínos



PROTI ÚHRADĚ

Vysoký ICER
Vysoký dopad do
rozpočtu
Nahraditelnost v terapii
(add-on léčba)
Nejistý benefit
(registrační studie fáze II)

OSTATNÍ

Orphan statut
Zahraniční hodnocení
Bezpečnostní profil

Hodnocení relativní účinnosti a bezpečnosti

Požadavky zákona č. 48/1997 Sb.

Hodnotí se vždy:

- 👁 Terapeutická účinnost a bezpečnost (hodnotí se velikost celkového přínosu v léčbě onemocnění)
- 👁 Nahraditelnost jiným hrazeným přípravkem včetně porovnání nákladů
- 👁 Doporučené postupy odborných institucí a odborníků – postavení v klinické praxi
- 👁 Obvyklé dávkování, nezbytná délka léčby
- 👁 Cesta podání, léková forma, síla a velikost balení
- 👁 Veřejný zájem
 - § 17 odst. 2: zájem na zajištění kvality a dostupnosti hrazených služeb, fungování systému zdravotnictví a jeho stability v rámci finančních možností systému veřejného zdravotního pojištění



rozhodnutí o zaměnitelnosti, zařazení do referenční skupiny

Požadavky zákona č. 48/1997 Sb.

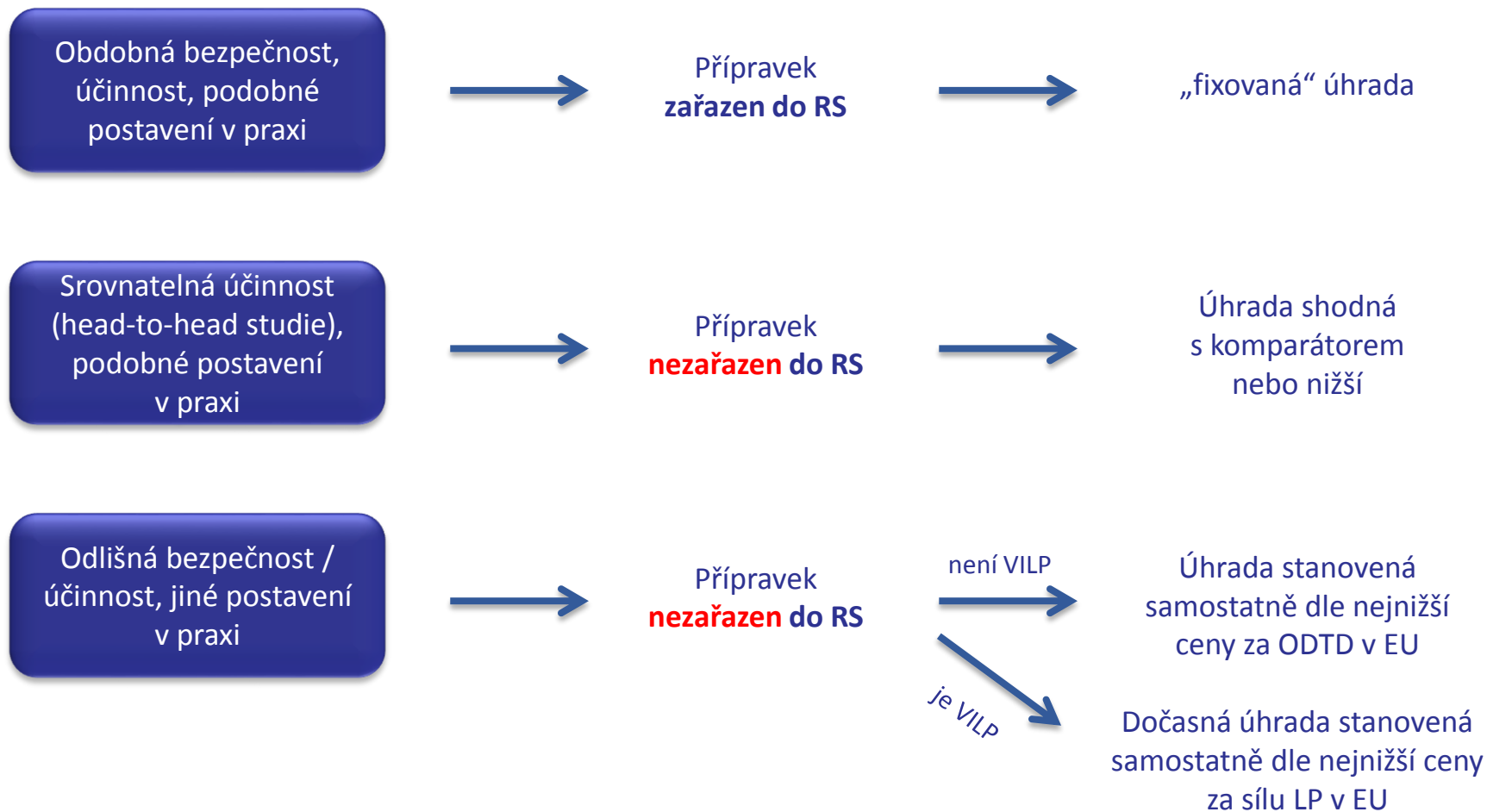
Hodnotí se někdy:

- 👁 Závažnost onemocnění (zejména u VILP dle vyhlášky č. 376/2011 Sb.)
- 👁 Nákladová efektivita a dopad do rozpočtu
 - Nově vstupující nezaměnitelný přípravek
 - Rozšíření podmínek úhrady, přiznání bonifikace nebo zvýšené úhrady
 - Předkládá účastník řízení

Struktura hodnotící zprávy

1. Posouzení zaměnitelnosti
 - Indikace, pro které je navrhována úhrada
 - Charakteristika přípravku
 - Postavení v klinické praxi – stávající alternativy, volba komparátora
 - Bezpečnost
 - Účinnost
2. *Hodnocení inovativnosti*
3. Stanovení ODTD – dávkování
4. *Stanovení maximální ceny - výpočet*
5. Stanovení výše úhrady - výpočet
6. *Bonifikace a zvýšená úhrada*
7. **Farmakoekonomická hodnocení**
 - **Nákladová efektivita**
 - **Dopad do rozpočtu**
8. Podmínky úhrady

Vliv odborného hodnocení na výši úhrady



Specifika ČR

- ☉ SÚKL rozhoduje pouze o ambulantních přípravcích – za hospitalizace hrazeny plně
- ☉ Rozhodující je návrh žadatele – indikace, pro které je navržena úhrada, indikační omezení
- ☉ Lze hradit i off-label indikaci
- ☉ Srovnání jen s trvale hrazenými alternativami – ne dočasně hrazené VILP, ne zvláštní mechanismy úhrady (§ 16)
- ☉ Zúžení podmínek úhrady i nad rámec žádosti – preskripční a indikační omezení (zahajovací kritéria, průběh léčby, ukončovací kritéria, specifikace skupiny pacientů)
- ☉ NEF a BIA není nutná při zařazení do referenční skupiny

Metodika pro hodnocení nákladové efektivity (SP-CAU-028)

Metodika pro hodnocení nákladové efektivity

Obecné náležitosti:

- perspektiva hodnocení (zdravotní pojišťovny),
- cílová populace (dle indikačního omezení),
- časový horizont (akutní vs. chronická onemocnění)
- typy FE analýz a výběr parametru přínosu (prodloužení života, zlepšení kvality života nebo zlepšení podstatného a měřitelného kritéria příslušného onemocnění): CUA, CEA, CMA
- Zdrojová data o klinických přínosech (úroveň důkazů)
- Popis hodnocené a srovnávané intervence
- Výběr komparátoru (hrazený v ČR, standardně používaný)

Metodika pro hodnocení nákladové efektivity

Konkrétní provedení FE analýzy

- Určení nákladů (přímé medicínské a nemedicínské)
- Určení přínosů (preference QALY ->LYG -> měřitelné kritérium)
- Diskontování
- Modelování, validace modelu
- Určení výsledku (prezentace nákladů odděleně: farmaceutické, podání LP, nežádoucí účinky, atd.)
- Nejistota – analýza senzitivity

Metodika pro hodnocení nákladové efektivity

Další zařazená témata

- Přenositelnost v rámci FE hodnocení
- Způsoby měření kvality života

Metodika pro hodnocení nákladové efektivity

Aktualizace:

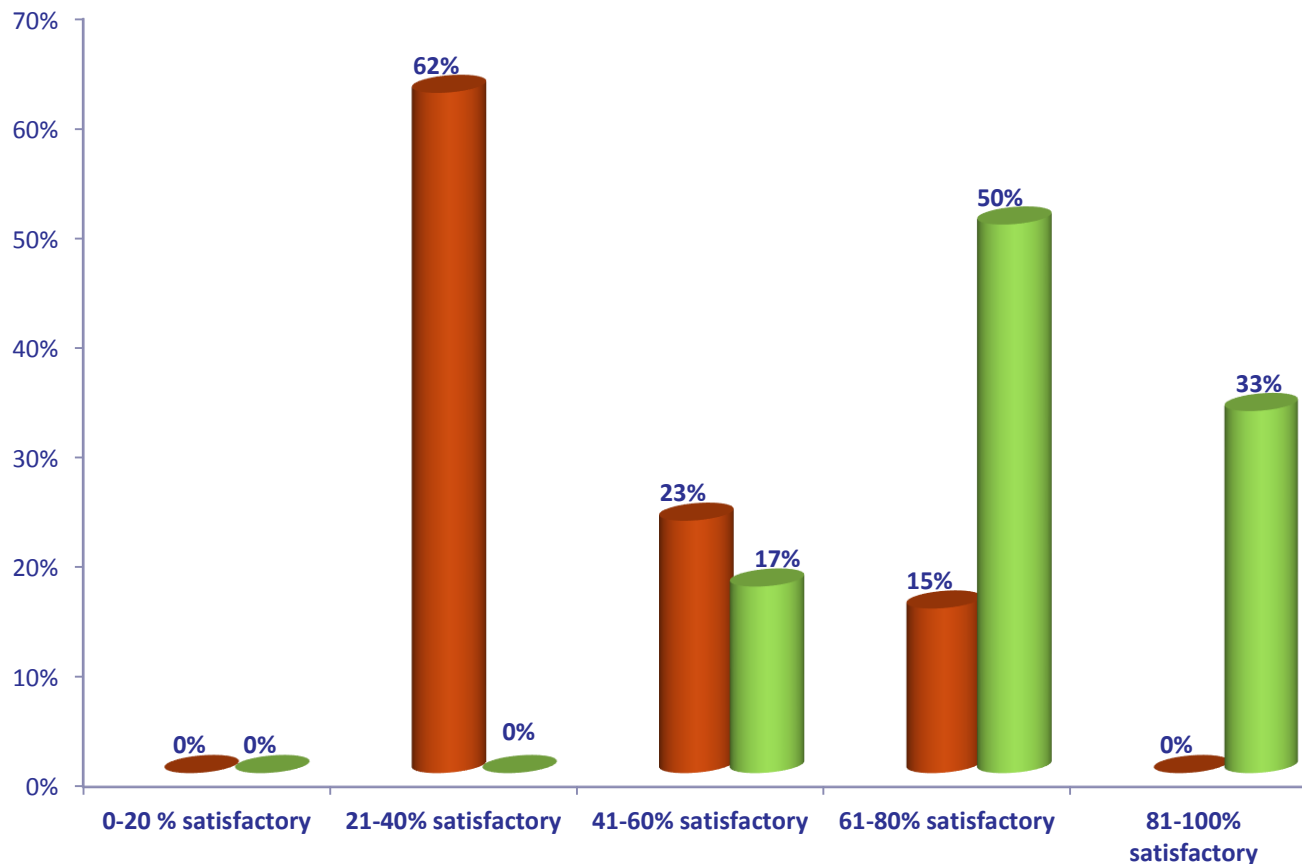
– Upřesnění dle rozhodovací praxe

- Popsání případů, kdy je třeba předkládat FE analýzy
- Požadavky na analýzy senzitivity
- Externí validace předloženého FE pomocí zahraniční evidence (hodnocení zahraničních autorit, publikovaných analýz)
- Preference použití průměrů namísto mediánů

– Zařazení nových kapitol:

- Výběr podkladových zdrojů a požadavky na ně (systematické review, metaanalýzy, nepřímá srovnání, údaje z registrů a observačních studií)
- Extrapolace dat
- Metody pro „odstranění“ vlivu cross-overu

Dopady zavedení farmakoekonomických metodik



http://www.ispor.org/research_pdfs/48/pdffiles/PHP11.pdf

Role SÚKL

Standardizace postupů – metodiky

(<http://www.sukl.cz/leciva/metodiky-stanoveni-cen-a-uhrad>)

- SP-CAU-001 a 002: Stanovení maximální ceny a základní úhrady (2008)
- SP-CAU-027: hodnocení dopadu do rozpočtu (2013)
- SP-CAU-028: hodnocení nákladové efektivity (2013)

Řešení nových situací

- Stanovení úhrady na základě klinických studií fáze II
- Vysoce nákladné přípravky, přechod VILP do trvalé úhrady
- Využití více kritérií při rozhodování o úhradě (vysoký ICER):
 - Závažnost onemocnění
 - Cílová populace
 - Hodnocení zahraničních agentur
 - Nahraditelnost v léčbě
 - Orphan statut

12	Diskontace	6.2.3	Tato otázka se vyplňuje pouze v případě, kdy je časový horizont delší než 1 rok: Byla uvažována diskontace nákladů a přínosů v časovém období delším než jeden rok?	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
13	Model	6.2.4	Tato otázka se vyplňuje pouze v případě, kdy je předložen farmakoekonomický model: Je tento model plně přezkoumatelný a reprodukovatelný s deklarováním jeho validity? (Tj. byl doložen zcela v plném znění, nebo byla zajištěna plná reprodukovatelnost modelace spočívající ve vyčerpávajícím uvedení všech podstatných údajů - popisu struktury, vstupů, metodiky, klíčových předpokladů nebo statistického vyhodnocení výsledků a jiných hodnot - které byly použity pro nastavení modelu a doložení jeho validity?)	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
14	Model	6.2.4	Tato otázka se vyplňuje pouze v případě, kdy je předložen farmakoekonomický model: Byl použitý model vhodně adaptován na prostředí ČR? (Tj. byly uvažovány rozdíly plynoucí z rozdílné cílové populace, algoritmů léčby, nákladů apod.?)	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
15	Model	6.2.4	Tato otázka se vyplňuje pouze v případě, kdy je předložen model: Odpovídá základní nastavení modelu co nejvíce současnému dostupnému vědeckému poznání a je založeno na správných a relevantních klíčových předpokladech?	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
16	Výsledek	6.2.5	Byl výsledek farmakoekonomického hodnocení správně určen (vyjádřen takovým způsobem, že je možné jej diskutovat a interpretovat)?	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
17	Analýza senzitivity	6.2.6.1	Byla provedena analýza senzitivity?	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
18	Analýza senzitivity	6.2.6.1	Identifikoval a kvantifikoval autor hodnocení veškerou nejistotu, která má přímý a podstatný vliv na výsledek farmakoekonomického hodnocení? (Především ve smyslu negativního ovlivnění výsledku jako je například vyšší ICER, tj. nezohledněním takové nejistoty dochází ke zlepšení výsledných hodnot analýzy senzitivity.)	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
19	Přenositelnost	6.3	Tato otázka se vyplňuje pouze v případě, že jsou přenášeny údaje ze zahraničí: Byly ve farmakoekonomickém hodnocení přeneseny ze zahraničí výhradně takové údaje, které lze považovat za přenositelné?	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
20	Měření kvality života	6.4	Tato otázka se vyplňuje pouze v případě, že je použita metoda CUA: Byla použita stejná metoda pro měření kvality života (utility)?	<input checked="" type="checkbox"/> Ano <input type="checkbox"/> Ne
Závěr	<p>Předložené hodnocení minimální požadavky na kvalitu a úplnost</p> <input checked="" type="checkbox"/> splňuje. Komenář je uveden v hodnotící zprávě. <input type="checkbox"/> nesplňuje.			
	Výsledná hodnota ICER (v případě více scénářů uvést více hodnot nebo interval):			2 646 510 Kč/QALY
	Předpokládané rozmezí dle jednocestné analýzy senzitivity:			2,0 až 3,8 mil. Kč/QALY
	Pravděpodobnost, že intervence je nákladově efektivní při hranici 1,1 milionů Kč/QALY:			< 1 %

Vyhodnocení předložené analýzy dopadu na rozpočet

pro účely správního řízení, LP/RS:
vypracoval(a), dne:

SUKLS730532/2014, ERIVEDGE

Vocelka 12.3.2015

- 1 Odpovídá cílová populace populaci, pro kterou je žádáno o úhradu?
- 2 Je počet pacientů dostatečně popsán s ohledem na incidenci a prevalenci?
- 3 Je použitý komparátor (stávající terapeutický mix) zvolen správně?
- 4 Je dostatečně popsán odhad rychlosti penetrace na trh (vývoj market share)?
- 5 Je uvažována změna podílu na trhu?
- 6 Jsou použity pouze relevantní náklady na současnou a hodnocenou intervenci?
- 7 Byla provedena analýza senzitivity?
- 8 Odpovídá provedená analýza dopadu na rozpočet požadavkům dle metodiky SP-CAU-027?

- 9 Provedl Ústav vlastní přepočítání z důvodu nejistoty v předložené analýze?

- 10 Výše nákladů na novou intervenci/pacient/rok (pouze farmaceutické náklady na LP)
- 11 Celkový roční počet pacientů v ČR s ohledem na incidenci a prevalenci onemocnění

- | | |
|---|-----------------------------|
| <input checked="" type="checkbox"/> Ano | <input type="checkbox"/> Ne |
| <input checked="" type="checkbox"/> Ano | <input type="checkbox"/> Ne |
| <input checked="" type="checkbox"/> Ano | <input type="checkbox"/> Ne |
| <input checked="" type="checkbox"/> Ano | <input type="checkbox"/> Ne |
| <input checked="" type="checkbox"/> Ano | <input type="checkbox"/> Ne |
| <input checked="" type="checkbox"/> Ano | <input type="checkbox"/> Ne |
| <input checked="" type="checkbox"/> Ano | <input type="checkbox"/> Ne |
| <input checked="" type="checkbox"/> Ano | <input type="checkbox"/> Ne |

- | | |
|------------------------------|--|
| <input type="checkbox"/> Ano | <input checked="" type="checkbox"/> Ne |
|------------------------------|--|

2 500 000 Kč
70-80

Výsledky vlastní analýzy v Kč

- 12 Počet pacientů vhodných k léčbě
- 13 Podíl skutečně léčených pacientů s ohledem na penetraci na trh
- 14 Náklady na současný terapeutický mix - farmaceutické mil. Kč
- 15 Náklady na současný terapeutický mix - celkové mil. Kč
- 16 Náklady na novou/hodnocenou intervenci - farmaceutické mil. Kč
- 17 Náklady na novou/hodnocenou intervenci - celkové mil. Kč
- 18 Dopad na rozpočet (ř. 17 – ř. 15) mil. Kč
- 19 Analýza senzitivity - minimum mil. Kč
- 20 Analýza senzitivity - maximum mil. Kč

	1. rok	2. rok	3. rok	4. rok	5. rok
12	73	74	76	78	79
13	27%	56%	56%	56%	56%
14	-	-	-	-	-
15	-	-	-	-	-
16	49,3	119,9	139,5	142,6	145,7
17	49,3	119,9	139,5	142,6	145,7
18	49,3	119,9	139,5	142,6	145,7
19	34,5	83,9	97,7	99,8	102,0
20	64,1	155,9	181,4	185,4	189,4



Děkuji 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