



Přehled přístupů k hranici ochoty platit (WTP) v zahraničí

Obsah a přístupy k WTP

1. Fixní WTP (CZE)

2. WTP ve „fixním pásmu“ (NICE) či „pásmu“ (SMC, SWE)

3. Více existujících WTP (SWE, SVK orphan, NICE HST, CZE §39da)

4. WTP dle „burden of disease“ (NICE, NED) či „jinak“ (SVK)

5. Metody odvození WTP (mzda, HDP, kazuistiky, reálná WTP)

6. Další omezení nad rámec WTP (BIA, sběr dat, přehodnocení aj.)

7. Závěr

Úvod a cíl prezentace

Úvod



Existuje celá řada přístupů k odvození hranice ochoty platit (WTP)

Vzhledem k omezeným finančním možnostem je nutné „stanovit“ WTP (méně často „odvodit“)

Nad rámec WTP jsou uplatňovaná další finanční a jiná omezení týkající se výše dopadu do rozpočtu, sběru dat, předkládání dodatečné klinické evidence atd.

Poznámka: výčet této prezentace není vyčerpávající a nejsou zde uvedeny všechny země světa, výběr se týká hlavních HTA zemí se „zajímavými“ WTP



Proč je důležité se WTP zabývat?

V ČR vzrostla celková cenová hladina mezi lety 2013 a 08/2022 o 36,5% (dle indexu spotřebitelských cen, HICP EUROSTAT), a cenová hladina dále roste až skoro o 20%

Přirozeně rostou náklady léků na: R&D (+ je v čase složitější vymyslet molekulu), platy, distribuci, obalový materiál, propagaci, organizaci klinických studií aj.

Zdravotní „inflace“ je však ještě vyšší, kdy náklady na zdravotnictví mezi lety 2013 a 2020 vzrostly o 64,4% (Eurostat) oproti roku 2020, ale dále významně rostly ceny

Naproti tomu WTP pro inovativní terapie zůstala „fixní“ stále na výši 1.2 milionu Kč/QALY

Fixní WTP a další bariéry vstupu mohou přinést dlouhodobé problémy v podobě nižší ochoty vstoupit/žádat v ČR o úhradu standardní cestou, což v konečném důsledku bude znamenat nedostupnou účinnou péči o pacienty

Fixní WTP na jedné straně a vstup bez omezení (orphani, VILPy) může přinést nerovnováhu v rámci celého systému z pohledu celkového populačního zisku QALY při daném fixním rozpočtu

Cílem této prezentace je diskuse a představení různých možností k odvození WTP a především otevření odborné diskuse nad tématem WTP

Typy přístupů k WTP: výhody a nevýhody

1. Fixní WTP

Fixní WTP



Tento přístup je aplikovaný např. v **ČR**, kde je zafixovaná WTP ve výši 1.2 milionu Kč/QALY

Výhody

Jasná pravidla pro všechny léky, rovnost podmínek

1 QALY = 1 QALY, které v sobě nese všechny údaje o onemocnění a terapii (větší nenaplněná potřeba léčby = vyšší možnost zisku QALY, méně možností léčby = vyšší potenciál zisku QALY atd. atd.)

Nevýhody

Není možná stratifikace/rozlišení daných léků: 12. insulin je stejný jako 1. průlomová terapie na geneticky podmíněné vzácné onemocnění bez orphan statusu u dětí

Není možné stratifikovat závažnější/méně závažná onemocnění

Není jasně daná „valorizace“ WTP (inflace mezi 2013 a 08/2022 v ČR dle HICP = 36.5%)

Není možné bonifikovat/penalizovat vzhledem k nejistotě výsledkům CEA (vs. NICE/SMC přístup pásem WTP)

2. WTP ve „fixním pásmu“ či „pásmu“

WTP ve „fixním pásmu“ či „pásmu“

NICE používá „fixní pásmo“

SMC nemá horní limit, ale rozhodnutí jsou zpravidla v pásmu mezi 20 až 30 (50)k£/QALY

CEA je hodnocena nikoliv k „fixní“ WTP, ale tato WTP je v „pásmu“ (např. 20-30k £/QALY) v závislosti na: jistotě klinického efektu, jistotě CEA (PSA, OWSA, SA)

Výhody

Méně předvídatelná WTP → motivace vysvětlit všechny okolnosti CEA a ukázat (ne)jistotu výsledku

Možnost plně využít výsledky CEA a nejistoty z ní plynoucí (zejména plynoucí z klinických dat) pro rozhodování o úhradě léku

1 QALY = 1 QALY, které v sobě nese všechny údaje o onemocnění a terapii

Nevýhody

Méně předvídatelná WTP ve vztahu k vlastním datům (nejistota ceny, návrhu slevy)

Pravděpodobně „politický“ tlak směrem k vyšší WTP bez výjimky (tlak směrem k 30k/QALY pro všechny)

Není jasně daná valorizace WTP (podobně jako v ČR)

Není možná stratifikace dle typu léků (1. vs. 20.), závažnosti onemocnění a dalších faktorů jako u fixní WTP

3. Více existujících WTP



Více existujících WTP

Platí i v ČR: bez WTP (VILP, §39da), s WTP 1.2 mil Kč (ostatní)

UK/NICE: WTP v pásmu (standard), HST (orphani a speciální terapie: 100-300k £ dle inkř. zisku QALY)

Scot/SMC: WTP v pásmu (standard), PACE system (end-of-life medicines, orphans, ultra-orphans) pokud nesplněna standardní cesta

Slovensko a tři různé systémy během 5 let, speciální pravidla pro orphany (bez omezení dříve, dnes výrazně navýšená WTP (viz další část prezentace))

Obecně pokud systém aplikuje hranici ochoty platit někde a jinde ne, tak existuje v systému více hranic ochoty platit, což může přinést nerovnováhu (někdy chtěnou ve prospěch dané terapie, někdy nechtěnou)

V ČR např. neexistuje v realitě WTP pro zdravotní prostředky, nemocniční výkony a další segmenty zdravotní péče mimo léky (byť se u některých terapií WTP nehodnotí, CEA/BIA se stále musí předkládat a je důležitou informací v rámci procesu posuzování úhrady)

Více existujících WTP: Slovensko do třetice všeho dobrého



(1) Slovensko mezi lety 11/2011 a 12/2017 používalo WTP navázanou na hrubou mzdu

Trvalá úhrada byla **24násobkem** hrubé mzdy ($\approx \text{€}22000/\text{QALY}$ (2017))

Podmíněná úhrada byla **35násobkem** hrubé mzdy ($\approx \text{€}31000/\text{QALY}$ (2017))

(2) Slovensko mezi lety 01/2018 a 08/2022 používalo WTP navázanou na hrubou mzdu s 5 faktory: 1) hodnocení v jiných zemích (FRA, GER, SMC, NICE), 2) počet komparátorů, 3) suma úhrad (BIA), 4) inkrement QALY a 5) orphan status

Počáteční prahová hodnota byla **35násobek** hrubé mzdy

Dle kritérií mohl žadatel získat -7 až +6 násobků (tj. **28 až 41 násobek mzdy**)

Orphani s incidencí <1:50 000 obyvatel **bez omezení**

(3) Slovensko od 09/2022 využívá WTP odvozenou od HDP a inkrementálního zisku QALY: **$<0.33 \Delta\text{QALY} = 2x\text{HDP}$, $\geq 0.33 \Delta\text{QALY} = 3x\text{HDP}$**

V případě orphanů/specializovaných technologií je to **3/5/10 násobek HDP** v závislosti na inkrementálním (Δ) zisku QALY (**0-0.32; 0.33-0.49 a ≥ 0.50**)

Více existujících WTP spolu s flexibilní WTP: Švédsko

Odlišná hranice ochoty platit pro odlišně závažná onemocnění

702 000 SEK = 1 570 000 CZK

988 000 SEK = 2 200 000 CZK

Svensson et al. (2015)

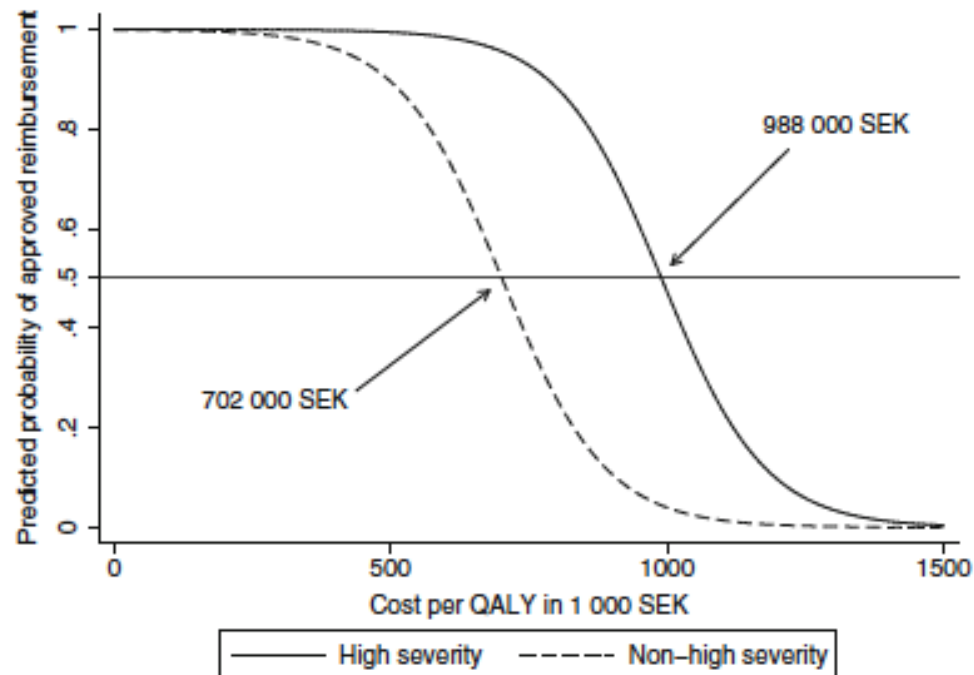


Fig. 1 Predicted probability of approved reimbursement at different costs per quality-adjusted life-year. *QALY* quality-adjusted life-year, *SEK* Swedish kronor

Více existujících WTP: výhody a nevýhody

Výhody

Možnost rozlišit různé terapie podle daného faktoru, např.
přínosu (např. Δ zisk QALY, relativní zisk QALY aj.)
typu léčby (orphan, VILP, specializovaná terapie, end-of-life terapie)
závažnosti onemocnění (burden of disease)
dopadu na rozpočet
jistoty klinických dat ...

Někdy je „inherentní“ valorizace WTP (např. HDP, mzda): výhoda v podobě reflexe rostoucí ekonomické úrovně + inflace (v HDP je inflace přímo, mzdy v delším období kopírují inflaci)

System explicitně říká „co chce“ a „jak chce“ a koho zvýhodňuje, což zamezuje obcházení systému (např. §16, nátlakové akce pacientů, medializace, kritika systému jako celku)

Nevýhody

Často „nejasné“ cut-offy, snaha se posunout do vyššího pásma

„Nespravedlivé“ pro terapii na samém okraji, výhodnější je mít „flexibilní pásmo“ á la NICE HST a nikoliv více „cut-offů“ (jak např. Slovensko)

Nejasná „kritéria“ pro zařazení do systému (HST (UK), platný orphan status EMA (CZ))

Zvýhodňování některých terapií na úkor jiných, např. Slovensko a orphany 1:50 000, ČR a orphany, NICE HST ... = vznik „paralelních“ systémů

4. WTP dle „burden of disease“ či „jinak“

WTP dle burden of disease: NICE Disease severity modifiers (2022)



Base-case ICER u závažných onemocnění = 20 až 30 000 GBP/QALY (podle nejistoty)

Váha QALY = zvyšují QALY

Pokud mám 10, tak budu mít až 1,7

Proporční „zvýšení“ WTP thresholdu

(Tj. 36 000 až 51 000 GBP/QALY)

Table 6.1 QALY weightings for severity

QALY weight	Proportional QALY shortfall	Absolute QALY shortfall
1	Less than 0.85	Less than 12
x1.2	0.85 to 0.95	12 to 18
x1.7	At least 0.95	At least 18

Absolute QALY shortfall = o kolik QALY přijdu vlivem onemocnění oproti běžné populaci (min 0; max = počet QALY v běžné populaci)

Např. diagnóza ve 40 letech, očekávaná doba dožití 40 let (LYG), což odpovídá např. 30 QALY. Pokud během onemocnění získávám 5 QALY, tak ztrácím absolutně 25 QALY

Proportional QALY shortfall = absolute shortfall/QALY v obecné populaci (min 0, max 1)

V našem případě tedy $25/30 = 0.83333$

„Větší bere“, co má větší závažnost, tak tolik mám ICER z těchto dvou kritérií (tj. QALY shortfall), který ukazuje 25 QALY (QALY weight 1.7 vs. 0.833, kde je to 1.2)

„Je v rámci rozmezí“ = tj. není jako HST proporční ICER, ale $\times 1/1.2/1.7$ nic mezi tím (vše diskontované dle reference case, tj. 3.5%)

WTP dle burden of disease (NED (ZIN)) (2015)



Publikace Nizozemskou HTA agenturou (Zorginstituut Nederland) (2015)

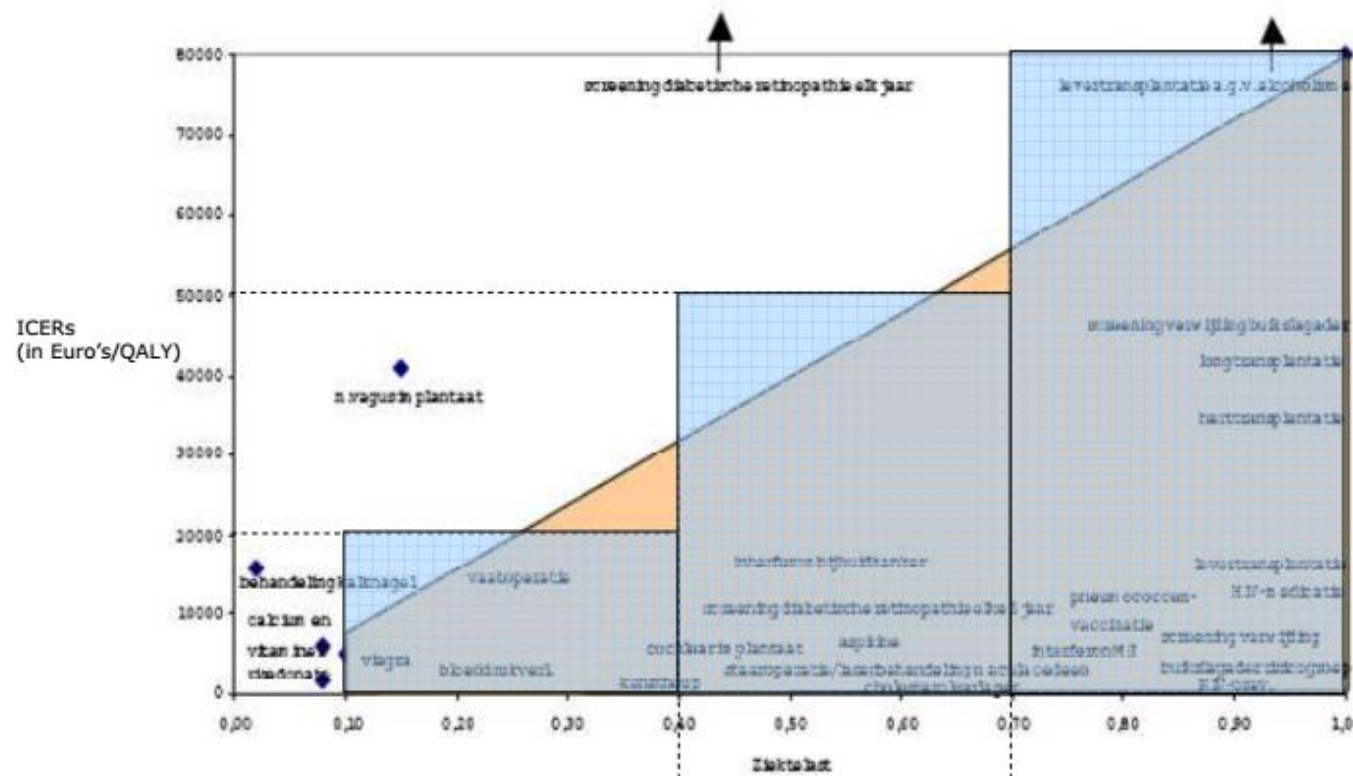
Burden of disease je kalkulován jako „**proportional shortfall**“ (podobně jako v NICE)

Hranice ochoty platit se odvíjí od tzv. „burden of disease“

Od €20 000 do €80 000/QALY

Burden of disease	Maximum additional costs (€) per QALY
From 0.1 up to and including 0.4	Up to €20,000 per QALY
Between 0.41 and 0.7	Up to €50,000 per QALY
Between 0.71 and 1.0	Up to €80,000 per QALY

Voorgestelde drempelwaarden ICER t.o.v. ziektelast*



WTP dle burden of disease (BOD): výhody a nevýhody



Výhody

Reflexe nenaplněné potřeby léčby

Zvýhodňuje terapie na onemocnění s vysokou nenaplněnou potřebou

V případě NICE/ZIN zřejmé začlenění BOD do existujícího rámce ICER/QALY, což usnadňuje interpretaci a nevytváří další paralelní systém

Jasná pravidla pro všechny léky (byť existuje drobná nejistota výpočtů BOI)

„Politická“ shoda na tom, které terapie chceme zvýhodnit

Nevýhody

1 QALY = 1 QALY, bez ohledu na závažnost onemocnění

Znevýhodňuje nové terapie, kde již existuje účinná terapie

Znevýhodňuje onemocnění na konci pacientova života (nižší absolute i proportional QALY shortfall)

Arbitrární určení „cut-offů“ pro BOI, proč 0.2, proč 0.3 nebo 0.95

Není jasná valorizace WTP v čase

WTP dle inkrementálního zisku QALY: Highly specialized technology programme



Basecase ICER = 100 000 £/QALY, možnost navýšení až na 300 000 £/QALY

Table 6.2: QALY weightings for size of benefit for highly specialised technologies

Incremental QALYs gained (per patient using lifetime horizon)	Weight
Less than or equal to 10	1
11 to 29	Between 1 and 3 (using equal increments)
Greater than or equal to 30	3

Výhody: relativně přínosnější terapie jsou systémem zvýhodňovány na úkor jiných

Nevýhody: 1 QALY je stále 1 QALY

WTP dle více kritérií (SK)



(2) Slovensko (viz výše): hodnocení v jiných zemích (FRA, GER, SMC, NICE), počet komparátorů, suma úhrad (BIA), inkrement QALY a orphan status

5. Metody odvození WTP

Metody odvození „základní“ WTP

Dle HDP na hlavu (vychází z doporučení WHO dle HDP (Eichler (2004); 1-3x HDP) (3x HDP byl podklad pro rozhodování i v ČR do roku 2013)

Dle hrubé mzdy: Slovensko

HDP i hrubá mzda reflektují ekonomickou úroveň obyvatelstva, kupní sílu, inflaci

Dle „vlastní“ rozhodovací praxe z minulosti: NICE, SMC, SUKL, TLV (Švédsko), ČR i když prapůvod odvození byl v 3x HDP, tak SUKL vše odvodil ze svých minulých řízení

Dle existujících hrazených terapií v systému Claxton et al. (2013)

K. Claxton a kolegové odhadli tuto „stínovou cenu“ za získané QALY na £18 317

3 Central or 'best' estimate of the threshold

3.1 The most relevant threshold is estimated using the latest available data (2008 expenditure, 2008-10 mortality). The central or 'best' threshold is estimated to be **£18,317 per QALY**.

Metody odvození „extra“ WTP



Bez WTP (ČR §39da + VILP, orphani Slovensko 2018-2022)

Dle inkrementálního zisku QALY (NICE HST, Slovensko dle novely 2022)

Dle závažnosti onemocnění (burden of disease): NICE severity modifiers, Nizozemí burden of disease (ZIN)

Dle jiných kritérií (Slovensko 2018-2021)

6. Další omezení nad rámec WTP

Další omezení/rozvolnění

NICE a dopad do rozpočtu: pokud **netBI > 20 mil £**, nutnost vstoupit do jednání (dialogue) s NHS „*to agree special arrangements to better manage the introduction of new technologies recommended by NICE*“

Při přepočtu na ČR se jedná o přibližně 100 mil Kč/rok

Tato hranice je prostupná a znamená „vstup“ do dialogu, nikoliv nepřekročitelnou hranici (tak jak je to v ČR například)

NICE a ICER < **10 000£/QALY** = „fast track“ vstup do systému

ČR: metodiky VZP/SZP a jednání o **zastropování** dopadu do rozpočtu pro první 3 roky

Slovensko **dříve limit 1,5 mil EUR** pro trvalé/podmíněné zařazení

Povinnost **sběru a vyhodnocení dat** (ČR §39da, NICE HST atd.)

7. Závěr

Závěr



Všechny léky jsou si rovny, ale některé jsou si rovnější (orphany, onemocnění s vysokou nenaplněnou potřebou léčby) – společnosti/systemy po celém světě tyto terapie **chtějí zvýhodňovat**, otázka zní: **jakým způsobem? Jak moc? A za jakou cenu?**

WTP by ideálně MĚLA být:

Jasně odvozená a zdůvodněná

Předvídatelná v čase

Valorizovaná v čase

Adekvátně vysoká, aby umožnila vstup inovací, ale zároveň aby umožnila reálné financování systému (příliš vysoká WTP znamená vstup všech na úkor jiných technologií, příliš nízká WTP odrazuje vstup nových terapií)

Jakékoliv změny by měly být široce diskutovány a mělo by být dosaženo shody mezi stakeholdery (plátcí, HTA agentury, firmy, poskytovatelé, ostatní v systému)

WTP by ideálně NEMĚLA:

Podléhat krátkodobým politickým tlakům (ted' snížím, zvýším, orphani bez omezení, s omezením (podobně jako na Slovensku v minulých letech))

Závěr



Při diskusi o WTP vždy vycházejme z toho, že sama CUA v sobě nese informaci o celé řadě skutečností:

Krátké dožití: možnost prodloužení přežití a tedy vyššího zisku QALY

Nízká kvalita života: možnost jejího zvýšení

Neexistence komparátora: možnost vyššího přínosu léčby

Nenaplněná potřeba léčby: možnosti ovlivnění daného onemocnění a vyššího zisku QALY, úspor ostatních terapií atd.

Jak říká A. Briggs: CUA je forma MCDA

Cost utility analysis IS a form of MCDA!

- Length of life
- Quality of life
 - Mobility, self-care, usual activities, pain/discomfort, and anxiety/depression
- Treatment cost
- Cost-offsets



**Česká společnost pro farmakoekonomiku a hodnocení
zdravotnických technologií**
Václavská 316/12, Praha 2
www.farmakoekonomika.cz