

# ČFES pracovní skupina pro hranici ochoty platit (WTP) ve vztahu k přidané hodnotě terapie (Added Value): závěry a možné inspirace pro ČR (white paper)

## I. Úvod a východiska

Hranice ochoty platit (willingness-to-pay threshold (WTP)) je integrální součástí procesu posouzení zdravotních technologií. V ČR začala být WTP aplikovaná s novou legislativou v roce 2008, mohutněji poté po roce 2011, od kdy byl postupně aplikován přístup trojnásobku HDP na hlavu (dle WHO). Tento přístup vedl v čase k rostoucí WTP, která odrážela vyšší HDP (tedy růst ekonomické úrovně i cenové hladiny společně), avšak tento růst se rozhodovací praxí zafixoval v roce 2017 na hodnotu 1,2 milionu Kč za rok života v plném zdraví (QALY).(1) Od roku 2017 je tedy v ČR aplikovaná jednotná fixní hranice WTP pro standardní úhradu lékových technologií z prostředků veřejného zdravotního pojištění (pozn. tato hranice není standardně aplikovaná pro léky na vzácná onemocnění dle §39da a v rámci prvotního vstupu vysoce inovativních přípravků dle §39d zákona o veřejném zdravotním pojištění). Tato WTP je v čase neměnná a rovněž nezohledňuje přidanou hodnotu terapie, nenaplněnou potřebu, a to ani při prokazatelně vyšší inflaci či bohatnutí společnosti (ekonomickém růstu). Cílem pracovní skupiny ČFES bylo zmapovat zahraniční přístupy k WTP a celé řady dalších souvisejících aspektů procesu posuzování, které by mohly být inspirací i pro ČR.

## II. Přehled literatury a zahraničních přístupů k WTP (metody)

V rámci přehledu zahraničních zemí byly zařazeny následující země, o kterých je obecně známé, že mají rozvinutý HTA systém a mohou tak být inspirací i pro ČR:

- anglosaské země (Velká Británie (NICE), Skotsko (SMC), Kanada, USA, Austrálie)
- severské státy (Dánsko, Norsko, Švédsko, Finsko)
- další vybrané země z EU (Francie, Holandsko, Belgie, Slovensko).

V rámci přehledu zahraničních zemí byla sledovaná celá řada informací, které byly identifikovány jako zásadní pro úhradový proces a které by bylo možné aplikovat i v ČR. Konkrétně se review zahraničních přístupů zaměřilo na zjištění následujících informací, zejména:

- počet WTP hranic v dané zemi a jejich výše
- zvýšení WTP pro speciální intervence nebo onemocnění (vzácná onemocnění, terapie na konci života, vysoká nenaplněná potřeba léčby aj.)
- zvýhodnění v rámci systému při prokazatelně nižší hodnotě ICER, významněji pod WTP
- jak byla WTP odvozena a na co je navázána
- valorizace WTP v čase
- faktory ovlivňující výši WTP (např. nenaplněná potřeba léčby, zisk QALY, klinický benefit, závažnost onemocnění, kurativní potenciál, vliv na kvalitu života, neexistence alternativ, prodloužení života aj.)
- aplikovatelnost WTP (všechny intervence, pouze některé, výjimky)
- vliv dopadu na rozpočet na rozhodovací proces a případné výše limitů BIA.

### III. Přehled literatury a zahraničních přístupů k WTP (výsledky)

Z přehledu literatury vyplynulo, že používání jedné v čase fixní hranice WTP, tak jako je tomu v ČR, je zcela ojedinělým přístupem ve studovaných zemích. V zemích, které byly předmětem rešerše, zpravidla existuje více WTP hranic, které berou v potaz další faktory nebo je WTP flexibilní. WTP může být ve více variantách pro různé typy intervencí nebo WTP není přesně definovaná, nicméně obvykle reflektuje přidanou hodnotu intervence/ míru inovace/ neexistence alternativ (klinický přínos, vliv na kvalitu života, inkrement QALY), závažnost onemocnění, nenaplněnou potřebu léčby, jistotu či nejistotu klinických dat, vzácnost daného onemocnění, dopad do rozpočtu.

Jednotlivé přístupy zemí k WTP by se daly svým přístupem obecně rozdělit do několika kategorií:

	<i>kategorie</i>	<i>Země/ HTA přístup</i>
1.	<b>země s jasně stanovenou WTP</b>	Velká Británie (NICE), Skotsko (SMC), Holandsko, Kanada, Slovensko
2.	<b>země bez fixně stanovené WTP, ale rozhodující dominantně na základě ICER</b>	Švédsko, Finsko, Dánsko, Norsko
3.	<b>země bez stanovené WTP rozhodující na základě ICER i ostatních faktorů</b>	Belgie, USA, Austrálie
4.	<b>země bez stanovené WTP a nerozhodující podle ICERu</b>	ve všech studovaných zemích implicitně či vstupuje hodnota ICER do rozhodovacího procesu vyjma Francie, kde explicitně nevstupuje, ale implicitně ano. V Evropě by takovou zemí bylo dále například Německo, která nákladovou efektivitu nehodnotí, avšak Německo je v tomto ohledu ojedinělé svým přístupem.

Další kategorizací by poté mohl být **samotný přístup k WTP**, konkrétně:

- 1) **Více fixních WTP hranic či fixních pásem**
  - Velká Británie (NICE), Skotsko (SMC), Holandsko
- 2) **WTP není přesně určená a je v pásmu**
  - Austrálie, Švédsko, Finsko, Dánsko, Norsko, Kanada, Austrálie
- 3) **Fixní WTP hranice navázaná na nějaký parametr (např. HDP)**
  - Slovensko, ne úplně zřejmě také v Kanadě
- 4) **Fixní hranice není přesně definovaná/odvoditelná**
  - Francie, Belgie, USA

Nejobtustnější systém v současnosti aplikuje pravděpodobně anglický NICE (a tedy anglická NHS), který po dlouholetých debatách aktualizoval svou metodiku v roce 2022.(2) Hodnocení NICE je charakteristické tím, že do něho dominantně vstupuje hodnota ICER, která je rozhodující. Základní WTP je stanovena ve dvou fixních hranicích (20 nebo 30 tisíc £/QALY) podle nejistoty vstupních dat a farmakoekonomické analýzy. Tato WTP může být zvýšena až na 50 tisíc £ při vysoké závažnosti onemocnění měřené pomocí tzv. absolutní ztrátou QALY u pacientů (absolute QALY shortfall) nebo

proporční ztrátou QALY (proportional QALY shortfall), kdy je bonifikovaný zisk QALY ve dvou dalších pásmech (zisk QALY krát 1,2 nebo krát 1,7). V případě vysoce specializovaných technologií (HST: např. léky na vzácná onemocnění nebo jiné specializované technologie) je poté WTP zvýšena na základní hodnotu 100 tisíc £, která může být poté dále zvýšena až na maximum 300 tisíc £ dle zisku inkrementálního QALY (10-30).

Skotský SMC aplikuje taktéž WTP ve výši 20 a 30 tisíc £ jako NICE, avšak nad rámec standardní WTP jsou aplikovány modifikátory WTP, které mohou zvýšit WTP nad tuto hranici (např. nenaplněná potřeba léčby, ovlivnění kvality života a přežití aj.).

Podobný přístup jako WTP aplikuje i holandský ZIN, a to již od roku 2015, kdy se hodnotí závažnost onemocnění taktéž pomocí proportional QALY shortfall. Zde se pravděpodobně inspiroval i NICE. Nizozemí takto definuje tři hodnoty WTP: 20 tisíc €, 50 tisíc € a 80 tisíc €/QALY, při hodnotách proportional QALY shortfall do 0,4; do 0,7 a nad 0,7 respektive.(3)

Systematický přístup ke kalkulaci očekávané výše WTP je u vybraných zemí jako je UK, NL uveden na tomto odkazu: [iDBC - iMTA](#).

Další zemí s několika WTP je Kanada, která má hranice WTP ve výši 100 – 150 - 200 tisíc CAD/QALY. Prahová hodnota WTP je spojena s nenaplněnou medicínskou/ patientskou potřebou intervence v daném onemocnění, inovativností, kvalitou podkladových důkazů, velikostí klinického účinku, úsporou zdrojů a/nebo přidanou hodnotou u nových lékových technologií. Přínos intervence vs komparátor (na úrovni klinickém a inkrementu QALY) je pak zásadním prvkem odrážející příslušnou prahovou hranici WTP.

Podobně i Slovensko aplikuje několik fixních hranic WTP, které jsou navázané na hrubý domácí produkt (HDP). Základní WTP je určena na 2násobek HDP (dnes 36 tisíc €/QALY), a to pro intervence s inkrementem QALY do výše 0,33. Tato hranice může být zvýšena na 3násobek (pro intervence s inkrementem QALY > 0,33). Pro léčiva ze skupiny orphans a ATMP je pak na úrovni 3, 5 až 10násobek HDP, v závislosti na inovativnosti terapie, resp. inkrementu QALY (do 0,33, do 0,50 a nad 0,5 inkrementu QALY). Slovensko má ze všech studovaných zemí WTP hranici, která je navázaná na nějakou další validní „metriku“, kterou je HDP. Výhoda valorizace HDP je ta, že odráží nejen rostoucí produktivitu (bohatství) země, ale je počítána v daných cenách, tedy se do ní přímo promítá i rostoucí (či klesající) cenová hladina.

Další skupina zemí nemá explicitně stanovenou WTP a rozhoduje v určitém „pásmu“ na základě dalších faktorů, avšak dominantní jsou právě výsledky analýzy nákladové efektivity (Švédsko, Finsko, Dánsko, Norsko). WTP poté ovlivňují následující faktory: závažnost onemocnění, nenaplněná potřeba léčby (ať již nespécificky, nebo pregnantně skrze QALY shortfall), klinický přínos terapie (inkrement QALY), vzácnost onemocnění, neexistence alternativ aj. Výjimky ze systému WTP jsou spíše vzácné, avšak bývají obecně aplikovány na léky na vzácná onemocnění nebo jiné speciální technologie neschopné z definice splnit WTP (Dánsko).

Poslední skupina zemí WTP přímo v procesu neaplikuje nebo má pouze informativní charakter (Belgie, USA, Francie, Austrálie). Tyto země rozhodují zpravidla „komisionálně“ na základě celé palety informací, jako jsou například data o účinnosti, bezpečnosti, závažnosti daného onemocnění, nenaplněné potřebě léčby, vzácnosti onemocnění či dopadu na rozpočet. V případě USA je WTP sledována, ale rozhodnutí o úhradě dané terapie je vždy plně v diskreci dané pojišťovny; zpravidla však platí, že čím bohatší pojišťovna (vyšší platby pojistného pojistěnci), tím nákladnější technologie si může dovolit hradit, a tedy je aplikována vyšší WTP.

V případě celé řady zemí vstupuje dále do rozhodovacího procesu i výše dopadu na rozpočet (BIA). Tyto hranice někdy určují samotnou nutnost i. předložení farmakoekonomických analýz, kdy v případě malého dopadu na rozpočet není potřeba je předkládat a nebo ii. posuzování v rámci jiného orgánu. Hranice BIA bývají velmi různorodé, avšak společným jmenovatelem bývá to, že při překročení dané hranice je povinnost žadatele o úhradu vstoupit do jednání s plátcí zdravotní péče a jednat o limitaci nákladů. Tyto hranice jsou nicméně „prostupné“ ve smyslu, že je možné je překročit, to se týká např. Velké Británie (NICE), Holandska, Norska; takto postupuje pravděpodobně většina zemí, avšak konkrétní hodnoty limitů BIA není možné systematicky dohledat.

Nutno konstatovat, že WTP není explicitně valorizována v čase u všech zkoumaných zemí vyjma Slovenska. Je zřejmé, že zvyšování cen probíhá v celé ekonomice a zdravotní sektor není výjimkou, což lze vyčíst i z výdajů na zdravotní péči, která obecně roste rychleji než inflace. Naproti tomu je však třeba uvést, že u zemí s fixně stanovenou WTP probíhá aktualizace této hranice, odrážející potřeby praxe (zvyšování nákladů) a nebo se jedná o země, kde není stanovena fixní WTP, a tedy je možné posuzovací a rozhodovací praxi adekvátně upravit v čase (bez explicitně uvedené nutnosti valorizace).

## IV. Možné aplikace zahraničních přístupů v ČR a doporučení pro kultivaci WTP

Provedené review zahraničních přístupů ukázalo, že český přístup k definici výše WTP je velice ojedinelým spíše rigidním, kdy v případě aplikace WTP hranice (výjimky pro VILP při prvním vstupu a léků se statusem Orphan) je uplatňována pouze jedna výše.

Aktuálně uplatňována výše WTP v ČR (1,2 ml. Kč/ QALY) je na úrovni 1,86 HDP na osobu v ČR (ČSÚ 2022). Dle WHO se pak jedná o doporučení na úrovni 1 - 3 HDP/ osobu.

V případě snahy o **úpravu české WTP tak, aby byla jednoznačně reflektována jak přidaná hodnota terapie, tak nenaplněná potřeba v daném onemocnění**, existuje celá řada inspirativních přístupů ze zahraničí. **Tyto přístupy mohou zachovat současný rámec rozhodovacího procesu založeného na ICER/QALY**, těmito přístupy mohou být např.:

### - Kvantitativní hodnocení přidané hodnoty terapie

- adjustace podle proporčního či absolutního snížení QALY (viz NICE a Holandsko).
- adjustace dle inkrementu QALY (NICE HST, Slovensko).
- adjustace s ohledem na typ intervence (ATMP, orphans, atp.)
- ...kombinace výše uvedeného

*Tento přístup by vyžadoval další/ hlubší analýzy stávajících výsledků FE hodnocení, aby jednotlivá kritéria inkrementu/ dekrementu (absolutního, proporčního) QALY byla volena adekvátně*

### - Kvalitativní, měkkí hodnocení přidané hodnoty terapie

Hodnotící WTP v pásmu, v tomto ohledu by implementace v ČR vyžadovala nejprve toto pásmo definovat a následně určit faktory ovlivňující WTP. Rozhodování na úrovni WTP v pásmu představuje volatilní přístup s poměrně obtížněji definovanou úrovní predikovatelnosti

### - Otázka valorizace/ úpravy v čase

- Explicitní navázání základní výše WTP na ekonomický ukazatel, který se na roční bázi valorizuje (nárůst HDP, atp.)
- Pravidelná úprava (á 2-3 roky) kalkulace výše WTP s ohledem na aktualizované poznání a praxi

### - Stanovení základní výše/ ukotvení základů pro WTP

- Vycházet ze stávající rozhodovací praxe (1,2 mil. CZK/ QALY)
- Navázání na ekonomický ukazatel (násobky HDP, dle doporučení WHO)

### - Zohlednění rychlejšího/ širšího přístupu k pacientům v případě existence nízké hodnoty ICER vs. WTP hranice

Výsledky review a doporučení ČFES mohou posloužit v případném budoucím procesu ve věci kultivace přístupu k WTP, kdy její adjustace, zohledňující přidanou hodnotu terapie, nenaplněnou potřebu a další hlediska, představuje s ohledem na stávající rigidní přístup společenskou poptávku.

## Reference

- Postup pro hodnocení nákladové efektivity (SP-CAU-028-W); Státní ústav pro kontrolu léčiv. <http://www.sukl.cz/leciva/sp-cau-028>.
- NICE health technology evaluations, the manual. Dostupné online na <https://www.nice.org.uk/process/pmg36/chapter/introduction-to-health-technology-evaluation>. 31.1.2022.
- ZIN. Cost-effectiveness in practice. Dostupné online na <https://english.zorginstituutnederland.nl/publications/reports/2015/06/16/cost-effectiveness-in-practice>. K 16.6.2015.
- Afschin, G. (2020). Willingness to pay for new medicines: a step towards narrowing the gap between NICE and IQWiG. *BMC Health Services Research*, 20:343.
- Cleemput I, N. M. (2012). KCE recommendation. Načteno z Belgian guidelines for economic evaluations and budget impact analyses: second edition. *Health Technology*: [https://kce.fgov.be/sites/default/files/2021-11/KCE\\_183\\_economic\\_evaluations\\_second\\_edition\\_Report\\_update.pdf](https://kce.fgov.be/sites/default/files/2021-11/KCE_183_economic_evaluations_second_edition_Report_update.pdf)
- KCE internal view on how to use these analyses. (June 2022). Načteno z [https://kce.fgov.be/sites/default/files/2022-06/SW2022\\_Public%20funding%20%28economic%20part%29\\_MAN.pdf](https://kce.fgov.be/sites/default/files/2022-06/SW2022_Public%20funding%20%28economic%20part%29_MAN.pdf)
- Luca, P. L. (2017). Dynamic outcomes based approaches to pricing and reimbursement of innovative medicines. A discussion document.
- Nederland, Z. (16. 6 2016). <https://english.zorginstituutnederland.nl>. Načteno z <https://english.zorginstituutnederland.nl/publications/reports/2016/06/16/guideline-for-economic-evaluations-in-healthcare>
- Threshold values for cost-effectiveness in health care. (2008). Centre, Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg Centre fédéral d'expertise des soins de santé Belgian Health Care Knowledge. Belgium.
- Zorginstituut. (2015). Cost-effectiveness in practice. Nederland.
- Lino H, Hashiguchi M, Hori S (2022) Estimating the range of incremental cost-effectiveness thresholds for healthcare based on willingness to pay and GDP per capita: A systematic review. *PLoS ONE* 17(4): e0266934. <https://doi.org/10.1371/journal.pone.0266934>
- Kouakou, C.R.C., Poder, T.G. Willingness to pay for a quality-adjusted life year: a systematic review with meta-regression. *Eur J Health Econ* 23, 277–299 (2022). <https://doi.org/10.1007/s10198-021-01364-3>
- David Cameron, Jasper Ubels & Fredrik Norström On what basis are medical cost-effectiveness thresholds set? Clashing opinions and an absence of data: a systematic review. *Global Health Action*, Volume 11, 2018 - Issue 1.
- <https://www.slov-lex.sk/pravne-predpisy/SK/ZZ/2022/298/>
- Guidance on NPAF: <https://www.scottishmedicines.org.uk/making-a-submission/>

- <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/>
- <https://www.has-sante.fr/>
- <https://doi.org/10.1787/5k43jc9v6knx-en>
- <https://www.oecd-ilibrary.org/content/paper/5k43jc9v6knx-en>
- [https://icer.org/wp-content/uploads/2020/10/ICER\\_Reference\\_Case\\_013120.pdf](https://icer.org/wp-content/uploads/2020/10/ICER_Reference_Case_013120.pdf)
- <https://journals.sagepub.com/doi/abs/10.1177/0272989X10371134?journalCode=mdma>
- <https://www.canada.ca/en/patented-medicine-prices-review/services/legislation/about-guidelines/guidelines.html>
- <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC7455764/>
- <https://www.canada.ca/content/dam/pmprb-cepmb/documents/consultations/draft-guidelines/2020/PMPRB-Guidelines2020-en.pdf>
- <https://www.ohe.org/publications/international-cost-effectiveness-thresholds-and-modifiers-hta-decision-making/>
- <https://lakartidningen.se/klinik-och-vetenskap-1/2007/10/halsoekonomiska-utvarderingar-har-stor-betydelse-for-lfns-beslut/>
- <https://lakartidningen.se/opinion/debatt/2018/08/ett-qaly-ar-vart-mer-an-tva-miljoner-kronor/>
- <https://bpl-prod.literatumonline.com/doi/10.2217/cer.15.38>
- PPRI Norway [https://ppri.goeg.at/ppri\\_pharma\\_profiles](https://ppri.goeg.at/ppri_pharma_profiles)