



**Joint Clinical Assessment (JCA), jeho praktické
otázky a implementace v ČR, novela
úhradového procesu vakcín
Pracovní den ČFES**

30/05/2024

Program



Čas	Téma	Přednášející
'5	Přivítání & úvod	Tomáš Mlčoch (ČFES)
'80	Blok: Joint clinical assessment	
'20	Úvod do problematiky a současný stav legislativního procesu	Jiří Klimeš Bálint Pásztor Milan Vocelka (ČFES)
'45	Panelová diskuse	Jakub Dvořáček (MzD) Jiří Štěrbá (VZP) Magdalena Vondráčková (SZP) Leoš Fuksa (SUKL) David Kolář (AIFP) Jiří Klimeš (ČFES)
'15	Diskuse/Q&A	Všichni
'45	Blok: Novela úhradového procesu vakcín	
'20	Update legislativního procesu a legislativní úpravy dle §39db	Tomáš Doležal (ČFES)
'10	Pohled externisty/průmyslu	David Kolář (AIFP)
15	Diskuse/Q&A	Všichni
'5	Zakončení/různé: WTP a added value – navázání na výstupy pracovní skupiny ČFES 23' a utvoření nové pracovní skupiny ČFES	
18:00-21:00	Večeře, Andělský Pivovar (Lidická 337/30, Praha 5)	



Co se povedlo od podzimní volební schůze

Zvýšení počtu členské základny na **190** (+38 od 11/2023)

Úspěšný přepis nového předsedy, výboru a revizní komise ČFES na Obchodním rejstříku (<https://or.justice.cz/ias/ui/rejstrik-firma.vysledky?subjektId=751903&typ=PLATNY>)

Zvýšení počtu sledujících LinkedIn na **417** (+82 od 11/2023)

(Snad) úspěšný seminář VZP + ČFES věnující se HTA zdravotnických prostředků a navazující na pracovní skupinu ČFES k HTA (zdravotně-ekonomickému) hodnocení vakcín

ČFES stabilním členem ISPOR (CZECH CHAPTER) + 2 postery na ISPOR EUROPE 2023

Daří se otevírat nová témata: diskutovat, souhlasit, nesouhlasit, posouvat a umět společně o tématech diskutovat mezi jednotlivými stakeholdery

ČFES jako partner v legislativním procesu



Zástupci ČFES byli přizváni k oponentuře změn v rámci legislativního procesu

1) Plánovaná „větší“ novela zákona o veřejném zdravotním pojištění: otázky HEOR/HTA (nikoliv out-of-scope), zejména:

a) Předkládání FE modelů (pouze Ústav) + za jakých podmínek

b) §39d, odst (2), písm b) (aka **nedosažení mediánu**)

c) §39c, odst. 2, písm b) (účinnost + **bezpečnost**)

*a) primární klinicky významný cíl v klinické studii **hodnoceného přípravku** prokázal, že v hodnoceném parametru, který má dopad na kvalitu života, došlo **v případě přímého srovnání** alespoň k 30 % zlepšení, **v případě nepřímého srovnání alespoň k 35 % zlepšení** oproti hrazené léčbě, **v případě parametru přežití bez progresu současně nejméně o 3 měsíce, nebo***

*b) se prokáže prodloužení střední doby celkového přežití alespoň o 30 % oproti hrazené léčbě, nejméně však o 3 měsíce-, **v případě nedosažení střední doby přežití je prokázáno snížení poměru rizik celkového přežití alespoň o 35 % oproti hrazené léčbě, nebo***

2) Novela zákona o veřejném zdravotním pojištění ve věci HTA vakcín (§39db)

3) Metodiky VZP a pomoc při kultivaci systému zdravotně-ekonomického hodnocení zdravotnických prostředků



Co se stále ne úplně daří, ale je na vzestupu 😊

Platby příspěvků, k 30.5.2024 zaplaceno pouze **56,3 % příspěvků** (nicméně výdaje ČFES jsou stále stejné). Pravděpodobně přibylo, ale stejně Vás prosíme o platby. Pojďme letos udělat rekord (**loni za rok 65% zaplacených příspěvků**)

Migrování emailových adres, často uvádíte Vaše pracovní, ale při změně zaměstnání poté „ztrácíme“ členy a těžko je poté zase „nacházíme“

Motivace? Pokud dosáhneme **80% platby příspěvků**, zaplatíme si útratu na neformálním posezení na podzim? 😊

1. Společné klinické hodnocení (JCA)

Co je „Joint Clinical Assessment“



- Dle čl. 2 Nařízení EU o HTA:
 - „vědecké **shromažďování** dostupných vědeckých důkazů o ZT a **popis její srovnávací analýzy** v porovnání s jednou či více dalšími ZT nebo stávajícími postupy, a to v souladu s rozsahem hodnocení dohodnutým podle tohoto nařízení a na základě vědeckých aspektů těchto klinických oblastí hodnocení zdravotnických technologií: popis zdravotního problému, který ZT řeší, a aktuální používání jiných ZT řešících tentýž zdravotní problém, popis a technické vlastnosti ZT, **relativní klinická účinnost a relativní bezpečnost ZT.**“

- Výstupem má být:
 - zpráva + souhrnná zpráva, které neobsahují žádný hodnotící úsudek ani závěry k celkové klinické přidané hodnotě ZT („overall clinical added value“), omezují se na popis vědecké analýzy:
 - a) popis relativních účinků ZT (podle zvolených parametrů daných rozsahem JCA)
 - b) popis míry jistoty relativních účinků při zohlednění silných stránek a limitací dostupné evidence

Vybrané povinnosti výrobců („HTD“)

- EC informuje HTD o rozsahu hodnocení a požádá o předložení dokumentace: první žádost
- Dokumentaci HTD předloží Sekretariátu HTACG (EC), nepředkládá se na úrovni ČS
- Pokud dokumentace byla předložena ve lhůtě a splňuje požadavky předá EC dokumentaci HTACG + předá o tom info HTD
- Pokud dokumentace nesplňuje požadavky, zasílá EC druhou žádost k doplnění
 - Pokud EC usoudí, že dokumentace po druhé žádosti nebyla předložena včas nebo nedosahuje požadavků, JCA se zastaví a EC vydá prohlášení s odůvodněním, o kterém informuje následně HTD
 - Pokud HTACG získá požadované chybějící informace (dokumentaci/údaje/analýzy) od členského státu, které stát obdržel od HTD (čl. 13 odst. 1 písm. e)), a které jsou předmětem žádosti (podle čl. 10) může HTACG zahájit znovu hodnocení, (nejpozději však 6 měsíců od uplynutí lhůty pro předložení dokumentace)
- EC může požádat o aktualizaci dříve předložených dat, analýz, důkazů

Vybrané povinnosti členských států

- Členské státy při provádění vnitrostátního hodnocení ZT, pro kterou byly zveřejněny již zprávy JCA nebo bylo zahájeno JCA:
 - a) zohlední náležitým způsobem zveřejněné zprávy o JCA a všechny další informace, tím není dotčena pravomoc členských států vyvodit závěry, pokud jde o celkovou klinickou přidanou hodnotu ZT v kontextu vlastního systému zdravotní péče, a posoudit ty části zpráv, které jsou pro daný kontext relevantní
 - b) připojí dokumentaci předloženou HTD k dokumentaci hodnocení na úrovni členského státu
 - c) připojí zveřejněnou zprávu o JCA ke zprávě na národní úrovni
 - d) nepožadují na vnitrostátní úrovni data, analýzy ani jiné důkazy, které HTD již předložil na úrovni EU
 - e) okamžitě sdílí s HTACG informace, které obdrží dodatečně od HTD pro společně hodnocenou ZT

- Členské státy poskytnou HTACG informace ohledně vnitrostátního hodnocení, pokud byla ZT hodnocena společně, a zejména poskytnou informaci, jak byly zohledněny zprávy o JCA při provádění vnitrostátních hodnocení

- EC na základě získaných informací vypracuje souhrnný přehled o využívání zpráv o JCA na úrovni členských států

Aktuálně



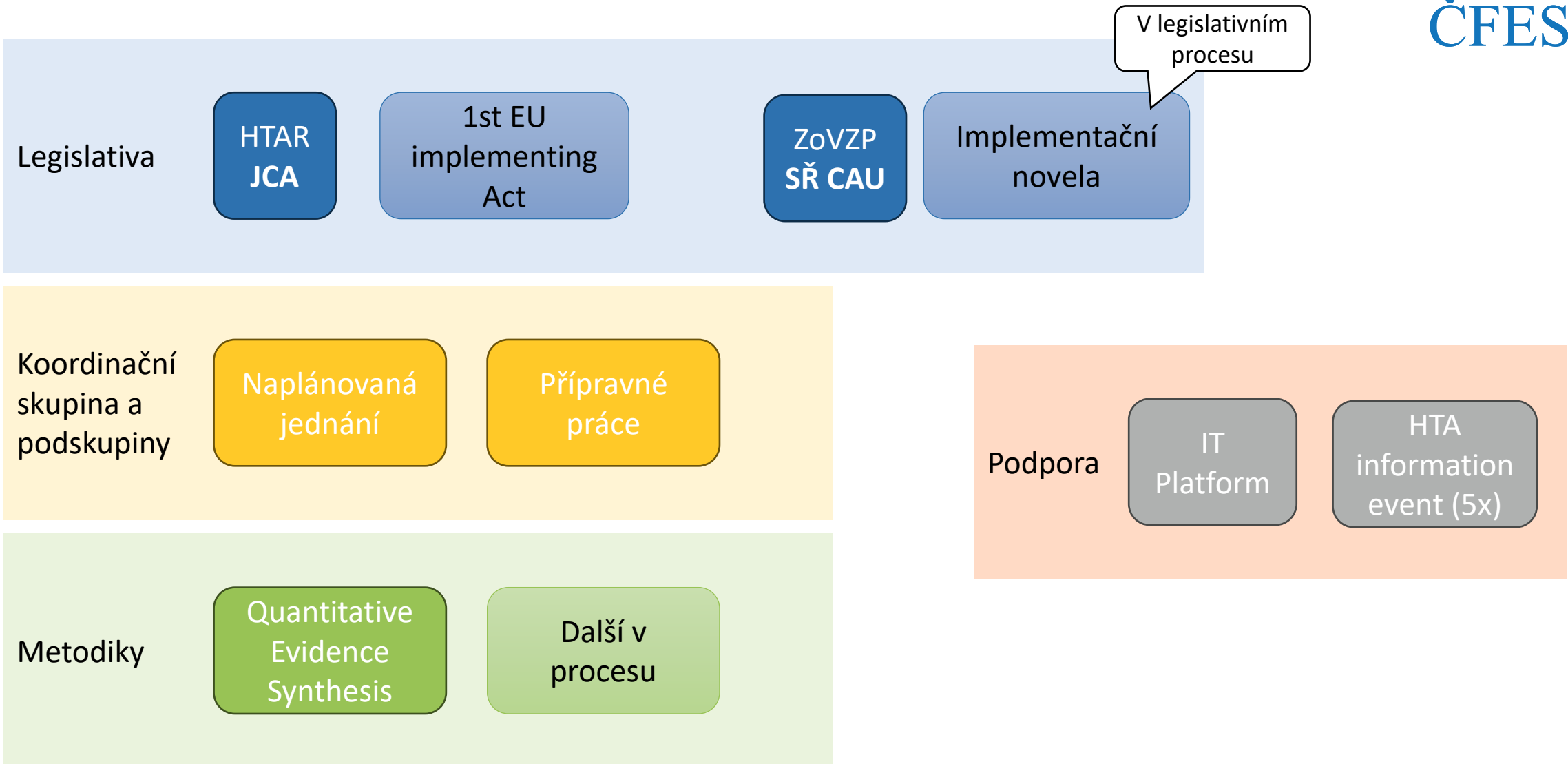
- Únor 2024:
 - Aktualizace Rolling planu ([odkaz](#))
 - Zveřejnění záznamu „From theory to practice: Implementing the EU HTAR“ ([odkaz](#))

- Březen 2024:
 - Methodological Guideline for Quantitative Evidence Synthesis: Direct and Indirect Comparisons ([odkaz](#))
 - Practical Guideline for Quantitative Evidence Synthesis: Direct and Indirect Comparisons ([odkaz](#))
 - Public consultation on implementing the EU Health Technology Assessment Regulation (“Have your say”) ([odkaz](#))

- Květen 2024:
 - Přijetí 1. prováděcího nařízení Komise (EU; Implementing Act) ([odkaz](#))

- Probíhající HTA Information Events napříč EU
 - Záznam zveřejněný zde:
 - https://health.ec.europa.eu/events/theory-practice-implementing-eu-health-technology-assessment-regulation-2024-01-30_en

Aktuálně – přehled aktivit



Guideline for Quantitative Evidence Synthesis

- Doporučení konkrétních metod pro jednotlivé případy, včetně uvedení limitací a pozitiv
- Obsah:
 - Obecné požadavky na syntézu evidence
 - Výběr studií a PICO
 - Vyhodnocení „exchangeability“, robustnosti, zdroje zkreslení „bias“, přístupy fixed- a random-effects, frekventistické a bayesovské metody, použití individuálních a agregovaných dat
 - Přímá srovnání
 - Nepřímá srovnání (vč. NMA, STC, MAIC)
 - Srovnání založená na nerandomizované evidenci (propensity score)

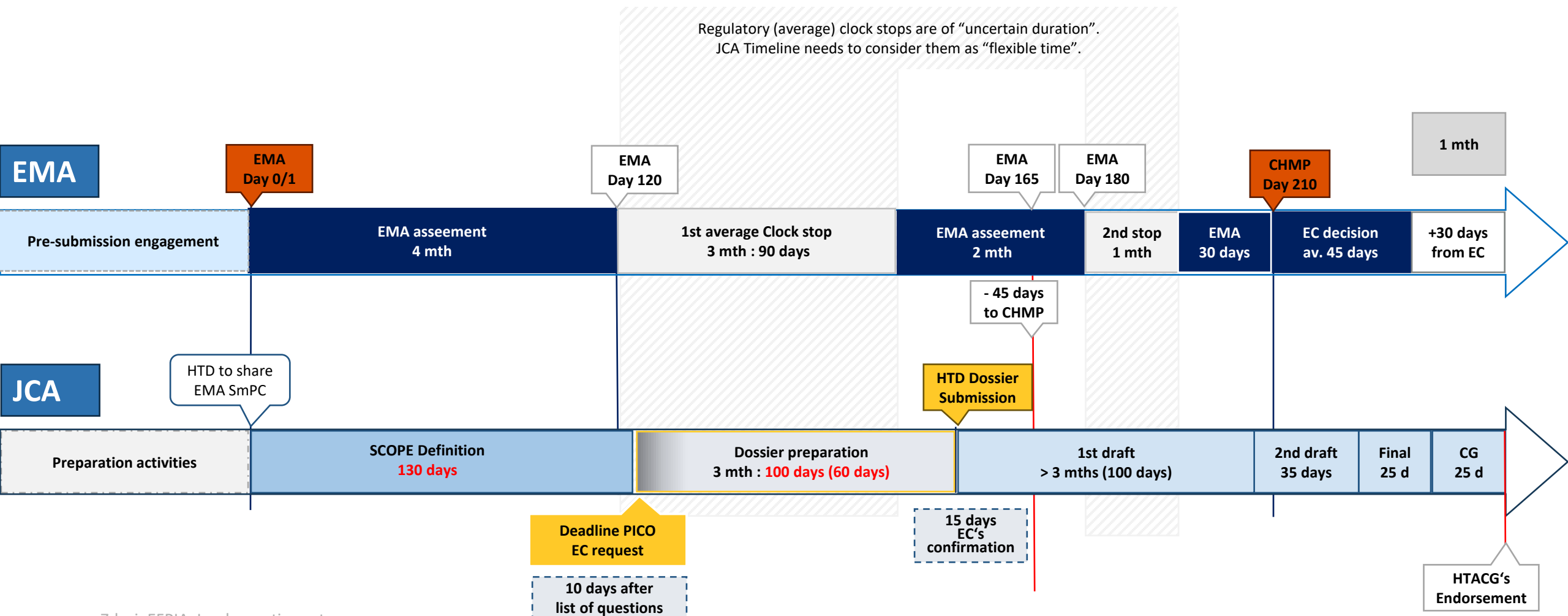
Prováděcí nařízení k EU JCA

- Stanovuje **podrobná procesní pravidla** pro společná klinická hodnocení léčivých přípravků na úrovni Unie, pokud jde o:
 - a) spolupráci, zejména prostřednictvím výměny informací s Evropskou agenturou pro léčivé přípravky, při přípravě a aktualizaci JCA u LP;
 - b) interakci, včetně načasování (lhůt), s HTACG/SG a HTD, pacienty a odborníky během JCA LP a jejich aktualizací;
 - c) pravidla týkající se výběru organizací zúčastněných subjektů a pacientů, odborníků a konzultací s nimi v rámci JCA;
 - d) formát a vzory dokumentace, které musí předložit HTD pro účely JCA;
 - e) formát a vzory pro zprávy a souhrnné zprávy o JCA

Prováděcí novela ZoVZP

- Doplňuje a vyjasňuje některá místa v ZoVZP, kde je třeba navázat na HTAR nebo kde by mohlo dojít ke kolizi:
 - Členem HTACG: SÚKL pro LP a MZ pro ZP
 - Zprávy o uplatňování nařízení předává Komisi MZ
 - Ústav předává informace HTACG, které obdrží při hodnocení nad rámec EU hodnocení
 - Ústav předává zprávu HTACG o tom, jak bylo zohledněno JCA ve správním řízení
 - MZ určí prováděcím předpisem osobu, která bude v ČR provádět hodnocení ZP
- Ústav ve SŘ při stanovení VaPÚ:
 - posuzuje také zveřejněnou zprávu o JCA (další podklad pro ROZ)
 - nepožaduje důkazy, které již byly předloženy na úrovni EU
 - ochrana částí EU dossieru jako obchodní tajemství (Ústav dle nařízení má založit EU dossier do spisu)

Časová osa



Co lze očekávat s implementací JCA?

...aby bylo nástrojem k akceleraci přístupu pacientů k terapii

Průmysl / výrobci (lokální pobočka):

- Zaměření se na informovanost / vybavenost ze strany centrály / **připravenost lokálních poboček na seriózní medínskou / HEOR / HTA diskuzi k definici PICO – před EMA podáním**
- Časnější HEOR aktivity pro detailní porozumění prostředí
- Obecně vyšší zapojení lokálních poboček do regionální produktové strategie

Regulátoři (SÚKL, MZ, ZP?):

- Mnohem **časnější zapojení do HTA diskuzí – definic PICO** (první 4 měsíce od EMA žádosti o registraci)
- **Častější / obsáhlejší konzultace** před podáním žádosti o úhradu – v průběhu iniciace registračního procesu
- **kapacity/ připravenost ...?**

Odborná společnost / Pacienti:

- Časnější zapojení OS, pacientů do úhradového procesu a tedy i vyšší možnost dopadu na proces

Má-li být JCA nástrojem k urychlení přístupu inovací pacientům, pak je třeba vytvořit lokální podmínky a kapacity pro mnohem časnější (v době iniciace registrace) cílenou diskuzi mezi jednotlivými stakeholdery

2. JCA panelová diskuse: otázky pro panelisty

Otázky pro panelisty 1/3



- S čím se aktuálně potýkají jednotlivé subjekty v rámci přípravných prací?
- Bude zveřejněný horizon scanning s LP, které by měly být předmětem společného hodnocení v roce 2025?
- Budou JCA podstupovat všechny nové onko-LP nebo budou ještě procházet nějakým sítem (s ohledem na jejich počet a kapacity hodnotitelů/HTA agentur)?
- Budou se výhledově účastnit prací v příslušných skupinách JCA také zdravotní pojišťovny, když nyní probíhá příprava metodiky pro hodnocení ZUM na národní úrovni?

Otázky pro panelisty 2/3



- Jak moc bude finální PICO v rámci JCA závazné pro lokální hodnocení? Zejm. v případech, kdy budou např. zúženy podmínky úhrady. Bude použita pouze relevantní část EU zprávy/dossieru?
- Bude moci SÚKL vyžadovat další podklady pro hodnocení klinického přínosu v ČR nad rámec hodnocení v JCA i v případě, že se PICO nebude lišit?
- Budou v rámci metodik SÚKL reflektovány metodiky k JCA? Pokud víme, tak při posledních aktualizacích vycházel SÚKL z metodik ISPOR, ČFES, příp. další (NICE), případně na tyto metodiky odkazuje.
- Ovlivní JCA postupy na národní úrovni? Lze očekávat harmonizaci hodnocení klinické části napříč ČS?
- Jsou regulátoři v EU a SÚKL dostatečně připraveni co do kapacity (lidských zdrojů) na zvýšené požadavky na detailní konzultace a diskuze (re definice PICO) před podáním žádostí o úhradu, de-facto v čase iniciace EMA registrace?
- Jak to bude s kapacitou hodnotitelů? Ovlivní to chod SÚKL, národní timelines?

Otázky pro panelisty 3/3



- (Jak) Bude probíhat spolupráce s odbornými společnostmi?
- Co bude zveřejňováno ze strany EK? Bude to jen report (zpráva) nebo podobně jako např. NICE a SÚKL budou zveřejněny podstatné části dossieru?
- Pokud se hodnocení klinického přínosu odchýlí od JCA z jakéhokoliv důvodu, a v rámci českého hodnocení "se přidá něco navíc" (data z CZ registru, nepřímé srovnání s novým komparátorem), bude tato evidence přenositelná a sdílená napříč EU, resp. se stane přístupna v celé EU automaticky (viz Nařízení EU, část k povinnostem členských států neprodleně informovat HTACG)?
- Jak bude SÚKL postupovat ve specifických českých záležitostech jako je hodnocení statusu VILP? (např. pokud je třeba prokázat HR pod 0.7, ale pokud takový údaj nebude k dispozici v rámci JCA, jak bude SÚKL postupovat? Bude na žadateli, aby takový důkaz předložil?)

3. Nový systém hodnocení vakcíny při vstupu do systému veřejného zdravotního pojištění

„HTA pro vakcíny“

Tomáš Doležal

5/6/2024

Dnešní stav

- Vakcíny **nejsou** zahrnuty pod část 6 zákona 48/1997 Sb.
- Různé mechanismy úhrad = **výlučně legislativní změnou**
 - Povinné vakcíny („pravidelná očkování“) – Ag složení stanovené MZ – dle zákona o ochraně veřejného zdraví + očkovací vyhláška
 - Nepovinné vakcíny – princip ENNV
 - Nepovinné vakcíny – schválení MZ – Sbírka zákonů
- Neprobíhá standardizované hodnocení medicínských a ekonomických podkladů
- Nejsou dostupné podklady pro rozhodnutí o úhradě
- Nejsou popsána kritéria ani proces zařazování do úhrady
- Neexistují žádné definované časové lhůty/termíny (mimo každoroční povinnosti vydat Sdělením MZ antigenní složení již v zákonech zahrnutých očkovacích látek)
- = v rozporu s **Transparenční směrnicí (89/105/EHS) a zcela proti principům definovaným ÚS v letech 2007 (léčivé přípravky) a 2018 (zdravotnické prostředky)**

Nepovinné vakcíny

- Doposud **2 základní mechanismy** úhrady - §30
 - **b) očkování a úhrada léčivých přípravků obsahujících očkovací látky v provedení nejméně ekonomicky náročném**
 1. Vzteklna
 2. Tetanus
 3. TBC
 4. Chřipka zdravotníci, rizikové populace dle onemocnění
 5. Meningokoky, Hemophilus influenzae b, chřipka – imunosuprimovaní
 6. Meningokoky děti
 7. Klíšťová encefalitida > 50 let
 - Dle doporučení NICO/MZ
 - f) očkování a úhrada léčivých přípravků obsahujících očkovací látky pro očkování pojištěnců **nad 65 let věku proti pneumokokovým infekcím; hrazené očkovací látky schvaluje Ministerstvo zdravotnictví na základě doporučení Národní imunizační komise a zveřejňuje je formou sdělení ve Sbírce zákonů,**
 - g) COVID-19
 - h) HPV
 - i) Chřipka 65+ let
 - j) Pneumokoky – děti
 - k) Pneumokoky - imunosuprimovaní

V této třetí kategorii se již přibližujeme standardizovanému medicínsko-ekonomickému hodnocení, ale bez zákonného rámce/pravidel

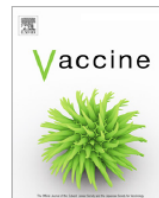


ELSEVIER

Contents lists available at ScienceDirect

Vaccine

journal homepage: www.elsevier.com/locate/vaccine



Capturing the value of vaccination within health technology assessment and health economics: Country analysis and priority value concepts



Maarten Postma^{a,b,c,d}, Eliana Biundo^{e,*}, Annie Chicoye^f, Nancy Devlin^g, T. Mark Doherty^e, Antonio J Garcia-Ruiz^h, Patrycja Jarosⁱ, Shazia Sheikh^e, Mondher Toumi^j, Jürgen Wasem^k, Ekkehard Beck^e, David Salisbury^l, Terry Nolan^g

- ^a Department of Health Sciences, University of Groningen, University Medical Center Groningen, Groningen, the Netherlands
- ^b Department of Economics, Econometrics & Finance, University of Groningen, Faculty of Economics & Business, Groningen, the Netherlands
- ^c Department of Pharmacology & Therapy, Universitas Airlangga, Surabaya, Indonesia
- ^d Center of Excellence in Higher Education for Pharmaceutical Care Innovation, Universitas Padjadjaran, Bandung, Indonesia
- ^e GSK, Wavre, Belgium
- ^f AC Health Consulting, Sciences Po, Paris, France
- ^g University of Melbourne, Melbourne, Australia
- ^h University of Malaga, Malaga, Spain
- ⁱ Creativ-Ceutical, London, United Kingdom
- ^j Creativ-Ceutical, Luxembourg, Luxembourg
- ^k University of Duisburg-Essen, Essen, Germany
- ^l Programme for Global Health, Royal Institute of International Affairs, Chatham House, London, United Kingdom



ELSEVIER

Contents lists available at ScienceDirect

Vaccine

journal homepage: www.elsevier.com/locate/vaccine



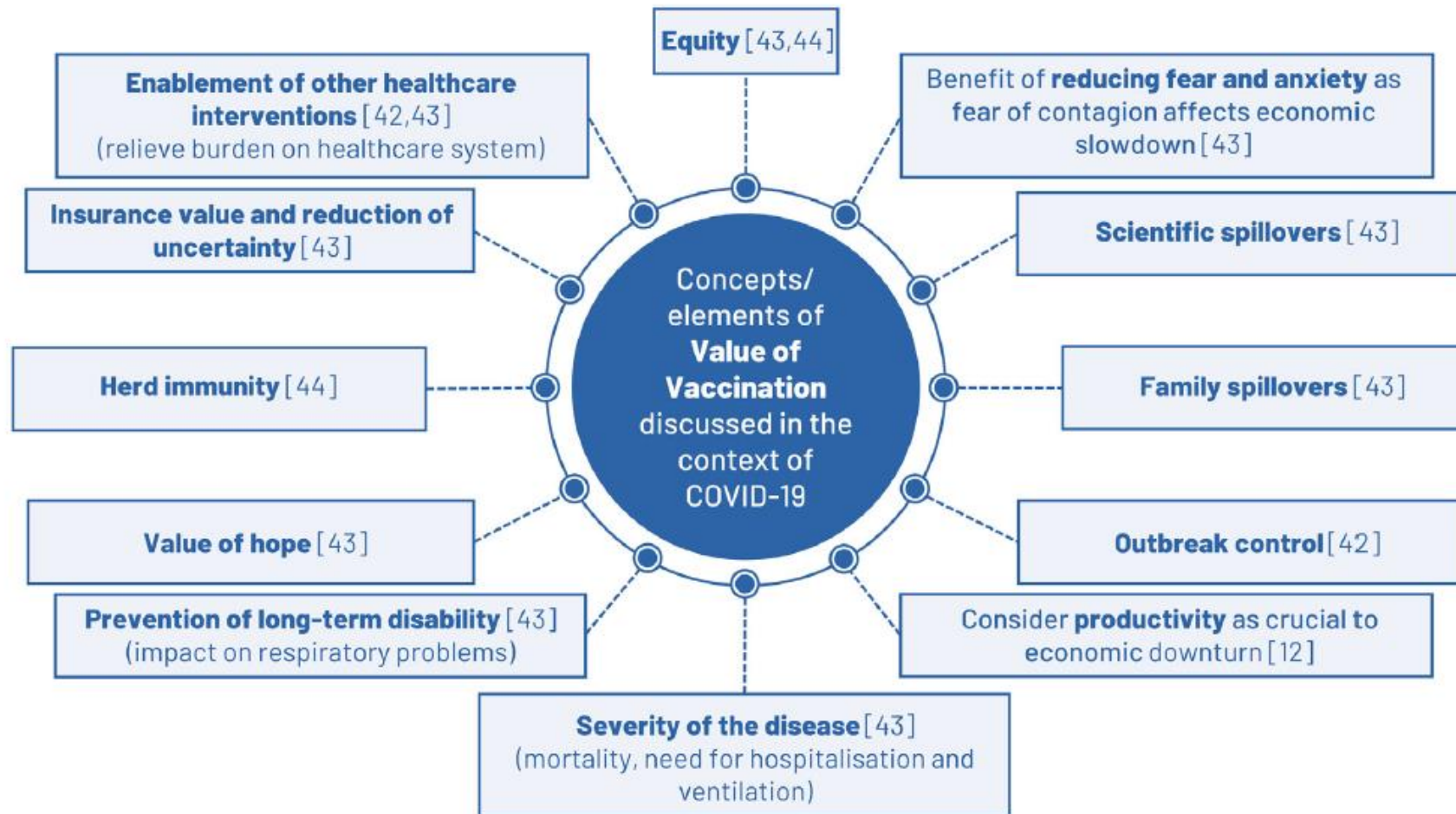
Capturing the value of vaccination within health technology assessment and health economics: Literature review and novel conceptual framework



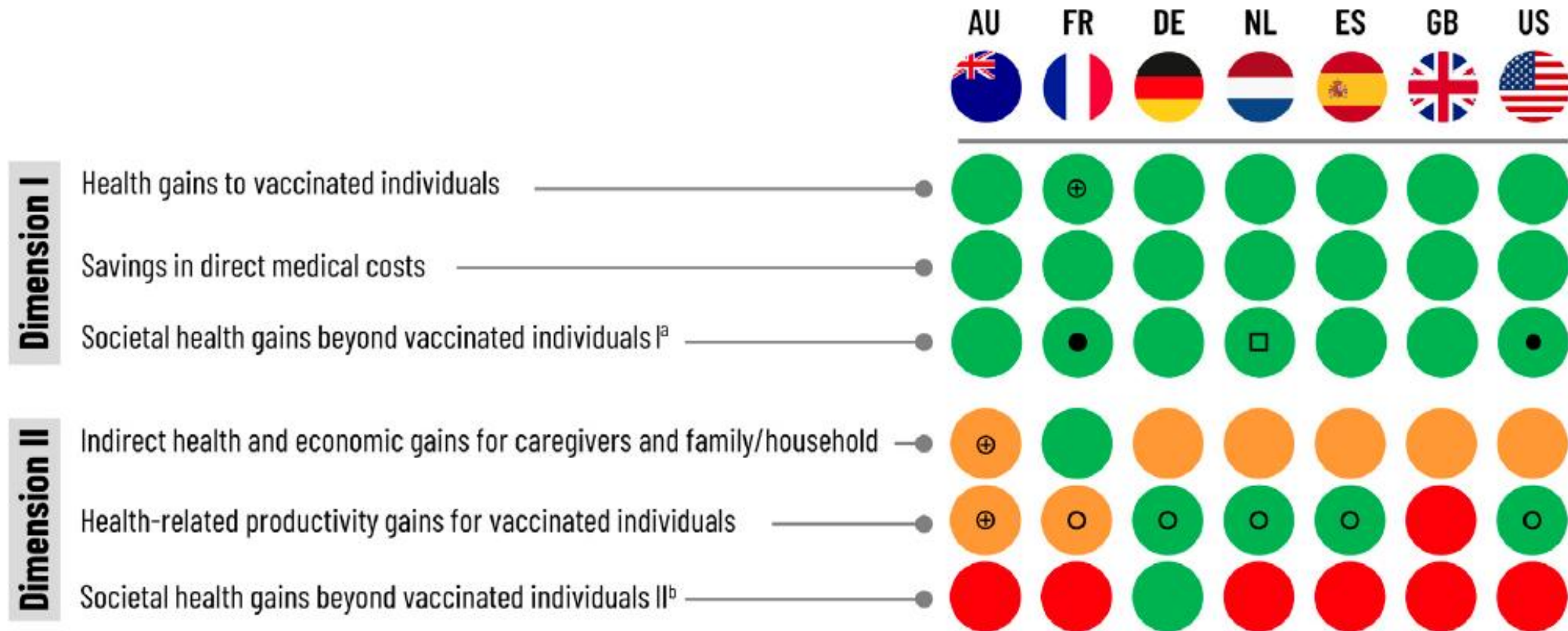
Ekkehard Beck^{a,*}, Eliana Biundo^a, Nancy Devlin^b, T. Mark Doherty^a, Antonio J. Garcia-Ruiz^c, Maarten Postma^{d,e,f,g}, Shazia Sheikh^a, Beata Smela^h, Mondher Toumiⁱ, Jürgen Wasem^j, Terry Nolan^b, David Salisbury^k

- ^a GSK, Wavre, Belgium
- ^b University of Melbourne, Melbourne, Australia
- ^c University of Malaga, Malaga, Spain
- ^d Department of Health Sciences, University of Groningen, University Medical Center Groningen, Groningen, the Netherlands
- ^e Department of Economics, Econometrics & Finance, University of Groningen, Faculty of Economics & Business, Groningen, the Netherlands
- ^f Department of Pharmacology & Therapy, Universitas Airlangga, Surabaya, Indonesia
- ^g Center of Excellence in Higher Education for Pharmaceutical Care Innovation, Universitas Padjadjaran, Bandung, Indonesia
- ^h Creativ-Ceutical, Cracow, Poland
- ⁱ Creativ-Ceutical, Luxembourg, Luxembourg
- ^j University of Duisburg-Essen, Essen, Germany
- ^k Programme for Global Health, Royal Institute of International Affairs, Chatham House, London, United Kingdom

Value of Vaccination

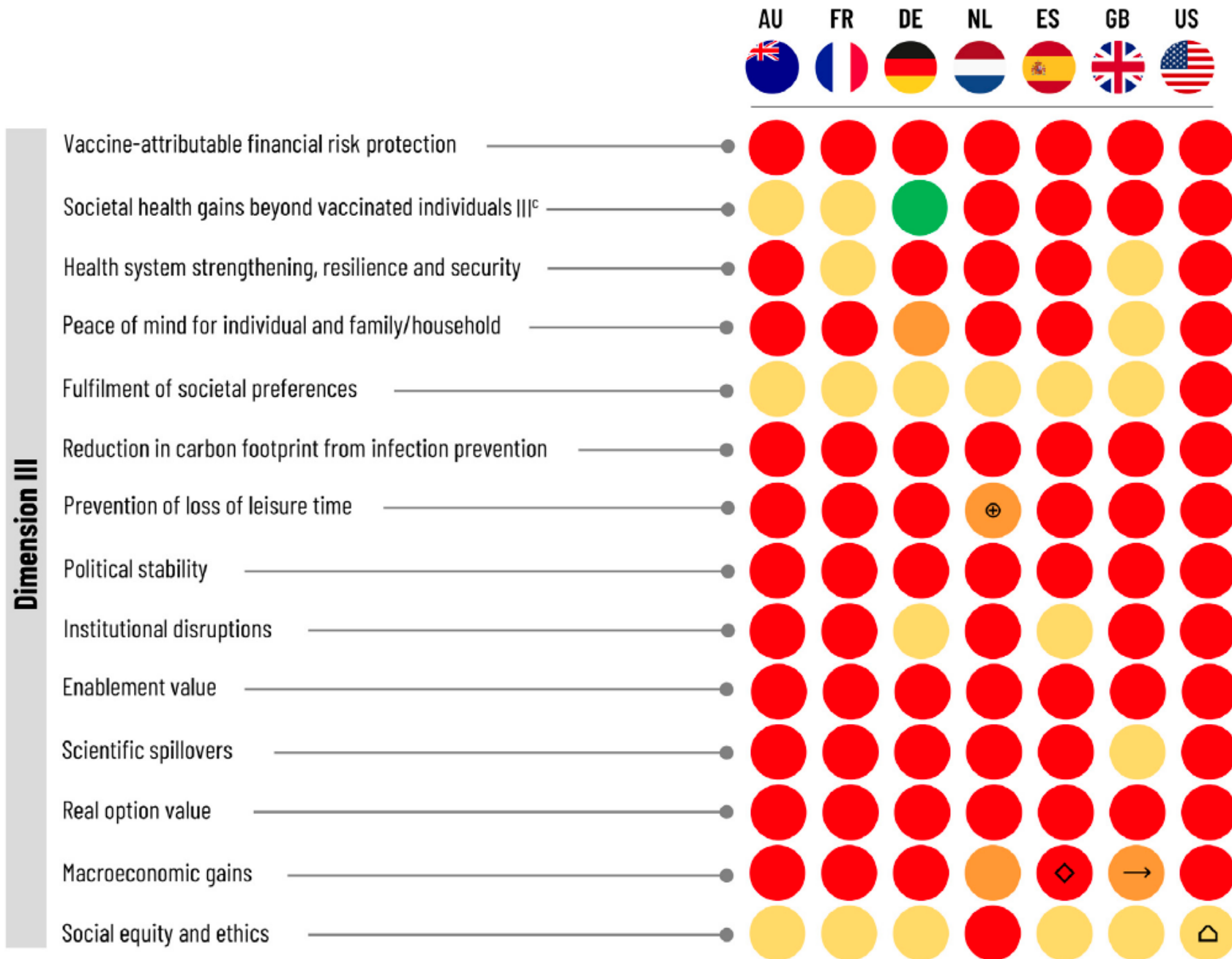


Screening 7 zemí



Postma 2022

a: herd immunity, b: disease eradication



Cíle pracovní skupiny ČFES

- Cíle:
 - Analyzovat a identifikovat odlišnosti HTA pro vakcíny vs. standardní léčivé přípravky
 - Připravit Appendix/Position paper k doporučeným postupům ČFES
- Otázky:
 - 1. Existují metodické odlišnosti v HTA hodnocení standardním léčivých přípravků a vakcín?
 - 2. Jak je v současnosti aplikováno HTA v jiných zemích našeho kulturního okruhu (Evropa, země standardně používající HTA)?
 - 3. Je v ČR pro kvalitní hodnocení metodami HTA dostatek dat?
- Nástroje
 - Literární rešerše a identifikace vhodných zdrojů (**skupina 1**)
 - Guidelines HTA agentur a dalších institucí (EUnetHTA) (**skupina 2**)
 - Dostupnost dat pro zdravotně-ekonomické modely (**skupina 3**)
 - Výstupy z pilotního projektu MZ/SUKL – HZ/ROZ – **srpen 2023**

Metodické odlišnosti vs. standardní léčiva (Kapitola 1)

- Detailní analýzou **23 relevantních zdrojů** (indexovaných publikací) v celkem 11 kategoriích skupina došla k závěru, že ve **většině případů lze aplikovat již existující metodická doporučení**.
- Specifika hodnocení vakcín lze charakterizovat následovně:
 - (1) pro hodnocení je upřednostňována **celospolečenská perspektiva** zachycující všechny populační přínosy a náklady vakcinačních programů,
 - (2) použití **dostatečně dlouhého časového horizontu** pro zachycení všech dopadů vakcinace,
 - (3) zahrnutí i **nevakcinované populace**, která může mít z vakcinace benefit,
 - (4) preference vyjádření přínosů v parametru QALY,
 - (5) zvažena by měla být **vyšší diskontace nákladů než přínosů** s ohledem na úvodní jednorázové náklady vakcinace a naopak dlouhodobé přínosy vakcinace směrem do budoucnosti a
 - (6) není standardně uplatňována fixní hranice ochoty platit.
 - V neposlední řadě se metodické publikace shodují, že (7) by měly být použity tzv. dynamické modely pro odhad nákladů a přínosů (deterministické či stochastické).

Mezinárodní aplikace HTA (Kapitola 2)

- Pracovní skupina našla a analyzovala doporučené postupy pro HTA
 - ze 12 zemí (Francie, Německo, Nizozemsko, Španělsko, Belgie, Rakousko, Irsko, Velká Británie, Spojené státy, Austrálie, Kanada, Čína).
- V některých státech (například Belgie, Nizozemsko) jsou pro vakcíny uplatňovány stejné guidelines jako pro jiné zdravotní technologie,
- v jiných (např. Španělsko, Velká Británie, Kanada) jsou guidelines pro hodnocení vakcín odlišné od postupů pro hodnocení jiných technologií (například léčivých přípravků).
- Guidelines jsou v kapitole 2 souhrnně popsány s ohledem na doporučení v 11 kategoriích podobně jako metodická literatura v kapitole 1.
- Tato kapitola se dotýká také postavení klinicko-ekonomického hodnocení v celém procesu posuzování a zařazování vakcinačních programů do péče hrazené ze solidárního veřejného zdravotního pojištění. **Ve většině systémů, ze kterých se podařilo získat popis, je toto hodnocení zásadním podkladem pro jednání národních komisí složených ze zástupců ministerstev, zdravotních pojišťoven a odborných společností, které nakonec vydávají závazná doporučení.**

Zdroje a dostupnost dat (Kapitola 3)

- Pracovní skupina došla v tomto bodě k očekávatelnému závěru, že dostupnost národních dat z oblasti epidemiologie (prevalence/incidence případů vyvolaných příslušným infekčním agens) je společně s daty o frekvenci a intenzitě čerpání zdravotních služeb s jejich jednotkovými náklady nezbytnou podmínkou k provedení kvalitní HTA analýzy.
- Česká republika disponuje informačními systémy, které mohou být zdrojem těchto dat (např. **Informační systém infekčních nemocí, Národní registr hospitalizovaných, Národní registr zemřelých, Národní registr hrazených zdravotních služeb**).
- Bohužel case study HTA pro nové pneumokokové vakcíny ukázala, že většina těchto dat není pro účely provedení HTA analýzy (zejména lokalizace globálních CEA modelů a vytvoření národní BIA) dostupná a je nutno je nahrazovat publikovanými daty ze zahraničí, případně kvalifikovanými odhady z expertních panelů. Tyto zdroje dat jsou však vždy v hierarchii evidence níže než kvalitní lokální epidemiologická data.
- Vzhledem k tomu, že aktuální nedostupnost dat je pro HTA limitující, vznáší pracovní skupina apel na to, aby byla data systematicky sbírána a poskytována pro účely hodnocení.

§15 odst (7)+(8) – terapeutická účinnost+NE

- Jde-li o léčivé přípravky obsahující **očkovací látky nebo monoklonální protilátky** určené k profylaxi (dále jen „léčivé přípravky určené k imunizaci“), účelnou terapeutickou intervencí se rozumí **zdravotní služby poskytované k prevenci onemocnění za účelem dosažení co nejúčinnější a nejbezpečnější prevence, pokud tato prevence má celospolečenský význam, zohledňuje veřejný zájem na ochraně veřejného zdraví a pokud dopad do rozpočtu je v souladu s veřejným zájmem podle § 17 odst. 2.**
- Jde-li o léčivé přípravky určené k imunizaci, výše dopadu do rozpočtu se stanoví jako **rozdíl nákladů na prevenci spojenou s použitím takového léčivého přípravku, které by byly hrazeny z prostředků zdravotního pojištění, na straně jedné, a součtu nákladů na léčbu a diagnostiku onemocnění, k jehož prevenci je takový léčivý přípravek určen včetně, a nákladů na celospolečenské úrovni, které by byly vynaloženy, pokud by k použití takového léčivého přípravku nedošlo, na straně druhé; náklady na celospolečenské úrovni zahrnují zejména náklady na sociální dávky, nerealizované zvýšení efektivity práce, nezrealizované zvýšení finanční stability domácností, nerealizované daňové příjmy a nerealizovanou spotřebu.** Dopad do rozpočtu musí být v souladu s veřejným zájmem podle § 17 odst. 2.

§39db - Zásady pro úhradu léčivých přípravků určených k imunizaci

- Žádost podává držitel nebo zdravotní pojišťovna
- (3) Účastníkem řízení o stanovení výše a podmínek úhrady léčivého přípravku určeného k imunizaci jsou držitel rozhodnutí o registraci, zdravotní pojišťovny a Česká lékařská společnost Jana Evangelisty Purkyně.

39db odst. (4)

- (4) V řízení o stanovení výše a podmínek úhrady se u léčivého přípravku určeného k imunizaci posuzují
- a) jeho **imunogenita, terapeutická účinnost a bezpečnost**,
 - b) **závažnost onemocnění**, k jehož prevenci je léčivý přípravek určený k imunizaci určen, včetně epidemiologických ukazatelů,
 - c) **celospolečenský význam možnosti ovlivnění onemocnění**, k jehož prevenci je léčivý přípravek určený k imunizaci určen, **dopady na případnou léčbu tohoto onemocnění a dopady léčby tohoto onemocnění na systém zdravotního pojištění a sociálního zabezpečení a ekonomickou aktivitu obyvatel**,
 - d) **prokazatelný přínos pro ochranu veřejného zdraví** spočívající zejména
 - 1. ve zvýšení kolektivní imunity,
 - 2. v předcházení ohrožení veřejného zdraví, zejména pokud obyvatelstvo nebo jeho skupiny jsou vystaveny nebezpečí, jehož míra z hlediska zátěže rizikovými faktory souvisejícími s přírodními, životními nebo pracovními podmínkami překračuje obecně přijatelnou úroveň a představuje významné riziko poškození zdraví,
 - 3. v naplnění podpory veřejného zdraví, zejména napomáháním fyzickým osobám zachovat a zlepšovat své zdraví a zvyšovat kontrolu nad faktory ovlivňujícími zdraví, což zahrnuje činnosti k zajištění sociálních, ekonomických a environmentálních podmínek pro rozvoj individuálního i veřejného zdraví a zdravotního stavu,
 - e) **doporučené postupy odborných institucí a příslušných odborných společností**,
 - f) **podmínky jeho úhrady z prostředků zdravotního pojištění** navržené v žádosti, **včetně případných smluv uzavřených držitelem rozhodnutí o registraci a zdravotními pojišťovnami omezujících dopad na prostředky zdravotního pojištění nebo upravujících sdílení rizik**,
 - g) **analýza nákladové efektivity**, avšak bez zohlednění jejího výsledku v podobě poměru inkrementálních nákladů a přínosů,
 - h) **předpokládaný dopad do rozpočtu zohledňující veřejný zájem podle § 17 odst. 2 a zájem na ochraně veřejného zdraví**.

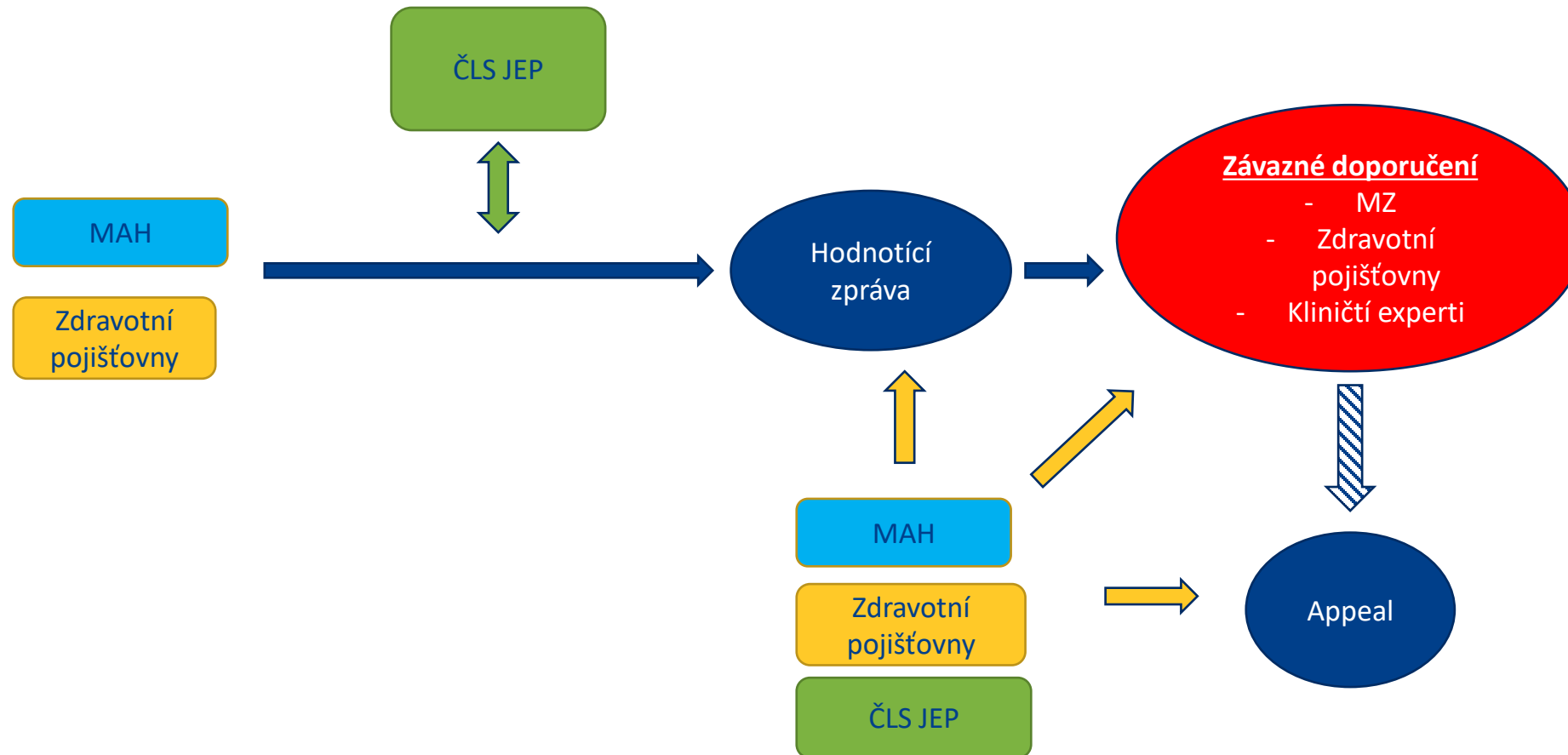
Poradní orgán 39db odst. (6)

Ministerstvo zdravotnictví zřídí **poradní orgán pro úhradu léčivých přípravků určených k imunizaci** (dále jen „poradní orgán pro imunizaci“), který posoudí žádost, hodnotící zprávu, stanovisko Národní imunizační komise, bylo-li poskytnuto, a kritéria stanovená v odstavci 4 a vydá doporučení, které je podkladem pro závazné stanovisko Ministerstva zdravotnictví.

Poradní orgán pro imunizaci je složen ze

- 2 zástupců Ministerstva zdravotnictví,
- 2 zástupců zdravotních pojišťoven,
- 2 zástupců odborných společností sdružených v České lékařské společnosti Jana Evangelisty Purkyně, sdružujících odborníky zabývající se léčbou a prevencí onemocnění, k jehož prevenci je příslušný léčivý přípravek určený k imunizaci určen,
- a předsedy poradního orgánu pro imunizaci, kterým je hlavní hygienik České republiky.
- Členy poradního orgánu pro imunizaci jmenuje a odvolává ministr zdravotnictví. Hlas každého člena poradního orgánu pro imunizaci má stejnou váhu.

Nový proces pro vakcíny





4. WTP a added value – metodika pro kultivaci WTP

ČFES pracovní skupina

...navázání na výstupy pracovní skupiny ČFES '23

Klimeš J, Mlčoch T, Pásztor B, Uherek Š

30/05/2024

Cíle pracovní skupiny – z roku 2023

Otevřít diskusi nad výší WTP a jejím možném vývoji/valorizaci v čase

Inspirace v rozvinutých HTA systémech a zjištění, jak tyto HTA fungují v rámci rozhodovacího procesu (appraisal)

Klíčové otázky:

- Kolik je WTP hranic v dané zemi?
- Existují nějaké speciální skupiny léků s odlišným WTP? (např. orphany, end-of-life, vysoce závažná onemocnění, vysoce specializované technologie atd.)
- Má nižší ICER vliv na rychlost vstupu na trh?
- Jak odvozují/odvodili WTP jiné země? Je WTP ukotvena? Valorizace WTP v čase?
- WTP upravena v závislosti na vzácnosti onemocnění, závažnosti atd.?
- Vliv dopadu na rozpočet v rozhodovacím procesu?

Složení pracovních podskupin

Jiří Klimeš	Bálint Pázstor	Tomáš Mlčoch
Miloš Živanský	Aleš Kmínek	Jan Doležel
Michal Kostern	Pavel Chytil	Lenka Bulejová
Jessica Vydrová	Kateřina Novotná	Georg Michálek
Jana Šípková	Ondřej Stuchlík	Jana Petrenko
Jan Tužil	Karolína Baloghová	Barbora Decker
Martin Kolek	Gabriela Volfová	Tomáš Spousta
Michaela Tauchmanová Filip Dostál	Štěpán Uherek	Martina Mazalová

Rešerše nad zeměmi...

**Nordics (DK, NO, SE, FI),
Kanada**

**Skotsko, Francie,
Austrálie, Slovensko**

**UK, Holandsko,
Belgie, USA**

Závěr – z roku 2023



- **Kvantitativní hodnocení přidané hodnoty terapie (?)**
 - adjustace podle doporučního či absolutního snížení QALY
 - adjustace dle inkrementu QALY (NICE HST, Slovensko).
 - adjustace s ohledem na typ intervence (ATMP, orphans, atp.)
 - ...kombinace výše uvedeného

- **Kvalitativní, měkčí hodnocení přidané hodnoty terapie (?)**
 - Hodnotící WTP v pásmu

- **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**

- QALY framework + to co již umíme je validně provedená nákladovka

- Zachovat systém založený na QALY, i v něm lze kvantifikovat závažnost onemocnění a nenaplněnou potřebu léčby (viz QALY shortfalls)

- Jak postupovat při nízkém ICERu? Např. fast-track rychlejší zhodnocení CEA/BIA a bez nutnosti smluvních ujednání (tj. např. budget capů)

- Threshold reflektující závažnost onemocnění/ míru inovace, ale bez nutnosti definice v rámci registrace
 - Proč jen orphans...
 - Proč jen ATMP
 - ..definujme především dle „added value“

ISPOR poster (Kodaň 2023)



HPR171

WTP THRESHOLD: A REVIEW OF INTERNATIONAL APPROACHES AND INSPIRATION FOR CULTIVATION OF CURRENT SITUATION IN THE CZECH REPUBLIC

AUTHORS:

Klimeš J^{1,2}, Mlčoch T^{1,3}, Pásztor B^{1,4}, Tužil J⁵, Bulejová L⁶, Decker B³, Dostál F⁶, Kmínek A⁷, Kolek M¹, Kostern M⁴, Kubešová D⁸, Mazalová M³, Michálek G⁸, Novotná K⁸, Petrenko J⁹, Spousta T¹⁰, Stuchlík O⁸, Spoustová Tauchmanová M^{11,12}, Uherek Š^{1,5}, Volfová G^{2,3}, Vydrová J¹³, Živanský M¹⁴

¹Czech ISPOR Chapter; ²Dpt of Social & clinical Pharmacy, Faculty of Pharmacy, Charles University, Czech Republic; ³Value Outcomes, s.r.o., Czech Republic; ⁴AstraZeneca, Czech Republic; ⁵Department of Medical Informatics, First Faculty of Medicine, Charles University, Prague, Czech Republic; ⁶Takeda, Czech Republic; ⁷AKM research and decision, s.r.o. Czech Republic; ⁸General Health insurance company, Czech Republic; ⁹Coalition for Health, Czech Republic; ¹⁰HEOR Independent Consultant; ¹¹IQVIA, Czech Republic; ¹²Dpt of Preventive Medicine, Faculty of Medicine in Hradec Kralove, Charles University, Hradec Kralove, Czech Republic; ¹³Bayer, Czech Republic; ¹⁴Eisai, Czech Republic



<https://farmakoeconomika.cz/wtp-threshold-a-review-of-international-approaches-and-inspiration-for-cultivation-of-current-situation-in-the-czech-republic/index-1.htm>

ISPOR poster (Kodaň 2023): různé přístupy

Figure 1. Willingness-to-pay threshold countries archetypes

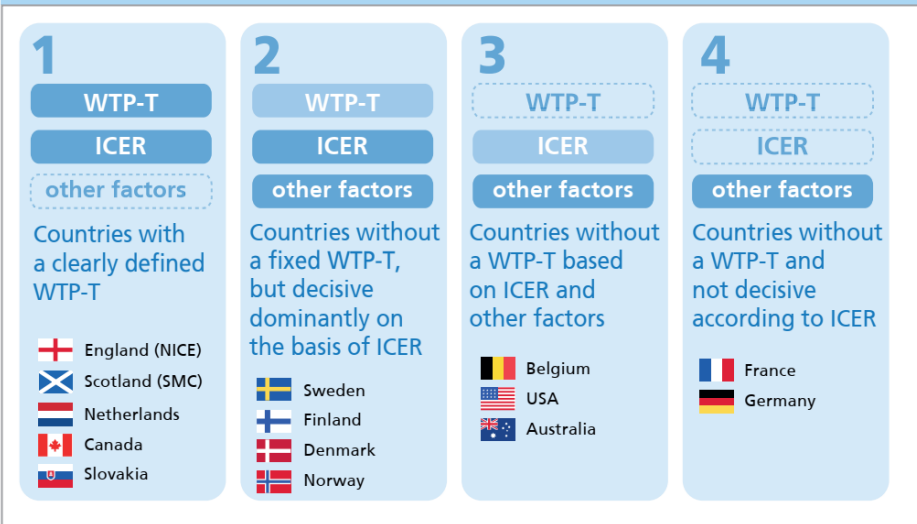
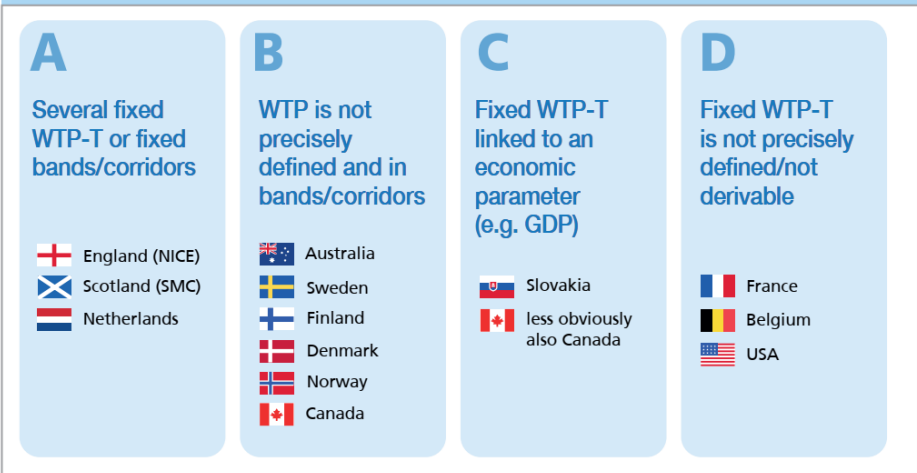


Figure 2. Countries' approaches to WTP-T definition/levels



I. Quantitative evaluation of therapy added value/benefit & unmet medical need

- Adjustment according to the proportional or absolute reduction in QALYs (reference to UK, Netherlands)
- Adjustment according to QALY increment (intervention vs. comparator) as more relevant approach vs. adjustment according to type of intervention (ATMP, orphans, etc.), or ideally a combination of both approaches

Note: This approach would require further/deeper analysis of the existing local HE evaluation results to appropriately select the individual criteria of increment/decrement (absolute, proportional) QALY.

II. Valorisation/adjustment aspect of WTP-T over time

- Explicitly link the baseline WTP to an economic indicator and to index it on an annual basis (GDP growth, inflation rate, wage growth, etc.)
- Or regular adjustment (every 2-3 years) of the calculation of the WTP amount with respect to updated knowledge and practice

III. Determining the baseline level/anchoring of the foundations for WTP-T














- Based on current decision-making practice (€50,000 / QALY)
- Or linked to an economic indicator (multiples of GDP according to WHO recommendations, multiples of wages or valorisation of inflation rate)

IV. Faster/wider access to patients in case of low ICER vs. WTP threshold

ISPOR poster (Kodaň 2023): různé přístupy



Table 1. High-level summaries for each country/ group of countries

<p>England  (NICE)</p> <p>The most robust system is currently applied by the English NICE (and therefore the English NHS), which updated its methodology in 2022 after years of debate. The NICE assessment is characterised by the fact that it is dominated by the ICER value, which is decisive. The baseline WTP-T is set at two fixed levels (£20,000/QALY or £30,000/QALY) according to the uncertainty of the input data and the pharmacoeconomic analysis. This WTP-T can be increased up to £50,000 in the case of high disease severity, measured by the so-called absolute QALY shortfall in patients or proportional QALY shortfall, if the QALY gain is rewarded in two other bands (QALY gain times 1.2 or times 1.7). For highly specialised technologies (HRT: e.g. orphan drugs or other highly specialised technologies), the WTP-T is then increased to a baseline of 100,000£, which can then be further increased to a maximum of £300,000 based on incremental QALY gains (10-30 incremental QALYs).</p>	<p>Slovakia </p> <p>Similarly, Slovakia applies several fixed WTP thresholds that are linked to Gross Domestic Product (GDP). The basic WTP-T is set at 2-times GDP (currently €36,000/QALY) for interventions with a QALY gain of up to 0.33. This threshold can be increased to 3-times (for interventions with a QALY gain of > 0.33). For orphan drugs and advanced therapy medicinal products (ATMPs), it ranges from 3.5 to 10 times GDP, depending on the innovativeness of the therapy measured by the QALY gain (up to 0.33, up to 0.50 and above 0.5 QALY gain). Of all the WTP countries studied, only Slovakia has a threshold that is linked to another valid „metric“, namely GDP. The advantage of GDP indexation is that it not only reflects the increasing (or decreasing) productivity (wealth) of the country, but is also calculated in given prices, i.e. it directly reflects the increasing (or decreasing) price level.</p>
<p>Scotland  (SMC)</p> <p>The Scottish SMC also applies WTP-T of £20,000 and £30,000 as NICE, but WTP-T modifiers are applied beyond the standard WTP-T that can increase WTP above this threshold (e.g. unmet need for treatment, impact on quality of life and survival, etc.) (Patient and Clinician Engagement (PACE) process).</p>	<p>No explicitly defined WTP-T: Nordic countries (Sweden, Finland, Denmark, Norway)    </p> <p>Another group of countries do not have an explicitly defined WTP-T and make decisions within a certain ‚band‘ based on other factors, but the results of the cost-effectiveness analysis are dominant (Sweden, Finland, Denmark, Norway). WTP-T is then influenced by the following factors: severity of the disease, unmet need for treatment (either unspecified or succinctly through QALY shortfall), clinical benefit of the therapy (QALY gain), rarity of the disease, lack of alternatives, etc. Exceptions to the WTP system are rather rare, but are usually applied to orphan drugs or other special technologies that by definition cannot meet the WTP-T (Denmark).</p>
<p>The Netherlands </p> <p>Since 2015, the Dutch ZIN has used an approach to WTP-T similar to NICE's, where disease severity is also assessed using proportional QALY shortfall. This is probably where NICE was also inspired. The Netherlands defines three WTP-T values as follows: €20,000, €50,000 and €80,000 €/QALY, at proportional QALY shortfall values up to 0.4; up to 0.7 and above 0.7 respectively.</p>	<p>No direct application of WTP-T: Belgium, USA, France, Australia    </p> <p>The last group of WTP countries does not directly apply the WTP-T in the process or only has an informative character (Belgium, USA, France, Australia). These countries tend to make decisions on a „commission“ basis based on a wide range of information, such as data on efficacy, safety, disease severity, unmet treatment need, disease rarity, and budgetary impact. In the case of the USA, the WTP is monitored, but the decision to reimburse a particular therapy is always entirely at the discretion of the insurance company; however, in general, the richer the insurance company (higher premium payments to the insured), the more expensive the technology it can afford to pay, and therefore the higher the WTP-T.</p>
<p>Canada </p> <p>Another country with multiple WTP-Ts is Canada, which has WTP thresholds of 100 – 150 – 200,000 CAD/QALY. The WTP threshold is related to the unmet medical/patient need for the intervention in a given disease, innovativeness, quality of the underlying evidence, magnitude of the clinical effect, resource savings, and/or added value of new drug technologies. The benefit of the intervention vs comparator (at the clinical and incremental QALY level) is then an essential element reflecting the relevant threshold of WTP.</p>	

Cíle WG v roce 2024:

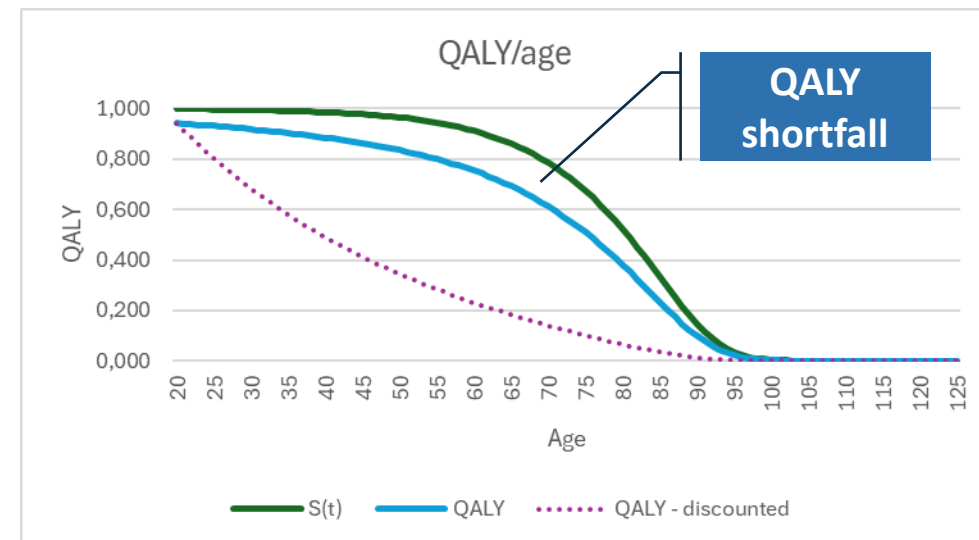
Vytvoření algoritmů k úpravě WTP, kde budou zakotveny principy:

- Definice přidané hodnoty terapie (účinnost, bezpečnost, patientské preference):
 - inkrement QALY vs. komparátor
- Definice unmet medical/ patient need (míra inovace)
 - QALY shortfall – absolute
 - QALY shortfall – relative

...dle metodik zahraničních a validace na českých předchozích cases/řízeních



Inputs	
Proportion male	50%
Baseline age	20
Comparator QALY gain (discounted)	5
Discount rate	3%
Utility source	Ara et Brazier 2010
Output	
Total QALY gen. pop	25,07541
QALY shortfall (absolute)	20,07541
QALY shortfall (relative)	80,06%



Zájemci o účast v této WG se prosím hlase na:
cfes@farmakoekonomika.cz

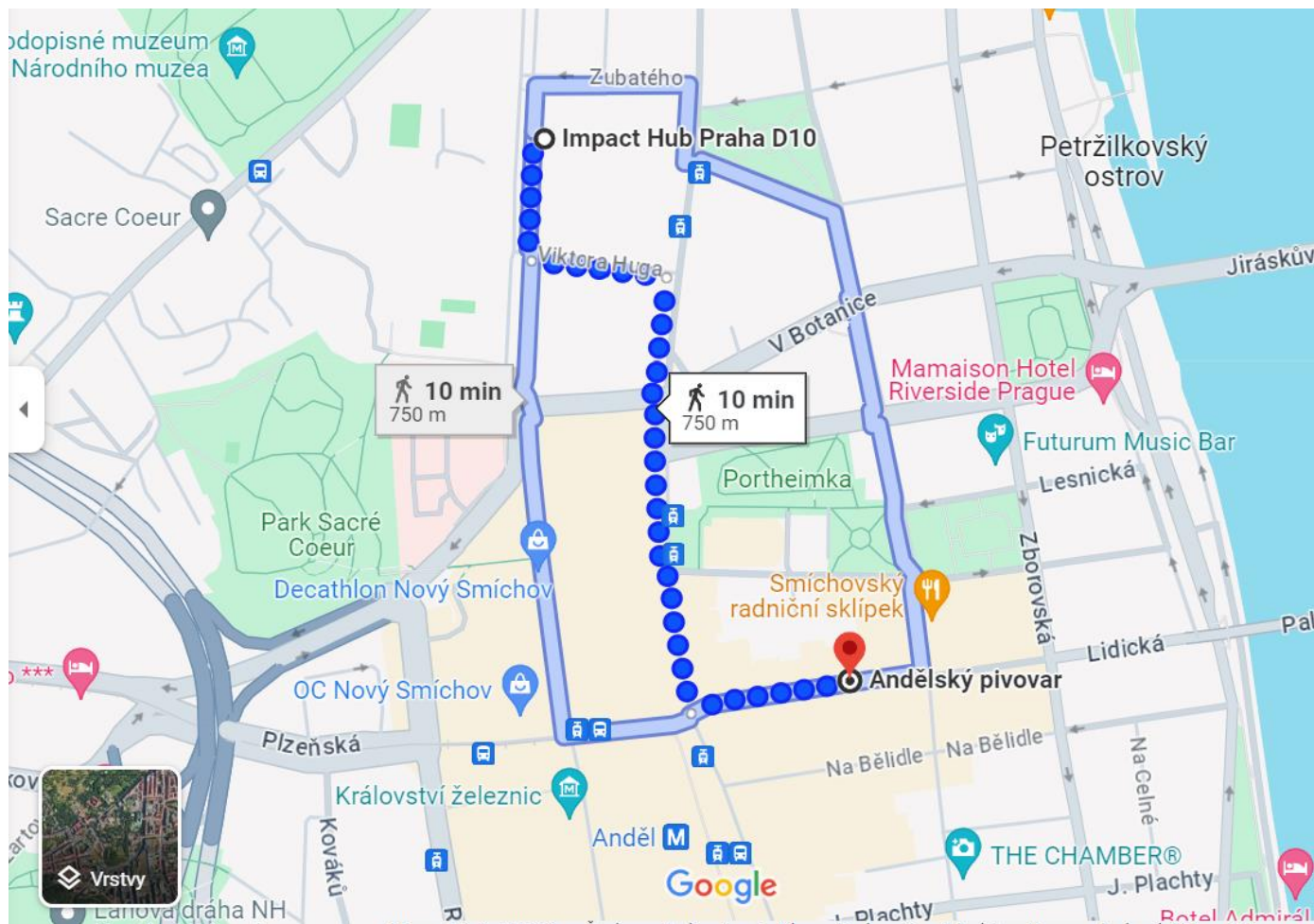
Závěr



Čas	Téma	Přednášející
'5	Přivítání & úvod	Tomáš Mlčoch (ČFES)
'80	Blok: Joint clinical assessment	
'20	Úvod do problematiky a současný stav legislativního procesu	Jiří Klimeš Bálint Pásztor Milan Vocelka (ČFES)
'45	Panelová diskuse	Jakub Dvořáček (MzD) Jiří Štěrbá (VZP) Magdalena Vondráčková (SZP) Leoš Fuksa (SUKL) David Kolář (AIFP) Jiří Klimeš (ČFES)
'15	Diskuse/Q&A	Všichni
'45	Blok: Novela úhradového procesu vakcín	
'20	Update legislativního procesu a legislativní úpravy dle §39db	Tomáš Doležal (ČFES)
'10	Pohled externisty/průmyslu	David Kolář (AIFP)
15	Diskuse/Q&A	Všichni
'5	Zakončení/různé: WTP a added value – navázání na výstupy pracovní skupiny ČFES 23' a utvoření nové pracovní skupiny ČFES	
18:00-21:00	Večeře, Andělský Pivovar (Lidická 337/30, Praha 5)	

Andělský pivovar a neformální posezení: pokračování v diskusi

Zveme Vás na neformální posezení





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