



**Joint clinical assessment, komparátory,
výsledky WTP pracovní skupiny** a provozní
záležitosti

Pracovní den ČFES

NODE 5, Praha 5

3.12.2024

Program

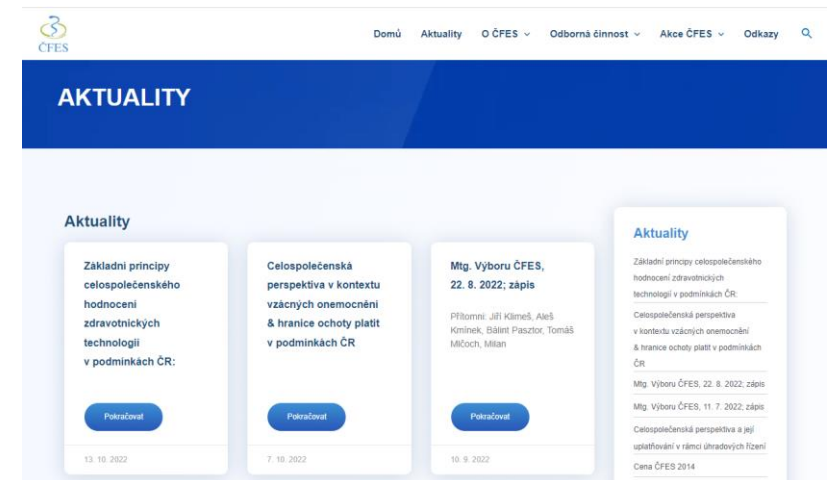


Čas	Téma	Přednášející
5	Přivítání & úvod	Tomáš Mlčoch (ČFES)
85	Blok: Joint clinical assessment	
20	Novinky JCA a implementace v HTA procesu v ČR	Matěj Haluska (SÚKL)
20	JCA: guidelines pro přímé a nepřímé srovnání	Jan Tužil (ČFES)
15	JCA a perspektiva průmyslu	David Kolář (AIFP)
15	Definice komparátora v žádostech o úhradu a kontextu PICO v ČR	Štěpán Uherek (ČFES)
15	Diskuse/Q&A	Všichni
45	Blok: Různé	
15	Představení soutěžících v publikaci roku Vyhlášení publikace roku	Tomáš Mlčoch (ČFES) Vítěz(ka)
10	Provozní záležitosti ČFES	Tomáš Mlčoch, Jiří Klimeš (ČFES)
10	Update výsledků pracovní skupiny ČFES WTP a added value	Bálint Pásztor, Jiří Klimeš (ČFES)
10	Diskuse/Q&A	Všichni
5	Zakončení/různé:	
18:00-21:00	Večeře, Restaurace Tradice (Radlická 806/18, Praha 5)	

Co se v rámci ČFES povedlo a daří se „udržet“



- Celkem 4 semináře v 2023, 3 semináře v roce 2024
- Rozšíření působnosti principů a metodik HTA:
 - ne-lékové technologie: zdravotnické prostředky
 - vakcíny
- WTP – pomoc při kultivaci prostředí => **ISPOR posters**
- Spuštění nové navazující prac. skupiny na WTP & added value
- Základní principy **celospolečenského hodnocení** zdravotnických technologií v podmínkách ČR; Příloha k doporučeným postupům ČFES
- Plánovaná další WG k „velkým“ doporučeným postupům
- Aktivní zapojení v rámci diskuze nad **zákonným rámcem cen a úhrad léčiv – „48“**
- Spuštění **nového webu, LinkedIn, pře/zápis v rejstříku**
- **Společná setkání po seminářích a budování HTA „komunity“**



DÍKY Vám všem za spoluvytváření!!!



Blok HTA Joint clinical assessment a definice komparátorů

Matěj Haluska (SUKL)

Jan Tužil (ČFES)

David Kolář (AIFP)

Štěpán Uherek (ČFES, V/O)

3/12/2024



Novinky JCA a implementace v HTA procesu v ČR

PharmDr. Matěj Haluska
Státní Ústav pro kontrolu léčiv

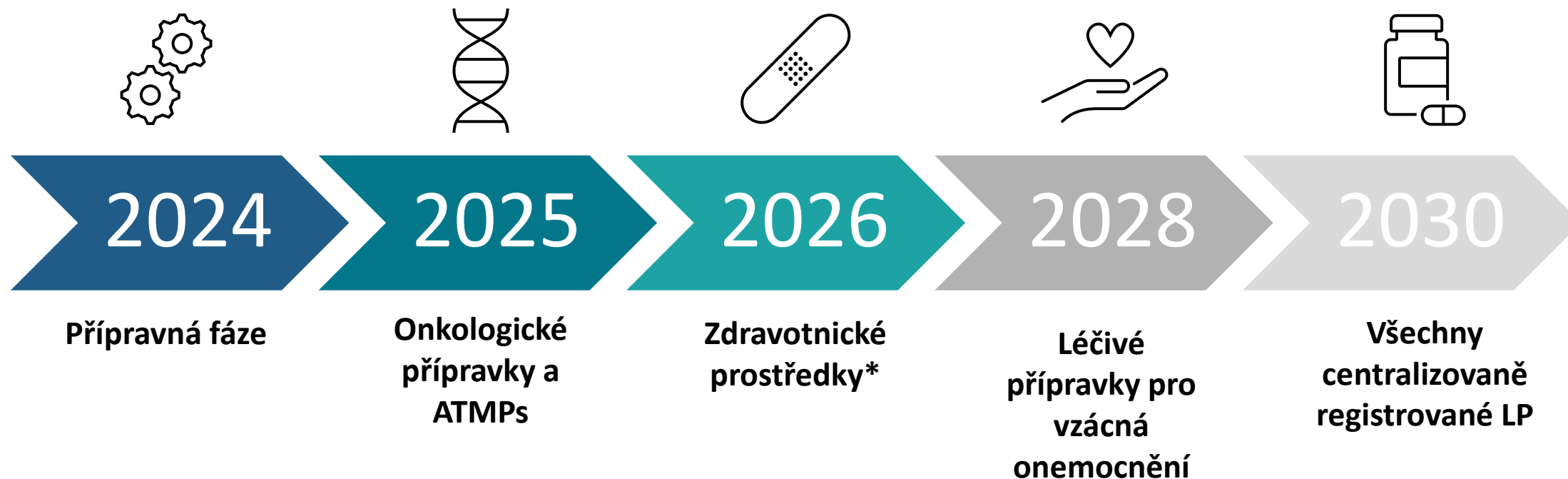
06.12.2024

Osnova prezentace

JCA: Joint Clinical Assessment

- Fáze implementace a aktuální stav
- Dokumenty a metodiky
- Timelines
- Assessment scope a PICO
- Práce s reportem v SŘ

Implementace HTAR




Aktuální stav

Health technology assessment - European Commission


Events

- 15 NOV 2024** Partner meetings
The EU HTA Regulation: Webinar for health technology developers of medicinal products
Online only
- 15 NOV 2024** Partner meetings
HTACG - Subgroup for the Identification of Emerging Health Technologies
Online only
- 14 NOV 2024** Partner meetings
HTACG - Subgroup for Joint Scientific Consultations
Online only
- 13 NOV 2024** Partner meetings
HTACG - Subgroup for Joint Clinical Assessments
Online only


Documents




Key documents



Consultations



Publications



Events

Public Health

Home > Health technology assessment > Key documents

Health technology assessment - Key documents

Filter by

Keywords

Publication date

Topic association

Search

Clear filters

Health technology assessment - Key documents (16)

RSS

Showing results 1 to 16

TOPIC ASSOCIATION HTA - Policy HTA - Legislation HTA - Guidance HTA - Planning

Background document | 25 October 2024 | Directorate-General for Health and Food Safety

[Implementing Regulation \(EU\) 2024/2745 on conflict-of-interest rules under the EU Health Technology Assessment Regulation](#)

Implementing Regulation (EU) 2024/2745 on conflict-of-interest rules under the EU Health Technology Assessment Regulation

Background document | 18 October 2024 | Directorate-General for Health and Food Safety

[Implementing Regulation \(EU\) 2024/2699 on exchange of information with the European Medicines Agency](#)

Implementing Regulation (EU) 2024/2699 on exchange of information with the European Medicines Agency

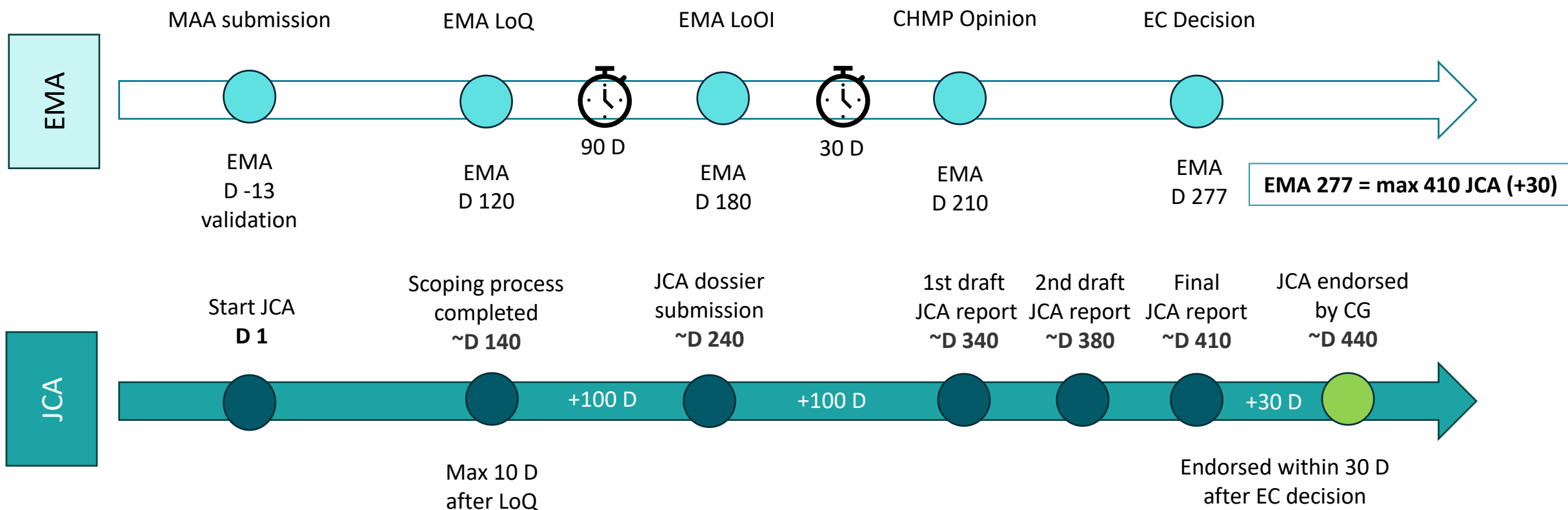
Implementační akty (Committee on Health Technology Assessment)

- Schváleno a publikováno:
 - [Implementing Regulation \(EU\) 2024/1381 on joint clinical assessment of medicinal products for human use - European Commission](#)
 - [Implementing Regulation \(EU\) 2024/2699 on exchange of information with the European Medicines Agency - European Commission](#)
 - [Implementing Regulation \(EU\) 2024/2745 on conflict-of-interest rules under the EU Health Technology Assessment Regulation - European Commission](#)
- V přípravě:
 - [Health technology assessment – Joint scientific consultations on medicinal products for human use \(europa.eu\) – schváleno Výborem pro HTA 22/11/2024](#)
 - [Health technology assessment – joint scientific consultations on medical devices & in vitro diagnostic medical devices – Veřejná konzultace \(29/10/2024 – 26/11/2024\)](#)
 - Implementing act on joint clinical assessment of medical devices and in-vitro diagnostic medical devices – Příprava dokumentu

Guidelines (HTA Coordination Group + Subgroups)

- Schváleno a publikováno:
 1. [Practical Guideline for Quantitative Evidence Synthesis: Direct and Indirect Comparisons - European Commission](#)
 2. [Methodological Guideline for Quantitative Evidence Synthesis: Direct and Indirect Comparisons - European Commission](#)
 3. [Guidance on reporting requirements for multiplicity issues and subgroup, sensitivity and post hoc analyses in joint clinical assessments - European Commission](#)
 4. [Guidance on outcomes for joint clinical assessments - European Commission](#)
 5. [Guidance on the validity of clinical studies for joint clinical assessments - European Commission](#)
- V přípravě: (MPG, JCA, JSC) – schváleno HTA-CG 28.11.
 6. **Procedural guidance for JCA MP**
 7. **Guidance on scoping process**
 8. **Guidance on the appointment of assessors and co-assessors for JCA and JSC**
 9. **Guidance on filling in the JCA dossier template**

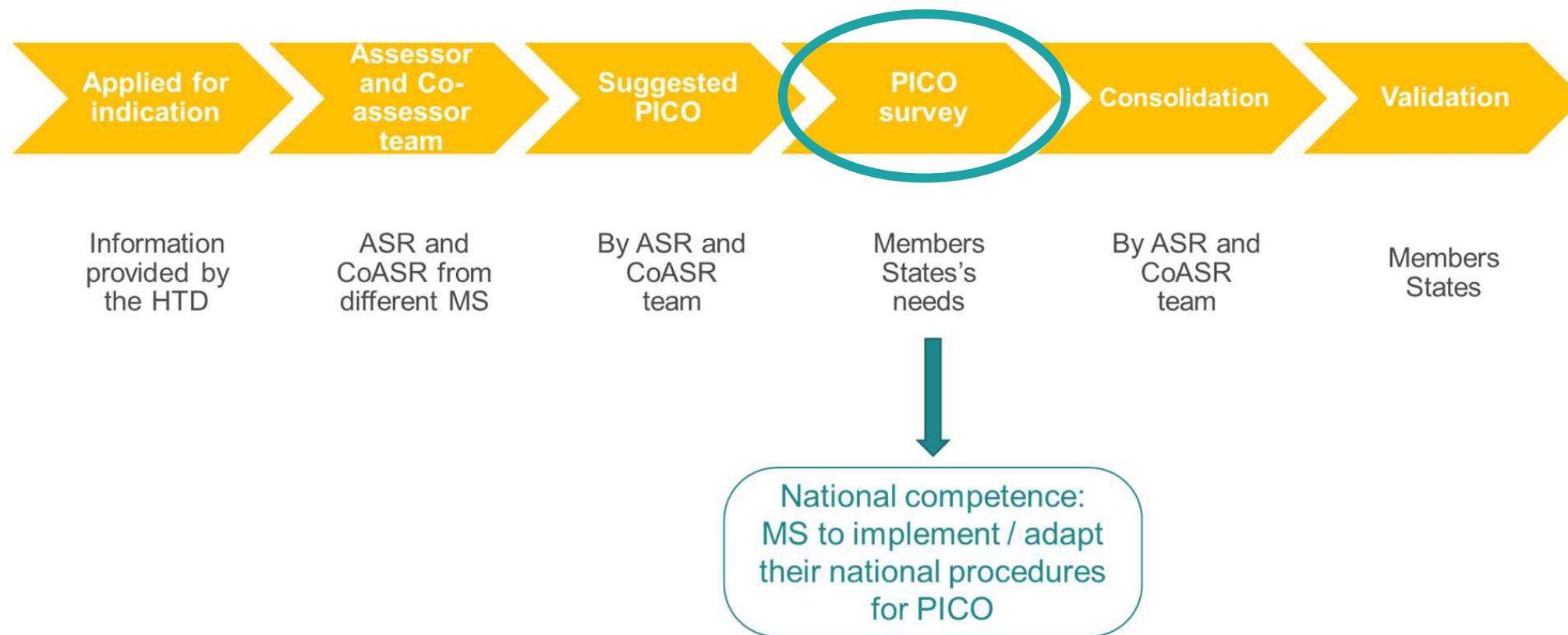
Zjednodušená časová osa JCA



Hlavní rozdíly standardní a akcelerované procedury

	Standard	Accelerated
Doba trvání	406	277
„Buffer days“	34	0
Administrativní fáze	7	0
PICO survey	21	14
PICO konsolidace	14	7
Příprava dossieru (HTD)	100	60
První draft JCA	100	70
„Fact check“ (HTD)	7	5

Rozsah hodnocení (Assessment scope)



Příprava národního PICO (PICO survey)

👁 Článek 2 (9) Nařízení

„Rozsahem hodnocení“ se rozumí soubor parametrů pro společné klinické hodnocení ve smyslu **populace pacientů, intervence, komparátorů a zdravotních výsledků** požadovaných společně členskými státy.

P	opulation
I	ntervention
C	omparator
O	utcome

Příprava národního PICO (PICO survey)

- 👁 Vyžadováno na základě Nařízení HTAR – definuje rozsah hodnocení
- 👁 Převádí národní požadavky (*policy question*) do vědecké otázky pro JCA (*scientific question*)
- 👁 Specifikuje požadavky na data v dossieru a rámec pro hodnocení
- 👁 „Policy driven“ nikoliv „data driven“

Příprava národního PICO (PICO survey)

- 👁 Správná definice PICO v této fázi je nezbytná pro nastavení rozsahu hodnocení a zohlednění národních požadavků pro společné hodnocení

- 👁 Oproti národním hodnocením se v JCA nacházíme ve fázi před schválením registrace (registrační proces probíhá paralelně)

- 👁 Spolupráce s odbornými společnostmi a patientskými organizacemi (IA-JCA-MP)
 - požadavek na mlčenlivost (důvěrné informace)

- 👁 Pro rok 2025 je očekáváno **25 JCA** (17 onkologik a 8 ATMPs)

PICO training: Navržené PICO – Durvalumab HCC

	PICO 1 Full Population	PICO 2 Full Population	PICO 3 Subpopulation of the Full Population	PICO 4 Subpopulation of the Full Population
Population	Patients with advanced/ unresectable (HCC) with no prior systemic treatment (Child-Pugh A)	Patients with advanced/ unresectable (HCC) with no prior systemic treatment (Child-Pugh B)		
Intervention	Durvalumab monotherapy	Durvalumab monotherapy		
Comparator	Atezolizumab+bevacizumab combination Lenvatinib OR sorafenib	Sorafenib		
Outcomes	OS, PFS, ORR, HRQoL	OS, PFS, ORR, HRQoL		
Rationale	Purpose of treatment in these patients is to prolong survival, delay disease progression while conserving or improving QoL	Purpose of treatment in these patients is to prolong survival, delay disease progression while conserving or improving QoL		

Práce s JCA reportem ve správních řízeních

- 👁 První reporty JCA lze očekávat Q4 2025
- 👁 Po podání žádosti Ústav z platformy IT zřízené dle článku 30 Nařízení vloží do spisu:
 - dokumentaci předloženou na evropské úrovni v souladu s článkem 10 (2) Nařízení
 - JCA report
- 👁 JCA report je Ústav povinen „náležitým způsobem zohlednit“
 - Nařízení o HTA: *„Náležitě zohlednit“ se rozumí, že zpráva by měla být součástí dokumentace a měla by být zohledněna při veškerých hodnoceních na úrovni členského státu. Obsah zprávy o společném klinickém hodnocení je však vědecké povahy a neměl by být pro uvedené orgány nebo subjekty, ani pro členské státy závazný*
 - report bude podkladem pro rozhodnutí, závěry o relativní klinické účinnosti hodnocené intervence učiněné na základě evropského hodnocení Ústav uvede v HZ/ROZ tak, aby byla zajištěna přezkoumatelnost závěrů Ústavu

Shrnutí

- 👁 Nařízení EU 2021/2282 (HTAR) účinné od **12. ledna 2025**
- 👁 Pro rok 2025 je očekáváno **25 JCA a (max.) 10 JSC**
- 👁 JCA reporty neobsahují **hodnotící úsudek** ani **závěry k celkové klinické přidané hodnotě** – kompetence MS
- 👁 Start: **onkologické přípravky a ATMPs**
- 👁 **Aktuální informace:** [Health technology assessment - European Commission](#)



DĚKUJEME ZA POZORNOST

STÁTNÍ ÚSTAV PRO KONTROLU LÉČIV

Šrobárova 48, 100 41 Praha 10

tel.: +420 272 185 111

e-mail: posta@sukl.cz

www.sukl.cz

Už máte naši aplikaci eRecept?

Aplikace navíc nabízí i benefity pro pacienty, např. možnost přístupu ke všem údajům o své elektronické preskripci, včetně lékového záznamu a nastavení souhlasů k němu.

Upozorňujeme, že při aktivaci aplikace budete vyzváni k ověření vaší identity prostřednictvím identity občana.

Aplikace ke stažení:





METHODOLOGICAL & PRACTICAL GUIDELINES FOR QUANTITATIVE EVIDENCE SYNTHESIS: DIRECT & INDIRECT COMPARISONS

Několik bodů ke zvážení a
v čem se liší od předchozích doporučení



METHODOLOGICAL & PRACTICAL GUIDELINES FOR QUANTITATIVE EVIDENCE SYNTHESIS: DIRECT & INDIRECT COMPARISONS

Několik bodů ke zvážení a
v čem se liší od předchozích doporučení

Jan Tužil

03/12/2024

Bez rovnic
Bez vzorečků

Co bylo v březnu publikováno?



Doporučené postupy pro kvantitativní syntézu důkazů pro přímá a nepřímá srovnání

- Methodological Guideline¹: Dostupné metody, obecná doporučení pro jejich výběr
- Practical Guideline²: Definice, minimální požadavky na reportování

by Health Technology Assessment Coordination Group (HTA CG)

- Tematicky podobná sérii NICE TSD³
- ALE chybí explicitní detaily a vzorové kódy
- HTA CG odkazuje na publikace (často arbitrárně zvolené)

Brief Contents of the Guidelines

The EC guidelines cover the following areas:

- Types and networks of evidence
- General statistical considerations & assumptions
- Methods of direct & indirect comparisons
- Population-adjusted methods
- Comparisons based on non-randomized evidence

- Obsahově velice podobná EUnetHTA 21 doporučeným postupům D4.3.1⁴ a D4.3.2⁵
- ALE výrazně stručnější a neuvádí informace o veřejné konzultaci a historii revizí
- Autorský tým neuveden

1. Methodological Guideline for Quantitative Evidence Synthesis: Direct and Indirect Comparisons, Directorate-General for Health and Food Safety, 25 March 2024
 2. Practical Guideline for Quantitative Evidence Synthesis: Direct and Indirect Comparisons, Directorate-General for Health and Food Safety, 25 March 2024
 3. Full list of technical support documents (TSDs), <https://www.sheffield.ac.uk/nice-dsu/tsds/full-list>, NICE Decision Support Unit
 4. Individual Practical Guideline Document, D4.3.1: Direct and indirect comparisons, EUnetHTA 21, 16 December 2022
 5. Methods Guideline, D4.3.2: Direct and indirect comparisons, EUnetHTA 21, 29 July 2022

Kontext v rámci JCA

Regulatorní context

- Relevantní pro JCA domény bezpečnost a klinická účinnost
- Primární publikum: Hodnotitelé JCA (možná relevance pro další zúčastněné strany)
- Cíl: Informovat hodnocení a vědecké konzultace dle Článku 9 a 18 Regulace (EU) 2021/2282⁶
- Doporučené postupy nejsou právně závazné, ale odchylky od nich bude nejspíš třeba zdůvodnit

Kontext z perspektivy statistika

- Hodně PICO
- Hodně nepřímých srovnání
- Hodně málo času (standartně 100 dní)



Rozdíly s potenciální dopadem na zúčastněné strany

1. Systematické přehled



Požadavek na systematické vyhledávání **probíhajících** klinických hodnocení:

- Publikované protokoly
- Registry

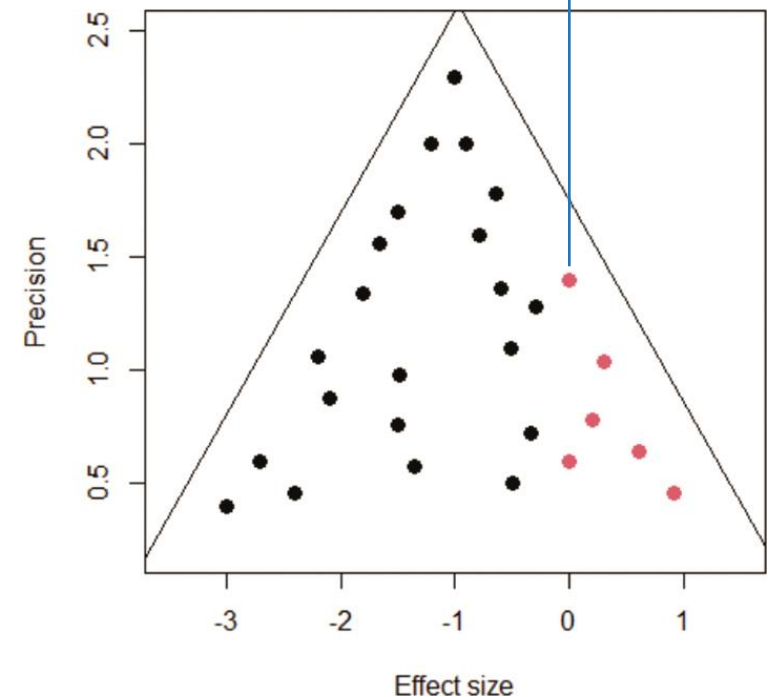
Za cílem

- 1) redukce publikačního biasu a
- 2) identifikace budoucích zdrojů evidence

→ Vzhledem k množství PICO značný nárůst objemu práce

- Požadavek se neobjevuje explicitně v NICE TSD

Menší studie s nelibým výsledkem
nemusí být vždy publikovány



Rozdíly s potenciální dopadem na zúčastněné strany

2. Analytický plán (SAP)



HTA CG vyžaduje, aby SAP detailně popisoval metody včetně *a priori* selekce kovariátů

SAP prospektivně definuje metody a pravidla pro inferenci (např. typ testu a α) s cílem:

- 1) schválit vstupy, postupy a formu výstupů externě zúčastněnými stranám
 - 2) schválit vstupy, postupy a formu výstupů interně (např. statistici vs modeláři)
 - 3) vyhnout se subjektivnímu biasu, physhingu, HARKingu atd.
 - 4) vyhnout se data-driven postupům (správně hypothesis-driven)
 - 5) unsnadnit procesy (např. delegaci analýzy)
- Požadavek se neobjevuje v NICE TSD

Rozdíly s potenciální dopadem na zúčastněné strany

3. Preferovaný random-effect model

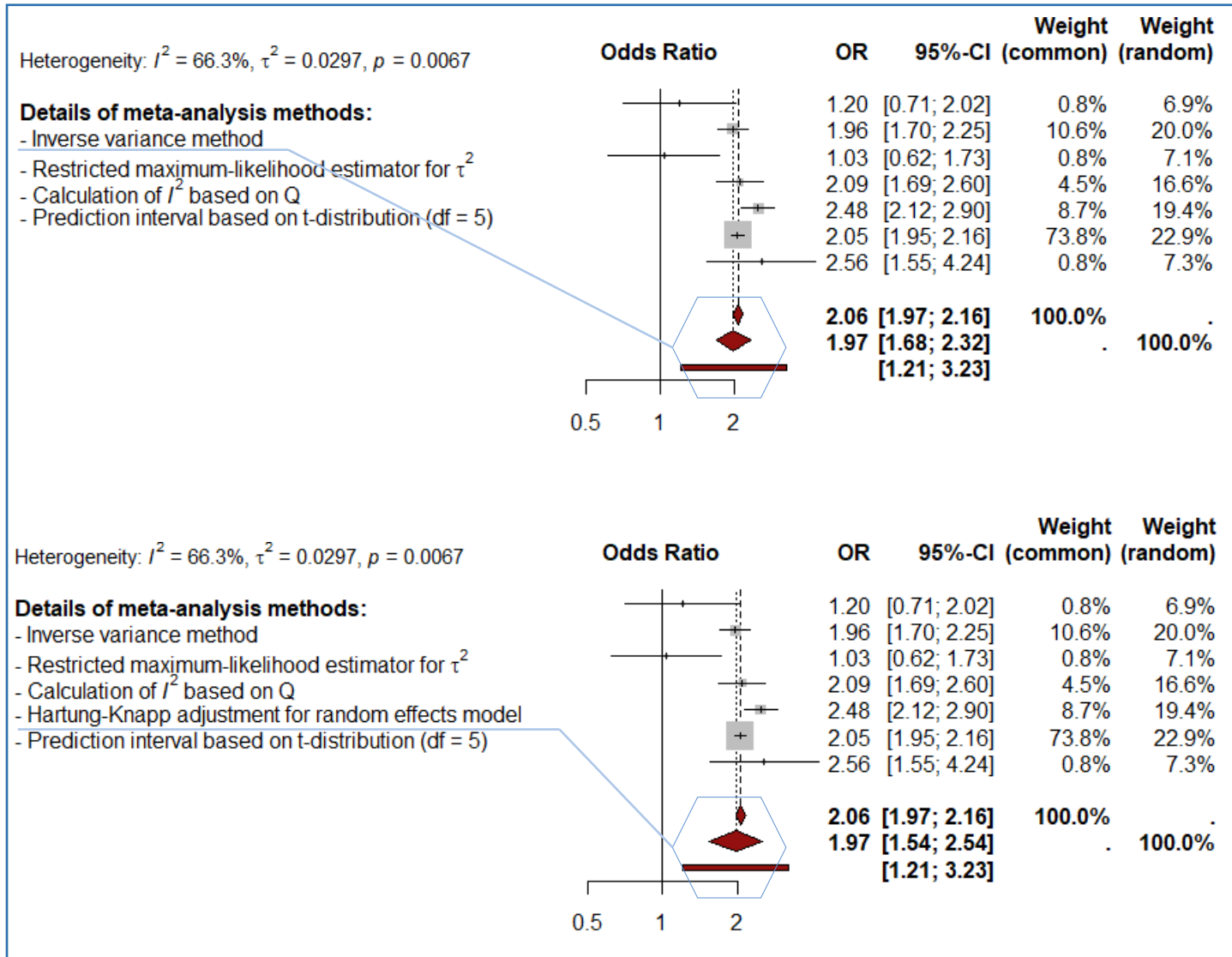


Hartung-Knapp interval spolehlivosti + Paule-Mandel estimátor pro τ

- Pro frekventistickou meta >5 studií
- Zachází s τ jakos fixní hodnotou, ale výrazně konzervativnější

→ Párové meta-analýzy heterogenních výsledků budou častěji vycházet nevýznamně

- Predikční interval = co lze očekávat od nově publikovaných studií



Rozdíly s potenciální dopadem na zúčastněné strany

3. Preferovaný random-effect model

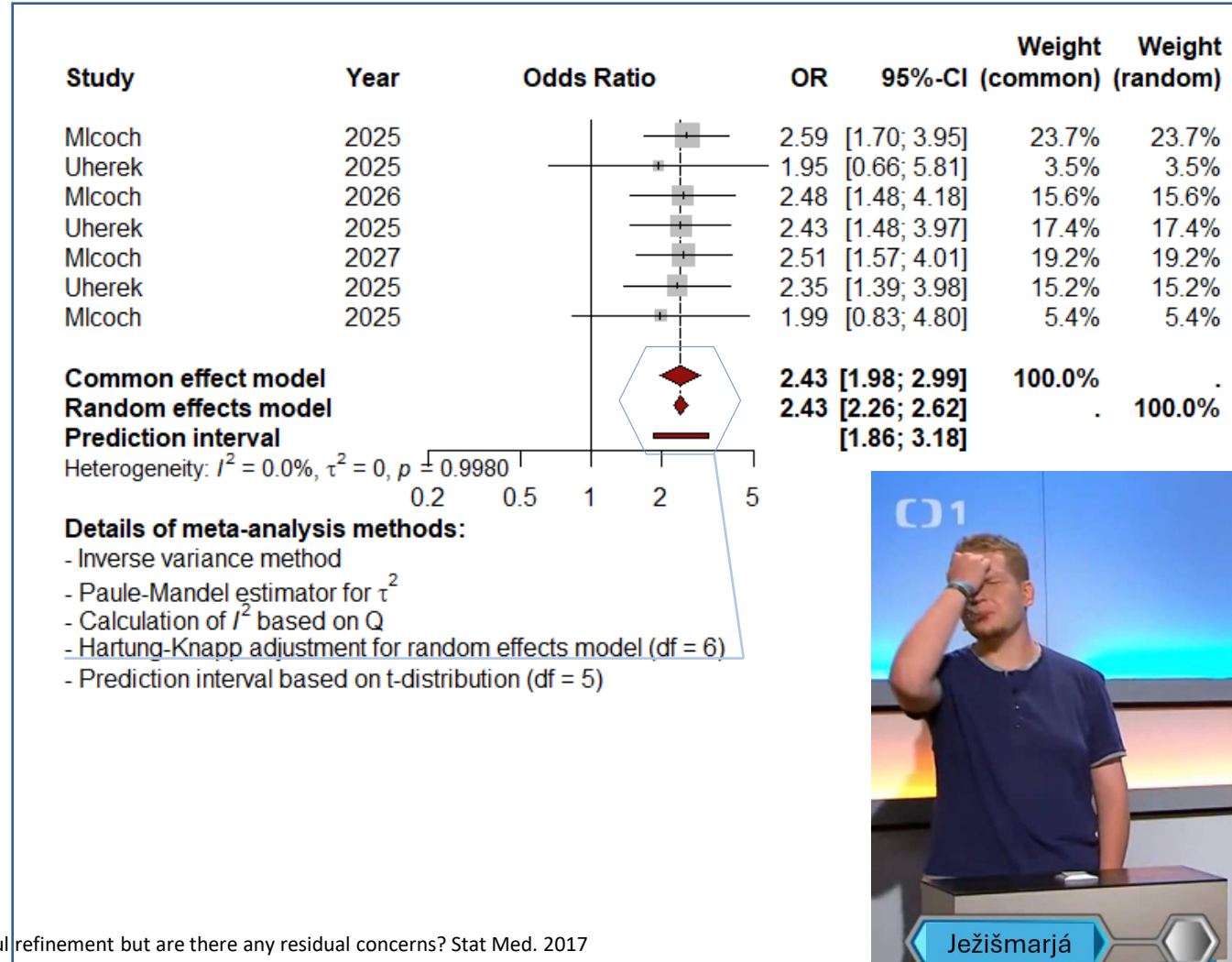


Kontroverze 1:

- Pro nízká τ kolabuje interval spolehlivosti pod rozpětí fixed-effect MA⁸
- je třeba *ad hoc* korekce

Kontroverze 2:

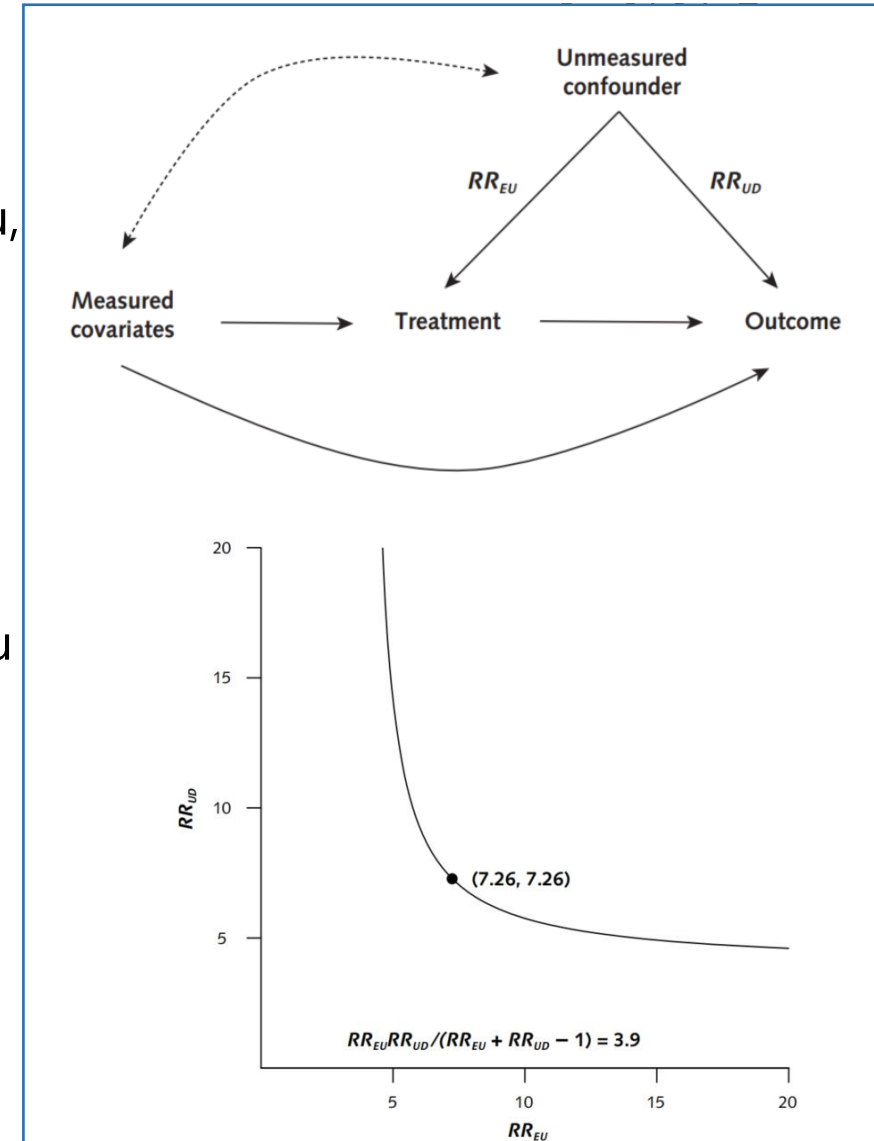
- NICE ani Cochrane nikdy jednoznačně tento model nedoporučovali



Rozdíly s potenciální dopadem na zúčastněné strany

4. E-values

- No unmeasured confounding assumption (NUC) je kritický a neověřitelný předpoklad pro inferenci na základě nerandomizovaných studií
- E-value odhaduje sumu vlivu všech neměřených matoucích faktorů, která by teoreticky vysvětlila pozorovaný efekt
- T.j. bias potřebný k vynulování odhadu relativního efektu (E-hodnota pro očekávanou hodnotu i okraj intervalu spolehlivosti)
- Čím vyšší E-hodnota, tím větší důvěra v kauzalitu relativního efektu
- ALE zatím neexistuje konsensus ohledně prahových hodnot
- NICE ani EUnetHTA toto nezmiňují
- Platí i pro meta observačních studií⁸



Potenciální dopad na zúčastněné strany

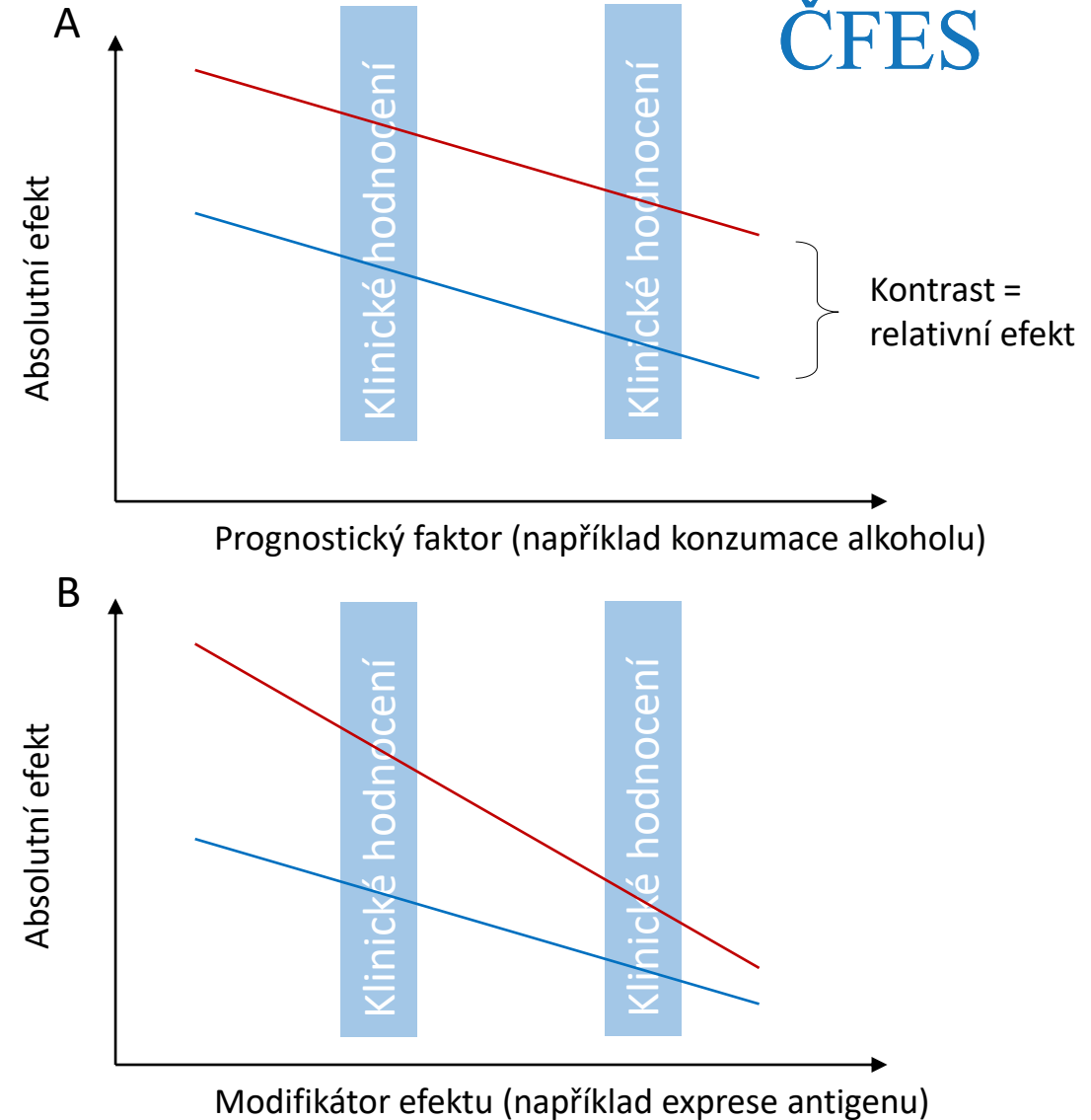
5. Přehled potenciálních modifikátorů efektu léčby



- Shared effect modifier assumption (SEM)
 - HTA CG požaduje detailní popis metodologie pro identifikaci modifikátorů efektu
 - Doložit odhad síly a směru modifikace
 - Analýzy podskupin v RCT mají nízkou sílu (power) a jsou limitovány mnohočetným testováním
- SLR
- expertní elicítace
- IPD analýzy s proxy interakčními výrazy

Kde hledat modifikátory efektu, pokud nemám IPD?

- Analýza podskupin v RCT + interakční výrazy
- Observační studie
- Názor klinika (+ vždy schvaluje seznam modifikátorů)



Potenciální dopad na zúčastněné strany

6. Population-adjusted Methods (PAIC)



Nic nového oproti NICE TSD či EUnetHTA

1. Unanchored MAIC nedoporučován (dlouholetá živelná diskuse pokračuje)
2. Multi-level network meta-regrese (ML-NMR) zmíněna velice povrchně v souvislosti s „outcome regression“, tedy řešením transportability
3. ML-NMR s dostatkem IPD výrazně rozvolňuje SEM předpoklad
4. Chybí jendozančené doporučení pro volbu PAIC

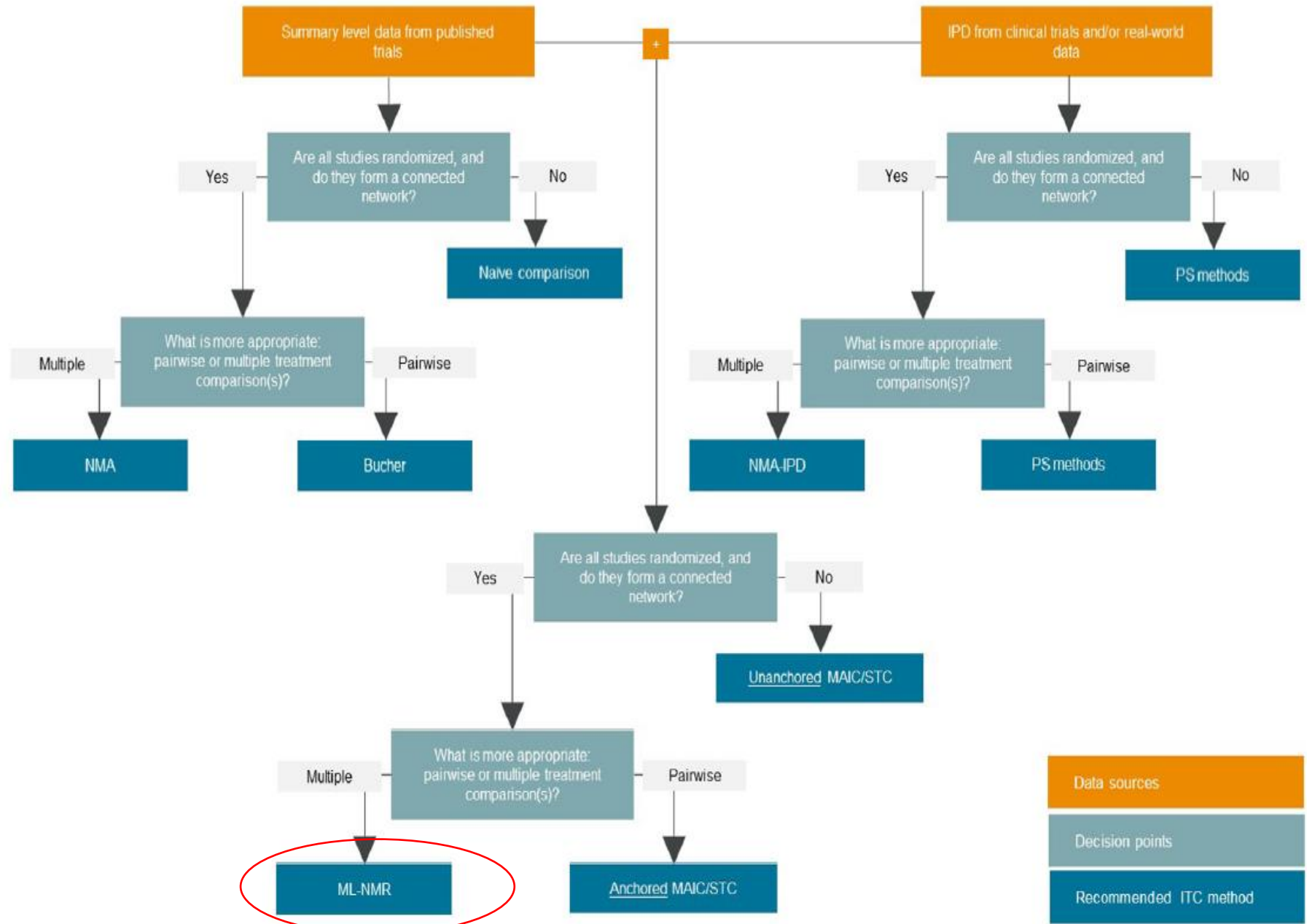
ALE od publikace HTA CG postupů došlo k výraznému průlomu v ML-NMR metodologii^{9,10}

9. Phillippo, D. M., Dias, S., Welton, N. J., & Ades, A. E. (2024). Multilevel network meta-regression for general likelihoods: synthesis of individual and aggregate data with applications to survival analysis

10. Maciel, D., Jansen, J. P., Klijn, S. L., Towle, K (2024). Implementing Multilevel Network Meta-Regression for Time-To-Event Outcomes: A Case Study in Relapsed Refractory Multiple Myeloma. Value in Health.

A Targeted Review of Worldwide Indirect Treatment Comparison Guidelines and Best Practices

Shiro Tanaka, PhD, Ataru Igarashi, PhD, Raf De Maesseneer, PhD, David Bin-Chia Wu, PhD, Dae Young Yu, PhD, Malin Lindvall, PhD, Christopher Olsen, BHSc, Fatemeh Mirzayeh Fasha



TOPIC	HTA CG	EUnetHTA	NICE DSU
Detailed methods and example code	Not provided	⊜	⊚
Review of ongoing trials	Required to identify future evidence and explore publication bias	⊜	⊚
Statistical analysis plan	Requires <i>a priori</i> defined methods	⊜	⊚
Preferred RE model	Knapp-Hartung method preferred	⊜	⊚
E-values	Suggested for sensitivity analysis	⊚	⊚
Effect modification	Comprehensive overview	⊜	⊜
Population-adjusted indirect treatment comparison	No preference given, unanchored considered with extreme caution	⊜	⊜
Multi-level network meta-regression	Partially mentioned	⊜	⊜



=consistent with HTA CG guidelines



≠not consistent with HTA CG guidelines

JOINT CLINICAL ASSESSMENT A PERSPEKTIVA PRŮMYSLU

David Kolář

SOUČASNÁ SITUACE – DO STARTU ZBÝVÁ MĚSÍC A PŮL

Průmysl se připravuje na změny

IMPLEMENTATION

JAN 2025

EU HTA APPLICATION

NOV
2025

JAN
2026

IMPLEMENTING ACTS

ALL APPROVED (to be published)

ANNUAL WORK PROGRAMME

Approved on Nov 28-29

GUIDELINES

PROCEDURES FOR JCA AND JSC approved Nov 28

EU HTA
goes
live

First JCAs

Country access

Joint Scientific Consultations (JSCs)

Horizon Scanning

Voluntary cooperation

Monitoring

Learning and improving

- First-hand insights on EU HTA
- Evaluating first procedures
- Recommendations
- Advocating for changes from year-1

JOINT CLINICAL ASSESSMENT

KDE JSME?

- Implementace legislativních norem je za námi
- Implementace do praxe je před námi

JOINT CLINICAL ASSESSMENT

JCA obsahuje

- Novou metodologii
- Nový proces

JOINT CLINICAL ASSESSMENT – POHLED PRŮMYSLU

- Hodně novinek nebylo testováno. Příklady:
 - výběr PICO
 - zapojení pacientů a dalších stakeholderů
 - nová pravidla o konfliktu zájmu
 - krátké termíny pro doplnění vyžádaných dat apod.
 - propojení informačních platforem
 - implementace JCA do procesů členských států
- Jde o tak závažnou věc, že nemůžeme jít cestou pokusu a omylu. Při možných problémech / nejednoznačných interpretacích bude vhodný dialog všech „stakeholderů“ včetně průmyslu.

JOINT CLINICAL ASSESSMENT

- Vyskytnou-li se chyby a obtíže (například nerealistické požadavky na PICO – počet komparátorů, outcomes, atd.), dojde k prodloužení doby, kdy budou inovativní léčebné přípravky dostupné v EU
- Hlavní poškození by byli:
 - pacienti – na nové léky by čekali déle
 - Evropa – možná ztráta komerční přitažlivosti pro další průmyslové odvětví s vysokou přidanou hodnotou

JOINT CLINICAL ASSESSMENT

- Začátek bude velmi důležitý
- Kdyby JCA nefungoval optimálně, bude to velký problém nejméně pro příští dva roky (kdy se výsledky prvních JCA budou promítat do praxe)
- Obavy na úrovni EU se týkají také JCC (joint clinical consultation): zdá se, že počet plánovaných konzultací není dostatečný a bariéry pro konzultaci (vyžádané údaje) mohou být příliš vysoké

JOINT CLINICAL ASSESSMENT

- Inovativní průmysl chce to samé, co ostatní účastníci procesu:
- Jednoznačný, dobře integrovaný proces vedoucí ke zlepšení dostupnosti inovací v celé EU
- Dostatek zdrojů nutných pro kvalitní výsledky celého procesu
- Užití moderních metod
- Odlišení regulatorního procesu (EMA), JCA a národních rozhodovacích procesů
- Aktivní účast HTD (health technology developer), pacientů, klinických odborníků a dalších expertů na celém procesu

JOINT CLINICAL ASSESSMENT

- Inovativní farmaceutický průmysl je připraven spolupracovat s Evropskou komisí, koordinační komisí a všemi dalšími hráči na optimalizaci procesu i metodologie tak, aby JCA přispěl ke zlepšení dostupnosti inovativní léčby ve všech členských státech EU. Průmysl je připraven pokračovat v dialogu jak na úrovni EU, tak na úrovni jednotlivých členských států.

DĚKUJI ZA POZORNOST



**Value
Outcomes**
an IQVIA business

Definice komparátora v žádostech o úhradu a kontextu PICO v ČR

Štěpán Uherek

3. prosince 2024

Obsah

- 1. Komparátory dle legislativy a doporučených postupů**

- 2. Rozhodovací praxe SÚKL, MZ**

- 3. Co v současnosti víme a nevíme o volbě komparátorů**

- 4. Závěr, jak dál?**



**Value
Outcomes**
an IQVIA business

1. Definice komparátorů dle legislativy a doporučených postupů SÚKL

Definice komparátorů v ČR

- **Definice komparátorů v ČR je dána**
 - zákonem,
 - doporučenými postupy,
 - rozhodovací praxí SÚKL a dalších orgánů.

- §15, odstavec (8) zákona 48/1997 Sb. Zákon o veřejném zdravotním pojištění:
 - *„(8) 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.**“*

Komparátor dle SP-CAU-028 (nákladová efektivita)

- **Hrazený terapeutický postup** = LP/PZLÚ nebo jiný terapeutický postup, který je hrazený z prostředků zdravotního pojištění.
 - Je třeba upozornit, že vhodný komparátor může vstoupit do systému úhrad i v průběhu správního řízení vedeného s hodnocenou intervencí.
- **Obvyklý terapeutický postup** = běžně používaný postup u cílové skupiny v dané indikaci.

Ústav obecně **nedoporučuje** jako hlavní komparátor pro základní scénář volit LP/PZLÚ, které jsou

- **1. hrazené v rámci ústavní péče z lékového paušálu**
 - s výjimkou situací, kdy účastníci vysvětlí a doloží důkazy, že i přes odlišné použití (ambulantní u hodnoceného léčiva vs nemocniční u komparátoru) půjde (resp. lze očekávat) u téže cílové populace obdobné klinické použití v praxi,
- **2. hrazené v režimu podle ustanovení § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění.**
 - Pokud je jako komparátor použit LP/PZLÚ hrazený přes tento mimořádný úhradový mechanismus, musí být ve správním řízení řádně doloženy náklady na léčbu a zejména musí být jednoznačně prokázáno, že je úhrada tímto způsobem běžně realizována, tj. že jde o běžně používaný postup u cílové skupiny v dané indikaci.,
- **3. dočasně hrazené LP/PZLÚ pro výchozí scénář,**
 - neboť u těchto přípravků nemusela být nákladová efektivita prokázána, platí omezení trvání dočasné úhrady a existující nejistoty stanovení trvalé úhrady. V základním scénáři by proto měl být použit trvale hrazený komparátor. V alternativním scénáři ovšem Ústav doporučuje použít také intervenci hrazenou podle ustanovení § 39d zákona o veřejném zdravotním pojištění v režimu dočasné úhrady.

CAU-13: Postup klinického hodnocení léčivých přípravků/PZLÚ pro účely úhradové regulace – obecné principy



- Publikováno 29. 10. 2024
- Komentář k komparátorům hrazeným na §16 nebo v dočasné úhradě (VILP):

*„(...) **Ústav ve specifických situacích** (např. správní řízení dle ust. § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění) **připouští srovnání** hodnocené intervence k terapeutickému **postupu hrazenému dle ust. § 16** zákona o veřejném zdravotním pojištění, **případně dle § 39d zákona o veřejném zdravotním pojištění (VILP).**“*

*S ohledem na výklad zákona a rozhodovací praxi MZ ČR a poté i Ústavu **může být okruh relevantních komparátorů omezen s ohledem na způsob úhrady a výši zastoupení v praxi.**“*

Hrazený a obvykle využívaný LP

- **Co přesně znamená „hrazený“ a „obvykle používaný“ přípravek?**
- **„Hrazený“ komparátor – několik způsobů úhrady**
 - Standardní trvalá úhrada (§39g)
 - Ústavní péče (§15)
 - Dočasná úhrada VILP (§39d)
 - Úhrada přípravků pro terapii vzácných onemocnění (§39da)
 - Výjimečná úhrada dle §16

 - Přípravky bez indikačního omezení
 - Nejasný způsob úhrady
- **„Obvyklý“ komparátor – nemáme jasná pravidla**
 - 1 komparátor, 100% market share vs. X komparátorů, 5% market share

2. Co na to rozhodovací praxe?

Rozhodovací praxe SÚKL

Ustálená praxe – „jasný“ komparátor	
Komparátory (LP) se standardní úhradou	Komparátor je vše trvale hrazené se zastoupením v klinické praxi (AdBoard, expert panel, spotřeby...)
Méně jasná situace – posuzováno individuálně, dle typů požadované úhrady	
LP hrazené dle §16	Možný komparátor / případ od případu?
Dočasná úhrada	Možný komparátor
Ústavní péče	Možný komparátor
Přípravky bez indikačního omezení, indikace uvedena v SPC (on-label)	Možný komparátor
Zcela nejasná situace	
<p>Nejasný mechanismus úhrady (např. některé chemoterapie, starší chemické léky obecně, BSC)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Přípravky bez indikačního omezení, indikace neuvedena v SPC (off-label), ale využívá se • Přípravky s indikačním omezením využívané v jiných indikacích on/off-label (dohody mezi OS a ZP) 	Možný komparátor, vyšoká variabilita

Co na to MZ? SŘ Spinraza

SŘ SUKLS6832/2022 – LP Spinraza (nusinersen) v SMA (§39da)

- Nepředloženo srovnání proti některým komparátorům

Poradní orgán (Závazné stanovisko MZ Č. j.: MZDR 23052/2022-12/MIN/KAN ze dne 16. 8. 2022):

*„(...) S ohledem na specifické okolnosti týkající se léčby vzácných onemocnění se členové poradního orgánu shodli, že **postrádají hodnocení nákladové efektivity s komparací ostatních léčivých přípravků pro léčbu SMA, které jsou (jakýmkoliv způsobem) hrazeny ze zdravotního pojištění.** Poradní orgán vyslovil požadavek, aby každá příští žádost o úhradu LPVO, u kterého existují komparátory hrazené z veřejného zdravotního pojištění (ať s úhradou stanovenou Ústavem ve správním řízení či v režimu dle § 16 zákona č. 48/1997 Sb.), povinně obsahovala takovou analýzu nákladové efektivity.“*

Praxe Ústavu v dalších řízeních dle §39da:

*„Ústav uvádí, že s **ohledem na požadavek poradního orgánu Ministerstva zdravotnictví,** aby každá žádost o stanovení výše a podmínek úhrady dle ustanovení § 39da zákona o veřejném zdravotním pojištění povinně obsahovala **srovnání se všemi relevantními hrazenými komparátory bez ohledu na způsob úhrady,** tzn. trvale hrazené terapie, dočasně hrazené terapie, režimy opakovaně schvalované a hrazené dle ustanovení § 16 (...) **je nezbytné předložit srovnání se všemi v podmínkách české klinické praxe relevantními hrazenými komparátory***

→ V řízeních dle §39da je vyžadováno srovnání se všemi komparátory nehledě na způsob úhrady

Co na to MZ? ŠR Ultomiris (1)

SŘ SUKLS159868/2022 – SŘ Ultomiris (ravulizumab) v PNH + aHUS (standardní úhrada)

- Pojišťovny v odvolání napadají komparátor pro CMA hrazený na §16 (LP Soliris, ekulizumab)
- Rozhodnutí MZ (Č. j.: MZDR 22600/2023-2/OLZP ze dne 26. října 2023):

*„v souladu s § 15 odst. 8 zákona č. 48/1997 Sb. je **nákladová efektivita hodnocena ve srovnání s takovým terapeutickým postupem** hrazeným z prostředků zdravotního pojištění, **který je obecně přijímán jako obvyklý (tj. např. nikoliv jako výjimečný).**“*

(...)

*„**Je-li přitom nepředmětný přípravek SOLIRIS v praxi hrazen toliko postupem § 16** zákona č. 48/1997 Sb. – čili pouze **ve výjimečných případech** (což je přímo jednou ze zákonných podmínek pro přiznání úhrady dle § 16 zákona č. 48/1997 Sb.) – **lze takové jeho hrazené klinické využití stěží obecně přijímat jako obvyklý terapeutický postup.** Zejména z tohoto důvodu nemůže být nepředmětný přípravek SOLIRIS akceptován jako komparátor nákladové efektivity ve smyslu § 15 odst. 8 zákona č. 48/1997 Sb.“*

Co na to MZ? ŠR Ultomiris (2)

*„Jakkoli zřejmě nelze vyloučit, že **zdravotní pojišťovny schvalují některé úhrady postupem dle § 16 zákona č. 48/1997 Sb. takovým způsobem (např. natolik hojně), až se může jevit, že se o výjimečné případy nejedná, § 16 zákona č. 48/1997 Sb. explicitně postuluje výjimečnost případů jako nezbytnou podmínku.**“*

(...)

*„Navíc vede využívání přípravků hrazených toliko postupem dle § 16 zákona č. 48/1997 Sb. jakožto komparátorů nákladové efektivity k **flagrantnímu obcházení zákonného institutu nákladové efektivity**“*

(...)

*„Takový terapeutický postup tudíž **nemohou považovat za obvyklý** ve smyslu věty první § 15 odst. 8 zákona č. 48/1997 Sb.“*

→ Komparátory hrazené dle §16 dle MZ nelze považovat za relevantní (minimálně v žádostech o standardní úhradu)



**Value
Outcomes**
an IQVIA business

3. Co tedy v současnosti (ne)víme?

Co je „hrozený“ komparátor dle typu SŘ?

- Na základě guidelines, rozhodovací praxe SÚKL, verdiktů MZ...

		Způsob úhrady komparátoru					
		Standardní ÚHR	VILP	Orphan	§16	Hospital	Nejasný způsob ÚHR
Typ řízení	Standardní ÚHR*	Ano	Ne	Ano	Ne	Ano	Zřejmě ano
	VILP*	Ano	Asi ne***	Ano	Ne	Ano	Zřejmě ano
	Orphan**	Ano	Ano	Ano	Ano	Ano	Zřejmě ano

* Dáno rozhodnutím MZ v SŘ Ultomiris

** Dáno závazným stanoviskem MZ v SŘ Spinraza

*** VILP komparátor k VILPu? Dle klinických doporučení je to možné

Co nevíme?

- **Komparátor hrazený nejasným způsobem:**
 - trvalá úhrada,
 - nemá indikační omezení,
 - předmětná indikace není uvedena v SPC,
 - dle registru je podáván pacientům,
 - experti uvádí, že přípravek je standardně hrazen v ambulantní péči.

→ **Jak je přípravek tedy hrazen?**
- **Komparátory v hospital use**
 - také neprokazovaly nákladovou efektivitu, nebyly hodnoceny SÚKLEM
 - CAR-T atd.
 - Mají být komparátorem, viz rozhodnutí MZ k (ne)prokazování CE v SŘ Ultomiris?
- **Komparátor v SŘ dle §39da je podáván off-label a hrazen na §16**
 - Doporučován v guidelines
 - Nemá robustní data o účinnosti, bezpečnosti (off-label, vzácná indikace)
 - → **Je to relevantní komparátor, ale srovnání nelze validně provést. Co s tím?**
- **Komparátor v SŘ dle §39da byl historicky uhrazen 1 pacientovi na §16**
 - V populaci např. 10 pacientů = 10 %, nicméně stále 1 pacient
 - → **Je to relevantní (obvyklý) komparátor, standard of care?**
- **Hlavní vs. alternativní komparátor / scénář**
 - → **Je srovnání s alternativním komparátorem relevantní? Bude posuzováno ve vztahu k WTP?**



**Value
Outcomes**
an IQVIA business

4. Závěr – jak dál?

Závěr

- Co je/není komparátor není zcela jednoznačné
- CZ doporučení jsou stručná a praxe se v čase mění, vyvíjí
- Existují **hraniční** příklady, zejména v SŘ dle §39da

→ **Obtížná předvídatelnost řízení (protichůdné závěry SÚKL ve věci komparátorů)**

→ **Stačí nám současné doporučené postupy (v oblasti definice komparátorů)?**

- Potřebujeme vyčerpávající definici nebo je určitý „prostor“ žádoucí?
- Inspirace v zahraničí?
 - Hranice pro minimální zastoupení komparátora v cílové populaci (viz SK a 20 %)
 - Dostupnost dat – relevantní komparátor musí mít data umožňující provést klinické a FE srovnání (viz např. EUnetHTA, částečně Německo, Holandsko, Maďarsko...)

Recommendation 4

The choice of comparator should be supported by evidence on its efficacy and safety profile described in published medical literature, and based on randomised controlled trials, pragmatic trials or good quality observational studies.

*It is highly desirable that **only comparators be used in REA for which a reasonable amount of good quality evidence is available.** In addition, and under ideal circumstances, **the evidence for the chosen comparator should allow for a, preferably blinded, randomised controlled comparison, even if done indirectly.***



Value Outcomes an IQVIA business

Pernerova 691/42
186 00 Praha 8 - Karlín
info@valueoutcomes.cz

Komparátor dle SP-CAU-028

Výběr srovnávané intervence (komparátoru)

Definice a požadavek:

Srovnávané intervence (komparátory) jsou terapeutické postupy, které jsou v terapii daného onemocnění cílové skupiny pacientů přijímány jako obvyklé pro dané stádium onemocnění a linii jeho léčby a jsou současně hrazeny z prostředků zdravotního pojištění v ČR. Je-li identifikováno více relevantních komparátorů, má být srovnání provedeno proti všem odděleně. Platí přitom, že výběr komparátoru musí být řádně odůvodněn, tzn. mimo jiné v souladu s jinými důkazy předkládanými ve správním řízení (klinická část, komparativní účinnost a bezpečnost, postavení LP v algoritmu léčby, doporučené postupy).

Hrazený terapeutický postup tedy znamená, že jde o LP/PZLÚ nebo jiný terapeutický postup, který je hrazený z prostředků zdravotního pojištění. Je třeba upozornit, že vhodný komparátor může vstoupit do systému úhrad i v průběhu správného řízení vedeného s hodnocenou intervencí.

Obvyklý terapeutický postup znamená, že se jedná o běžně používaný postup u cílové skupiny v dané indikaci.

Ústav obecně nedoporučuje jako hlavní komparátor pro základní scénář volit LP/PZLÚ, které jsou

- 1. hrazené v rámci ústavní péče z lékového paušálu s výjimkou situací, kdy účastníci vysvětlí a doloží důkazy, že i přes odlišné použití (ambulantní u hodnoceného léčiva vs nemocniční u komparátoru) půjde (resp. lze očekávat) u téže cílové populace obdobné klinické použití v praxi,
- 2. hrazené v režimu podle ustanovení § 16 zákona o veřejném zdravotním pojištění. Pokud je jako komparátor použit LP/PZLÚ hrazený přes tento mimořádný úhradový mechanismus, musí být ve správním řízení řádně doloženy náklady na léčbu a zejména musí být jednoznačně prokázáno, že je úhrada tímto způsobem běžně realizována, tj. že jde o běžně používaný postup u cílové skupiny v dané indikaci.,
- 3. dočasně hrazené LP/PZLÚ pro výchozí scénář, neboť u těchto přípravků nemusela být nákladová efektivita prokázána, platí omezení trvání dočasné úhrady a existující nejistoty stanovení trvalé úhrady. V základním scénáři by proto měl být použit trvale hrazený komparátor. V alternativním scénáři ovšem Ústav doporučuje použít také intervenci hrazenou podle ustanovení § 39d zákona o veřejném zdravotním pojištění v režimu dočasné úhrady.

Pokud je v analýze nákladové efektivity použit některý z komparátorů uvedený v bodech 1–3, Ústav rovněž požaduje předložení dalšího scénáře, ve kterém tyto komparátory zohledněny nejsou.

Komparátor dle SP-CAU-027

Výběr a popis stávajícího léčebného schématu

Definice a požadavek:

Stávající léčebné schéma představuje terapeutické postupy, které jsou v terapii daného onemocnění u cílové skupiny pacientů přijímány jako obvyklé pro dané stádium onemocnění a linii jeho léčby a jsou současně hrazeny z prostředků zdravotního pojištění. Toto schéma by mělo korespondovat s komparátorem či komparátory (srovnávanou intervencí) v analýze nákladové efektivity. Pokud existuje více takových obvyklých intervencí, musí být v předložené BIA počítáno vždy se všemi jako terapeutickým mixem najednou v poměrném zastoupení, které odpovídá aktuální realitě klinické praxe, resp. projekci v souladu s časovým horizontem BIA. Pokud je některý léčivý přípravek hrazený dočasně, měly by být předloženy 2 scénáře:

1. kdy se předpokládá, že po vypršení dočasné úhrady je přípravek dále hrazen a používán,
2. kdy se předpokládá, že po vypršení dočasné úhrady není přípravek dále hrazen ani používán.

Výběr komparátorů i jejich procentuální zastoupení musí být řádně odůvodněny.

EUnetHTA: COMPARATORS & COMPARISONS

2.2.4. Level of evidence

Another important consideration is the evidence available for the chosen comparator particularly if it has no marketing authorisation for the particular indication. If an intervention is used routinely in clinical practice, it is most likely that evidence of its effectiveness and safety profile is available for the target population. This however is not always the case for interventions that have been used historically for a long time and, in particular, for small target indications. **It is highly desirable that only comparators be used in REA for which a reasonable amount of good quality evidence is available.**

In addition, and under ideal circumstances, the evidence for the chosen comparator should allow for a, preferably blinded, randomised controlled comparison, even if done indirectly. Although not explicitly stated in the national guidelines, there seems to be in practice an implicit preference for direct comparisons. It is acknowledged that this may sometimes be difficult considering the way of administration, or any difference in safety profile and adverse effects that can affect the blinding or favour different patient subpopulations. **Evidence for the chosen comparator can also be taken from pragmatic trials, observational studies or registries, but these have to be of high quality.** In addition, the decision whether or not specific studies are suitable for a(n) (indirect) comparison often needs rigorous assessment of the studies, which cannot be done for all possible comparators.

There are situations where no good evidence for the effectiveness of the routine care is available, and in these situations no clear advice is given in any national guidelines. A possibility in this situation is to find a proxy comparator and resolve this through a pragmatic and deliberative rather than a fully evidence based approach.



AKTIVITY ČFES 2023/2024 A VIZE & PROVOZNÍ UP-DATE

Shromáždění členů a pracovní den ČFES

Tomáš Mlčoch

3.12.2024

Aktivity 2023



Celkem 4 společné semináře

Seminář k JCA (únor 2023) + zahraniční host (I. Lipska)

Pracovní den ČFES (květen 2023): WTP, výsledky pracovních skupin WTP, ZP, vakcíny

Valné shromáždění a volby (listopad 2023)

Seminář ke zdravotnickým prostředkům (listopad 2023)

Celkem 3 pracovní skupiny a výstupy formou doporučení/white paperů

WTP & added value

Vakcíny

Zdravotnické prostředky

Unikátní práce ČFES komunity, nevídané obrození 😊

Aktivity 2024



Celkem 2 semináře ČFES a 1 aktivní (spolu)účast (**3 akce**)

Pracovní den ČFES (květen 2024): JCA a úhrady vakcín

Seminář VZP a ČFES k zdravotnickým prostředkům

Pracovní den ČFES (prosinec 2024): JCA, komparátory, provozní

Mezinárodní účast na XVI. Slovenské a české farmakoekonomické konferenci pořádané Slovenskou farmakoekonomickou společností (Bratislava), **4 aktivní příspěvky s velmi pozitivním ohlasem**

- 1)** Zkušenosti s orphan legislativou a celospol. Perspektiva (Mlčoch, Uherek, Doležal)
- 2)** WTP & added value (Klimeš, Mlčoch)
- 3)** Nový systém pro HTA vakcíny (Doležal)
- 4)** Společné klinické hodnocení (JCA) (Vocelka, Klimeš, Pásztor)

Členové ke dni 28.11.2024



1. Členská základna ČFES – **184 členů (+ 14%; 22 členů vs. rok minulý (162); vs. 2022 (142), tj. +30%)**
2. Cíl (70%) splněn: **72 % uhradilo** členský příspěvek za rok 2024 (zvýšení z 65% loni a 55% předloni, ale stále to není ideální), nicméně se zdá, že „neplatiči“ jsou stabilní skupina, která se příliš neúčastní našich akcí
3. Prosíme proto o úhradu na číslo účtu: **35-5555660267/0100**
 - Variabilní symbol podle Vašeho členského čísla (zasláno všem e-mailem)
 - Předem děkujeme, stejně jako děkujeme těm, co příspěvek uhradili v termínu
4. Několik členů „ztraceno“ při přechodu na nové pracoviště a nenahlášením změny e-mailu
 - Chcete-li být nadále členy ČFES po změně pracoviště/e-mailu, prosím informujte nás o této skutečnosti

Členové ke dni 28.11.2024



1. Členská základna ČFES – **184 členů (+ 14%; 22 členů vs. rok minulý (162); vs. 2022 (142), tj. +30%)**

2. Cíl (70%) splněn: **72 % uhradilo** členský příspěvek za rok 2024 (zvyš předloni, ale stále to není ideální), nicméně se zdá, že „neplatiči“ jsou lidé, kteří se příliš neúčastní našich akcí



3. Pokud jste nestihli zaplatit, prosíme o úhradu na číslo účtu: **35-5555660267/0100**

- Variabilní symbol podle Vašeho členského čísla (zasláno všem e-mailem)
- Předem děkujeme, stejně jako děkujeme těm, co příspěvek uhradili v termínu

4. Několik členů „ztraceno“ při přechodu na nové pracoviště a nenahlášením změny e-mailu

- Chcete-li být nadále členy ČFES po změně pracoviště/e-mailu, prosím informujte nás o této skutečnosti

Účetnictví za rok 2023



1. Daňové přiznání odevzdáno 14.6.2023 prostřednictvím daňového poradce
2. Výsledky:
 - **Příjmy 72 100 Kč** – členské příspěvky (vs. 2024 ↑ **vlivem** ↑ **příspěvků**)
 - Výdaje 99 517
 - služby (doména - web, účetnictví, administrativní pomoc M. Mandelíková)
 - cena ČFES Dr. Decker,
 - pronájem prostor a občerstvení: na podzim 2023 byly **2 větší akce**: volby ČFES, seminář k ZP + jarní seminář celospolečenská perspektiva a pracovní den = celkem **4 semináře namísto standardních dvou**)
 - Výdaje 2 372 - bankovní poplatky
 - **Výdaje celkem 101 889 Kč**
 - **Základ daně/Zisk -29 789 Kč** (snížení oproti -35 651 Kč z 2023)
 - Daň 0 Kč (byla generována ztráta)

Výhled financí 2024

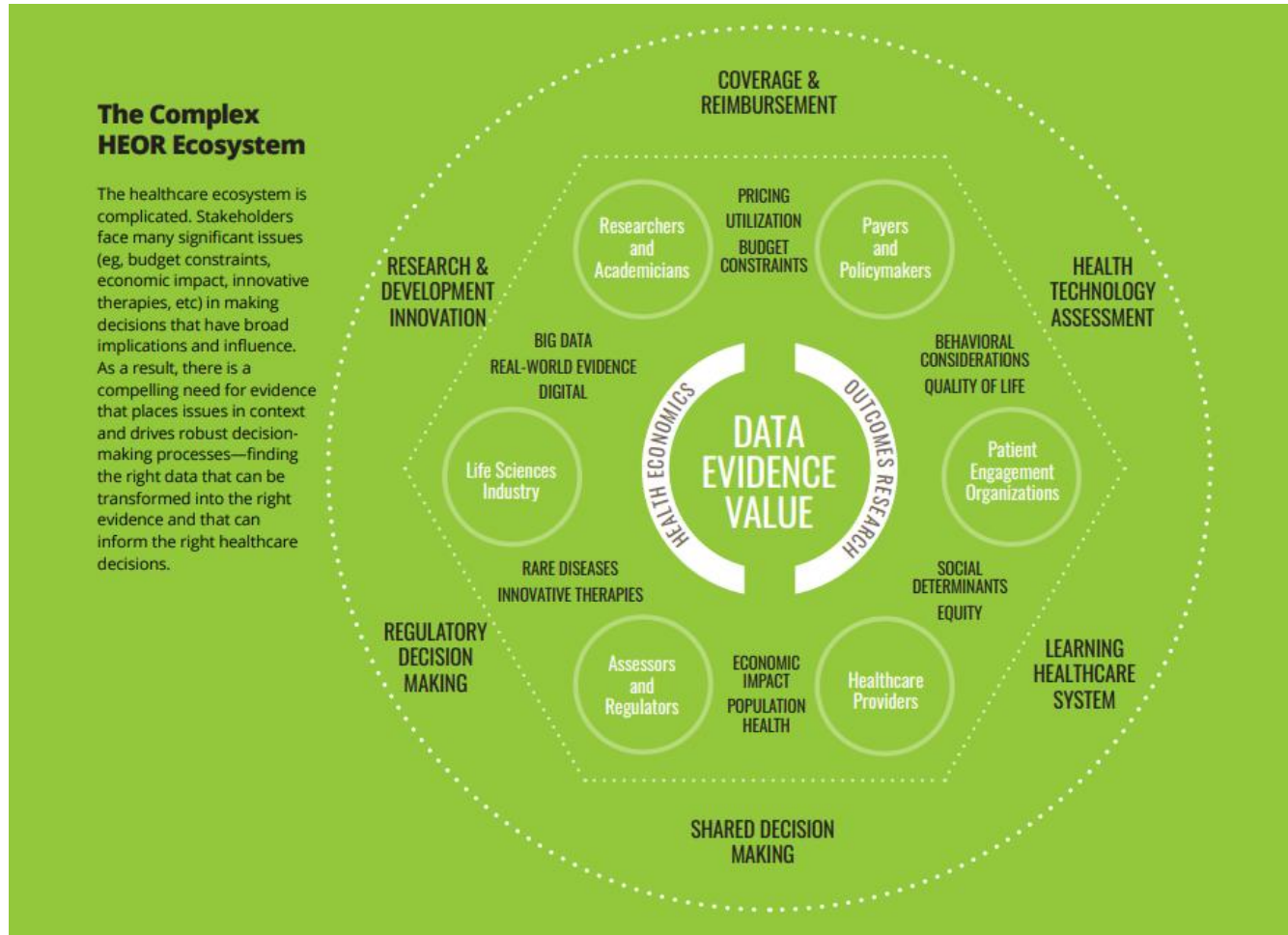


Stav účtu ke dni 28.11.2024: **337 781,40 Kč** (tj. nižší této době 2023)

- Relativně pozitivní stav účtu dán příjmy z předchozích let (málo akcí během COVID-19)
- Poměrně větší výdaje v 2023 vlivem většího počtu akcí (4 místo 2), výdajů (administrativa, aj.), ale současně vyšší podíl zaplacených příspěvků
- Výhled pro 2024:
 - vyšší příspěvky za členství v ČFES (nárůst z 600 na 800 Kč (tj. +33%))
 - mírné zvýšení nákladů za služby (webhosting, administrativa Míša, právní služby)
 - nutnost přepisů údajů v obchodním rejstříku a příprava PPT od AK KMVS, odkaz pro „další generace ČFES“, aby mohli relativně „levně a jednoduše“ vše přepsat v OR
- **Předchozí rok k 31.12.2023: 338 504,36 Kč, mírně nižší oproti 2022: 368 293,05 Kč**
 - V roce 2023 nastala „stabilizace“ příjmů, kdy již nebyly velké výdaje např. s právními službami, pouze pronájem a „běžný“ provoz (administrativa, web, postery ISPOR)
 - V roce 2024 pokračuje stabilizace příjmů

ČFES & SPOLKOVÝ REJSTŘÍK

Spolupráce s ISPOR



ISPOR - Strategic Plan

1. Aktivní zapojení do aktivit a zviditelnění v rámci ISPOR
 - Guidelines/metodiky ČFES
 - News – novela 48, implementace
2. Možnost zajištění mezinárodních speakers na ČFES akce
3. Výzkumné aktivity – health policy across CEE
4. Pravidelný ČFES report (ISPOR chapter annual report)

Co nás dále čeká...



1. Dále **kultivovat** standard HTA a ekonomického hodnocení v ČR
2. Být **odborným partnerem** pro státní instituce, OS, patientské organizace
3. Mít možnost dále kultivovat a komentovat **dopady legislativního rámce**
 - Hranice ochoty platit; WTP
 - Joint Clinical assessment - implementace
 - Udržení pozice principů HE/HTA (v rámci lokálních zákonů)
4. Rozšiřovat působnost principů a metodik HTA:
 - Zdravotnické prostředky a jiné ne-lékové technologie (např. ZP)
5. Rozvoj odbornosti v rámci komunity
 - **Plánovaný update „velkých“ guidelines ČFES**
6. Být aktivní v procesu otevírání/ zpřístupnění dat
7. Udržovat HEOR/HTA/MA komunitu 😊

Vize a aktivity nastupujícího předsedy: zhodnocení loňských předsevzetí 😊



- Pokračování v „rozpracovaných“ projektech a zajištění kontinuity ČFES (pracovní skupiny vakcíny, zdravotnické prostředky i hranice ochoty platit)
 - **První akce 29.11.2023**, která se bude věnovat zdravotnickým prostředkům
 - **Současně follow-up akce ČFES ve spolupráci s VZP (22.4.2024)**
- Odborná podpora legislativního procesu týkajícího se HTA v ČR (viz výše)
- „Oprášit“ WTP pracovní skupinu a připravit retrospektivní analýzu výsledků CEA/BIA ve smyslu dodatečných kritérií pro WTP (QALY shortfalls (absolute, proportional), zisk QALY, ICER, netBIA, počet komparátorů, nenaplněná potřeba léčby aj.) v souladu s pracovní skupinou **První výstupy dnes, máme se na co těšit 😊**
- Aktualizace doporučených postupů CEA/BIA od ČFES, které byly naposledy roce 2020 (<https://www.farmakoekonomika.cz/2020-doporucene-postupy-pro-zdravotne-e-hodnoceni-v-cr-ceska-spolecnost-pro-farmakoekonomiku-a-hodnoceni-zdravotnickych-techi-cfes/index.htm>)
- Připravenost na „ad hoc“ projekty a pracovní skupiny (viz vakcíny/ZP)
- Pokračování ve společných akcích minimálně 2x ročně
- A určitě mnoho dalšího... 😊

TO BE ANNOUNCED..



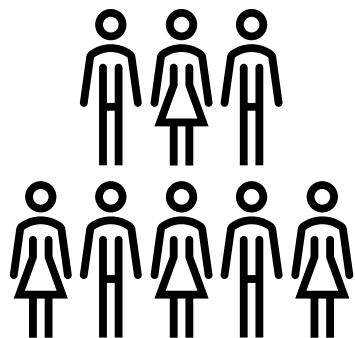
ZPRÁVA REVIZNÍ KOMISE 2023 - 2024

Shromáždění členů a pracovní den ČFES

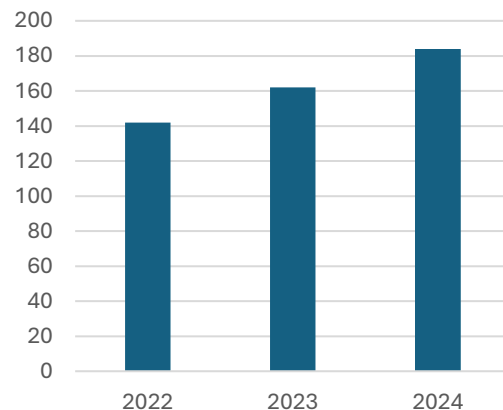
Lenka Příbylová, Aleš Kmínek

3.12. 2024

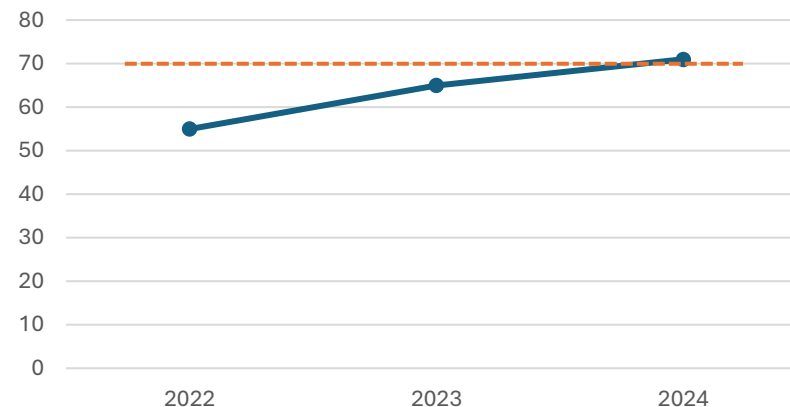
ČFES se rozvíjí:



184 členů
+ 14%



% úhrady členských příspěvků



Aktivity:

Lokální:

- Pracovní den ČFES (květen 2024): JCA a úhrady vakcín
- Seminář VZP a ČFES k zdravotnickým prostředkům
- Pracovní den ČFES (prosinec 2024): JCA, komparátory, provozní

Mezinárodní:

- Účast na XVI. Slovenské a české farmakoekonomické konferenci pořádané Slovenskou farmakoekonomickou společností (Bratislava), **4 aktivní příspěvky**



stabilizace

- Daňové přiznání za rok 2023 odevzdáno 14.6.2023
- Výsledek hospodaření za rok 2023 je ztráta Kč 29 789.
- Stav účtu ke dni 28.11.2024: Kč 337 781,40
- Zvýšení členských příspěvků z Kč 600 na Kč 800 by mělo přinést cca Kč 27 000 za rok.

ZÁVĚR REVIZNÍ KOMISE



Aktivity ČFES jsou ve shodě se stanovami a posláním společnosti.

Finanční situace ČFES je vyrovnaná a umožňuje další rozvoj aktivit.

Revizní komise nenašla žádné pochybení v organizaci aktivit, ani v reportování finanční situace.



Cena ČFES za odbornou publikaci za rok 2023

Vyhlášení soutěže

Tomáš Mlčoch

3/12/2024



Kritéria hodnocení ČFES publikace roku

Kritéria hodnocení:

- 1) Originalita tématu
- 2) Kvalita časopisu/impakt faktor
- 3) Odborná úroveň/použitá metodika
- 4) Přínos pro obor

Publikaci vybírá **Výbor na základě připraveného shrnutí organizátora** (Tomáš Mlčoch) a vlastního studia

Vyřešení konfliktu zájmů: spoluautoři článků z výboru ČFES (T. Mlčoch, T. Doležal) **byli zbaveni práva hlasování o publikaci roku**

Výsledky: Výbor se jednohlasně shodnul v poměru 4/4 hlasů o vítězi publikace roku

Přihlášené publikace do Ceny ČFES



- 1) Barbora Decker, Tomas Mlcoch, Anastasie Pustovalova and Tomas Dolezal:** Novel approach to decision making for orphan drugs
Časopis: International Journal of Technology Assessment in Health Care (<https://www.cambridge.org/core/journals/international-journal-of-technology-assessment-in-health-care>), <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36748356>
Impakt faktor = 2.6
- 2) Tužil, Pilnackova Filkova, Watt, Jiskra, Koudelkova, Novotna, Tuzilova, Dolezal, Bartakova:** The Impact of Subclinical Hypothyroidism on the Quality of Life During Pregnancy: Mapping 5-Level Version of EQ-5D and ThyPRO-39.
Časopis: Value in Health (<https://www.tandfonline.com/toc/ierp20/current>), <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36878311>
Impakt faktor = 4.9
- 3) Hospodkova, Gilikova, Bartak, Marusakova, Tichopad:** Opportunities and Threats of the Legally Facilitated Performance-Based Managed Entry Agreements in Slovakia: The Early-Adoption Perspective
Časopis: Healthcare (<https://www.mdpi.com/journal/healthcare>), <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37108013>
Impakt faktor = 2.4
- 4) Tichopád A , Augustynek M , Beneš J , Dlouhý M , Doležal T , Horáková D , Kršek M , Lhotska L , Panzner P , Penhaker M , Petr M , Piřha J , Popesko B , Rožánek M , Táborský M , Vrablík M :** The way to data: opinions and recommendations for the provision of health data for secondary use.
Časopis: Casopis Lekarů Ceských (<https://www.prolekare.cz/casopisy/casopis-lekaru-ceskych>), <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37474288>
Recenzovaný časopis, bez standardizovaného impakt faktoru (SJR 0.16)

Přihlášené publikace do Ceny ČFES



1) **Barbora Decker, Tomas Mlcoch, Anastasie Pustovalova and Tomas Dolezal**: Novel approach to decision making for orphan drugs
Časopis: International Journal of Technology Assessment in Health Care (<https://www.cambridge.org/core/journals/international-journal-of-technology-assessment-in-health-care>), <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36748356>

Impakt faktor = 2.6

2) **Tužil, Pilnackova Filkova, Watt, Jiskra, Koudelkova, Novotna, Tuzilova, Dolezal, Bartakova**: The on the Quality of Life During Pregnancy: Mapping 5-Level Version of EQ-5D and ThyPRO-39.

Časopis: Value in Health (<https://www.tandfonline.com/toc/ierp20/current>), <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36748356>

Impakt faktor = 4.9



Hypothyroidism

.1

3) **Hospodkova, Gilikova, Bartak, Marusakova, Tichopad**: Opportunities and Threats of the Legally Facilitated Performance-Based Managed Entry Agreements in Slovakia: The Early-Adoption Perspective

Časopis: Healthcare (<https://www.mdpi.com/journal/healthcare>), <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37108013>

Impakt faktor = 2.4

4) **Tichopád A , Augustynek M , Beneš J , Dlouhý M , Doležal T , Horáková D , Kršek M , Lhotska L , Panzner P , Penhaker M , Petr M , Piřha J , Popesko B , Rožánek M , Táborský M , Vrablík M** : The way to data: opinions and recommendations for the provision of health data for secondary use.

Časopis: Casopis Lekarů Ceských (<https://www.prolekare.cz/casopisy/casopis-lekaru-ceskych>), <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/37474288>

Recenzovaný časopis, bez standardizovaného impakt faktoru (SJR 0.16)



ČFES

Cena ČFES za odbornou publikaci za rok 2023

Vliv subklinické hypotyreózy na kvalitu života během těhotenství: mapování EQ-5D-5L a ThyPRO-39



Mgr. Jan Tužil Ph.D.

3/12/2024

SYSTEMATIC REVIEW



Health-related quality of life in women with autoimmune thyroid disease during pregnancy and postpartum: systematic review including 321,850 pregnancies

Jan Tuzil ^{a,b}, Jana Bartakova^{a,c}, Torquil Watt ^d and Tomas Dolezal^{b,e}

Conclusions: The generic QoL in autoimmune thyroid disease during pregnancy has never been described, which represents an obstacle for the construction of economic models. We found contradictory information on the impact of thyroid disease on depression, anxiety, and specific symptoms.



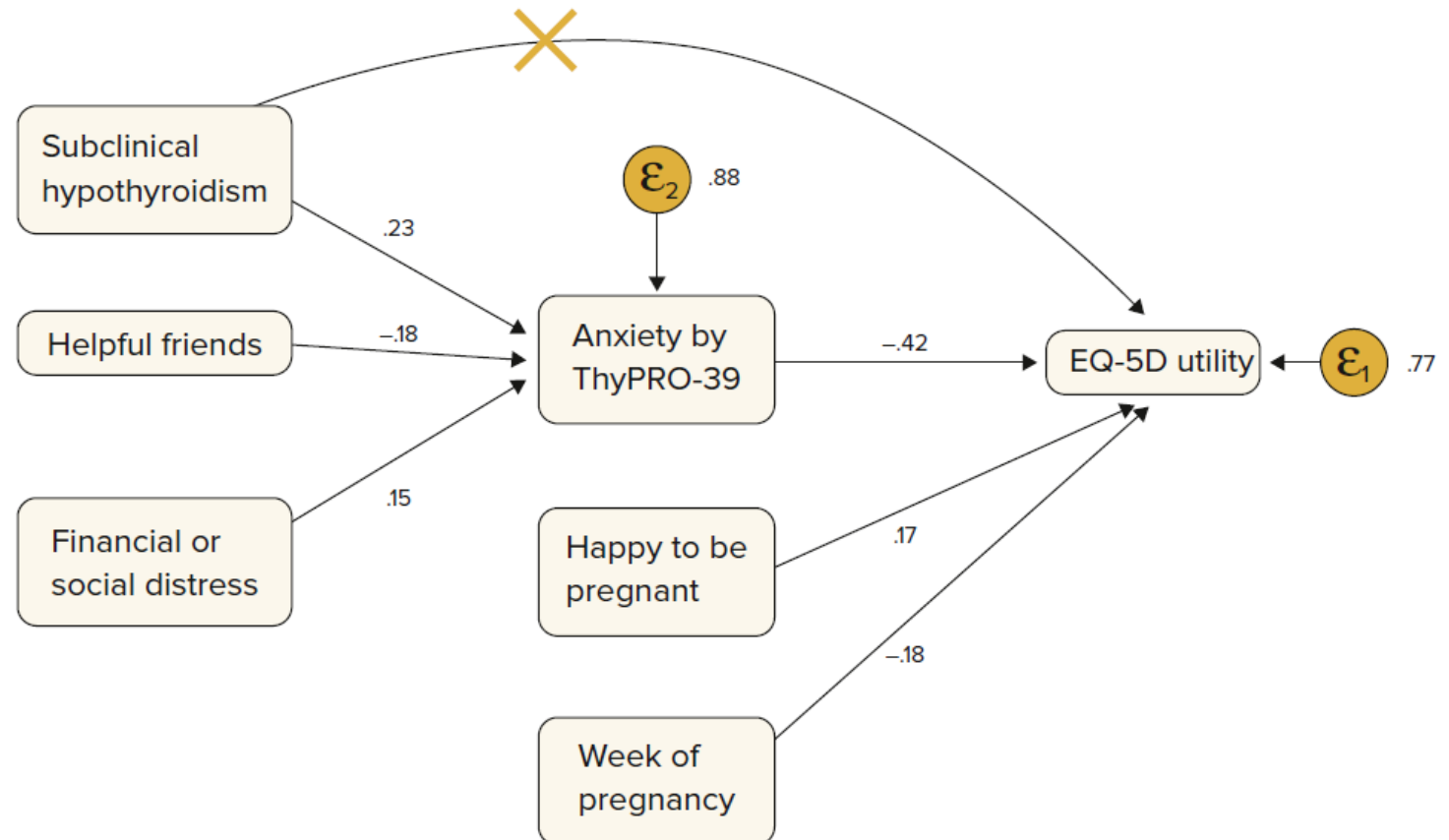
průřezový sběr PRO + krevní testy

Preference-Based Assessments

The Impact of Subclinical Hypothyroidism on the Quality of Life During Pregnancy: Mapping 5-Level Version of EQ-5D and ThyPRO-39

Tuzil Jan, MSc, Pilnackova Filkova Barbora, MSc, Watt Torquil, MD, PhD, Jiskra Jan, MD, PhD, Koudelkova Marcela, MD, Novotna Eva, MD, Tuzilova Klara, MD, Dolezal Tomas, MD, PhD, Bartakova Jana, PhD

- ✓ Validovaná česká verze dotazníku ThyPRO-39
- ✓ 6 mapping modelů + volně dostupný dataset pro tvorbu korelační matice do PSA
- ✓ Identifikace specifických příznaků SubHypo u těhotných
- ✓ První evidence o dekrementu utility
- ✓ Náhled do mechanismu snížení kvality života





WTP a added value – kultivace WTP...

ČFES pracovní skupina

Kde jsem a kam směřujeme...

Jiří Klimeš, Tomáš Mlčoch, Bálint Pásztor, Štěpán Uherek a kol.

03/12/2024

Cíle pracovní skupiny – z roku 2023



Otevřít diskusi nad vyšší WTP a jejím možným vývoji/valorizaci v čase

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

...jelikož 1,2 mil Kč/ QALY (a nic jiného) se ukazuje jako nedostatečné pro objektivní value-base posuzování léčiv/ nových technologií

...jelikož pokud nebude systém kultivován dle metodik založených na evidenci, bude kultivován/krácen jinak (čistě rozpočtová, plošná opatření...?)

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?

Závěr – z roku 2023



- Kvantitativní hodnocení přidané hodnoty terapie (?)

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

- Kvalitativní, měkkí 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

➤ Thresholdy reflektující závažnost onemocnění/ míru inovace, ale bez nutnosti definice v rámci registrace

➤ Proč jen orphans...

➤ Proč jen ATMP

➤ ..definujme především dle „added value“

➤ Otázka valorizace/ úpravy v čase

Zpětná vazba:

Potřeba konkrétních řešení a uchopitelných metodik....

Cíle WG WTP & added value v roce 2024 a dále



...Najít metodické řešení pro tyto již stávající otázky/ výzvy lékové politiky:

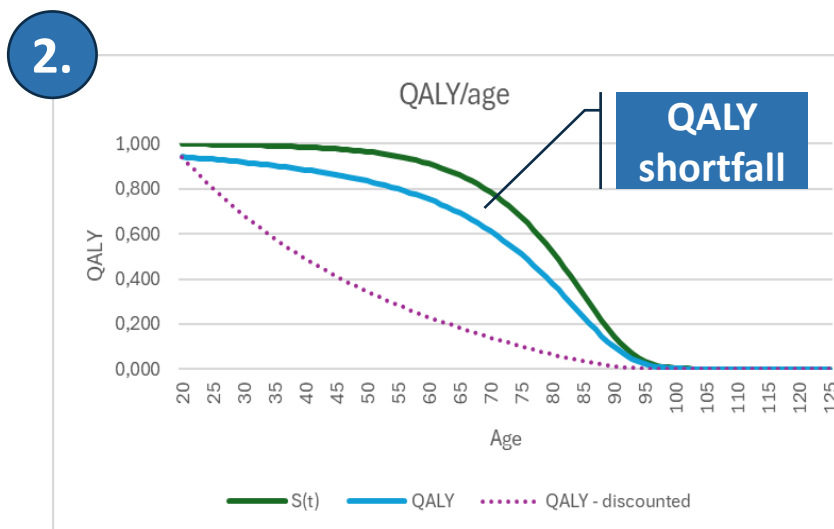
1. Mají skutečně Orphan léky nedefinovanou WTP (výše ICER) pro vstup?
2. Je výše ICER pro 1./2. VILP nezávislá na vstupu VILPu do úhrad?
3. Jak budou vstupovat VILP do úhrad trvalých?

Vytvoření algoritmů k úpravě WTP, kde budou zakotveny principy:

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

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

1. $\Delta \text{QALY} = \text{QALY}_{\text{HI}} - \text{QALY}_{\text{komparátor}}$



Moc díky všem těmto dobrovolníkům!!!



Jméno	Příjmení
Jan	Doležel
Barbora	Decker
Matěj	Bizub
Michaela	Tauchmanová
Filip	Dostál
Robert	Chlád
Klára	Lamblová
Ivana	Kubátová
Monika	Danielisová
Martina	Mazalová
David	Suchánek
Martin	Kolek
Lukáš	Písek
Martina	Krejčíková
Matěj	Bizub

Jméno	Příjmení
Michal	Kostern
Eliška	Šimůnková
Apolena	Koklarová
Martin	Kubeš
Jessica	Vydrová
Kateřina	Chadimová
Aneta	Schimmerová
Tomáš	Mlčoch
Jiří	Klimeš
Milan	Vocelka
Štěpán	Uherek
Tomáš	Doležal
Bálint	Pásztor



DÍKY!

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://farmakoekonomika.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

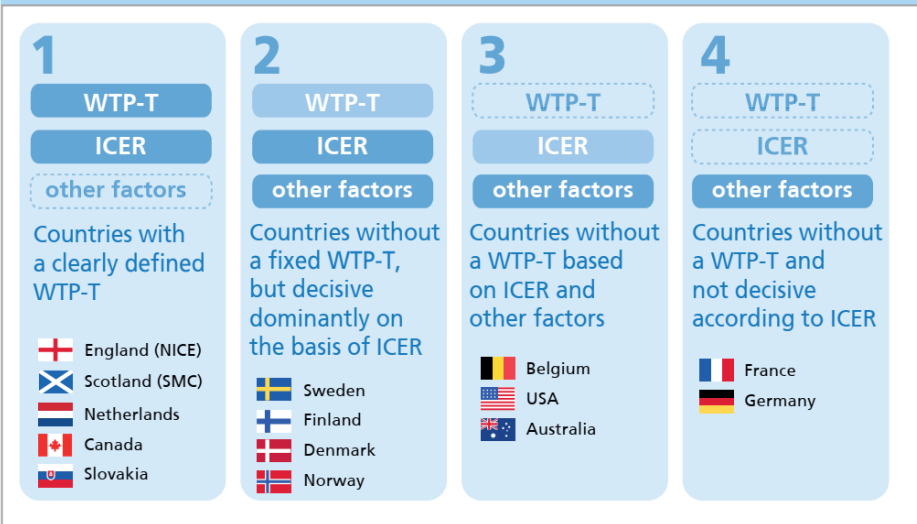
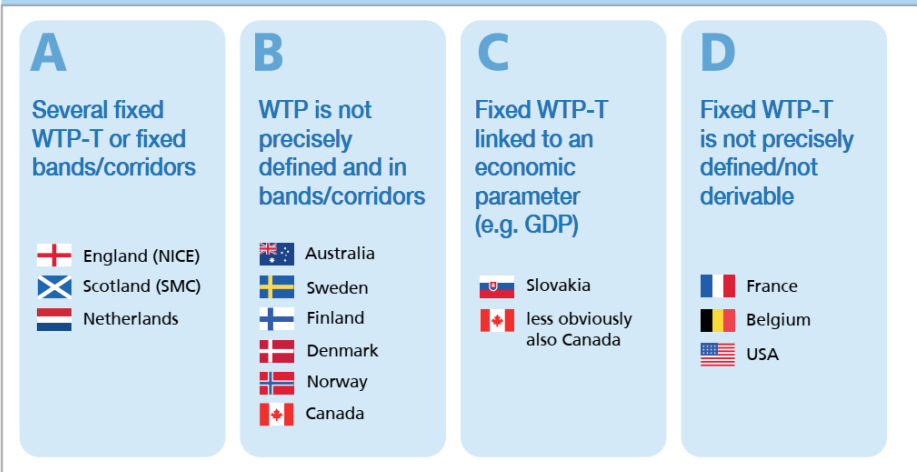


Figure 2. Countries' approaches to WTP-T definition/levels



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>	



ČFES

Update výsledků pracovní skupiny ČFES WTP a added value

Bálint Pásztor

3. prosince 2024

Obsah

1. Cíle pracovní skupiny

2. Statistická analýza sledovaného souboru

3. QALY shortfall

4. Stratifikace WTP a added value dle typu SŘ

5. Závěr a limitace

Poděkování

Jméno	Příjmení
Jan	Doležel
Barbora	Decker
Matěj	Bizub
Michaela	Tauchmanová
Filip	Dostál
Robert	Chlád
Klára	Lamblová
Ivana	Kubátová
Monika	Danielisová
Martina	Mazalová
David	Suchánek
Martin	Kolek
Lukáš	Písek
Martina	Krejčíková

Jméno	Příjmení
Michal	Kostern
Eliška	Šimůnková
Apolena	Koklarová
Martin	Kubeš
Jessica	Vydrová
Kateřina	Chadimová
Aneta	Schimmerová
Tomáš	Mlčoch
Jiří	Klimeš
Milan	Vocelka
Štěpán	Uherek
Tomáš	Doležal
Bálint	Pásztor



1. Cíle pracovní skupiny

ISPOR poster (Kodaň 2023): různé přístupy

Figure 1. Willingness-to-pay threshold countries archetypes

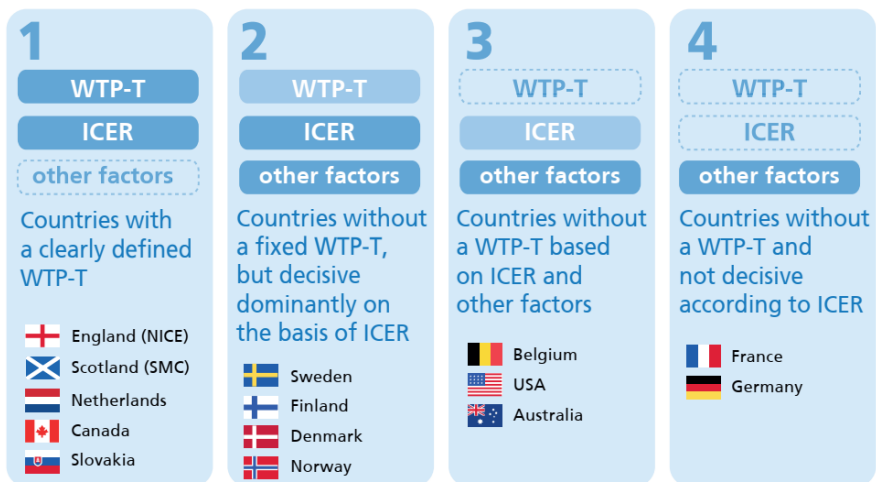
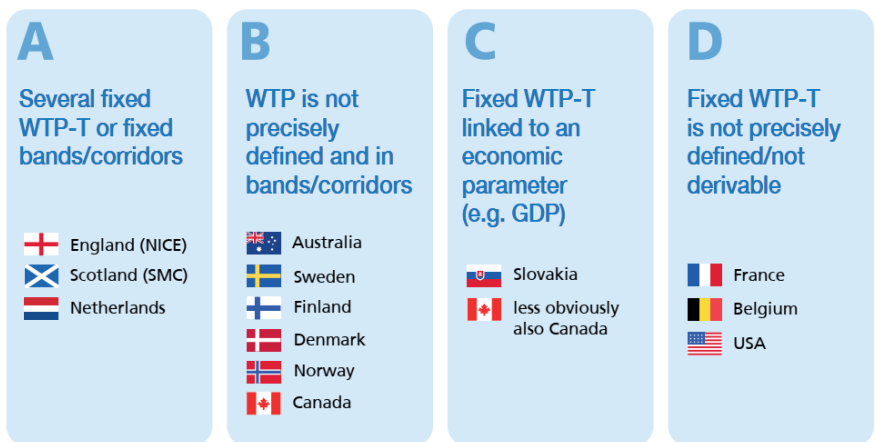


Figure 2. Countries' approaches to WTP-T definition/levels



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

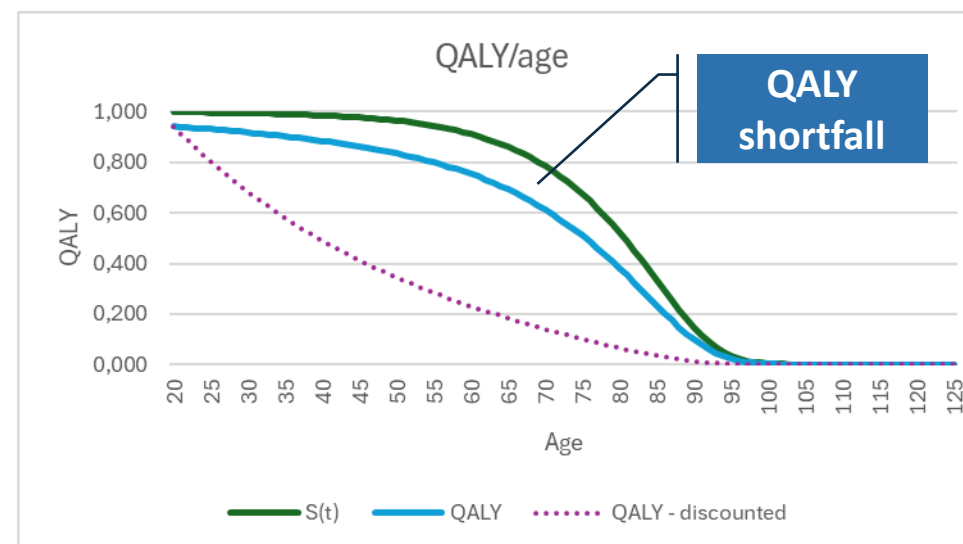
Cíle WG v roce 2024:

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

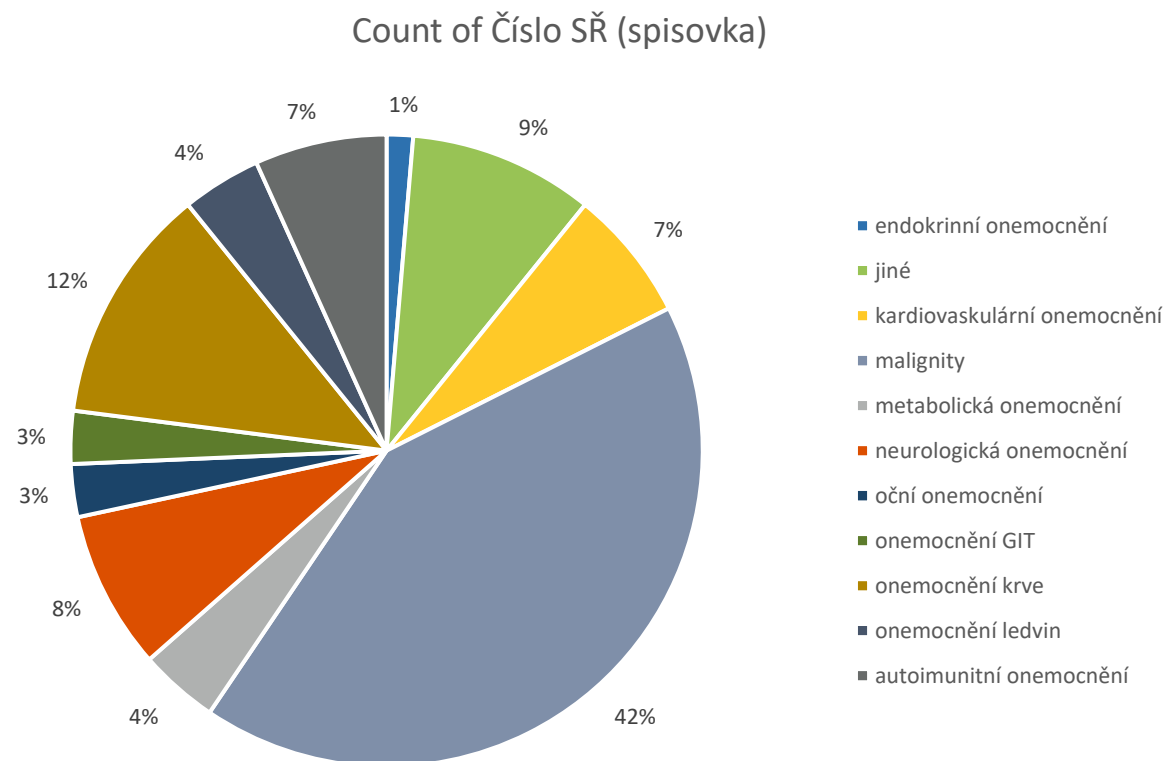
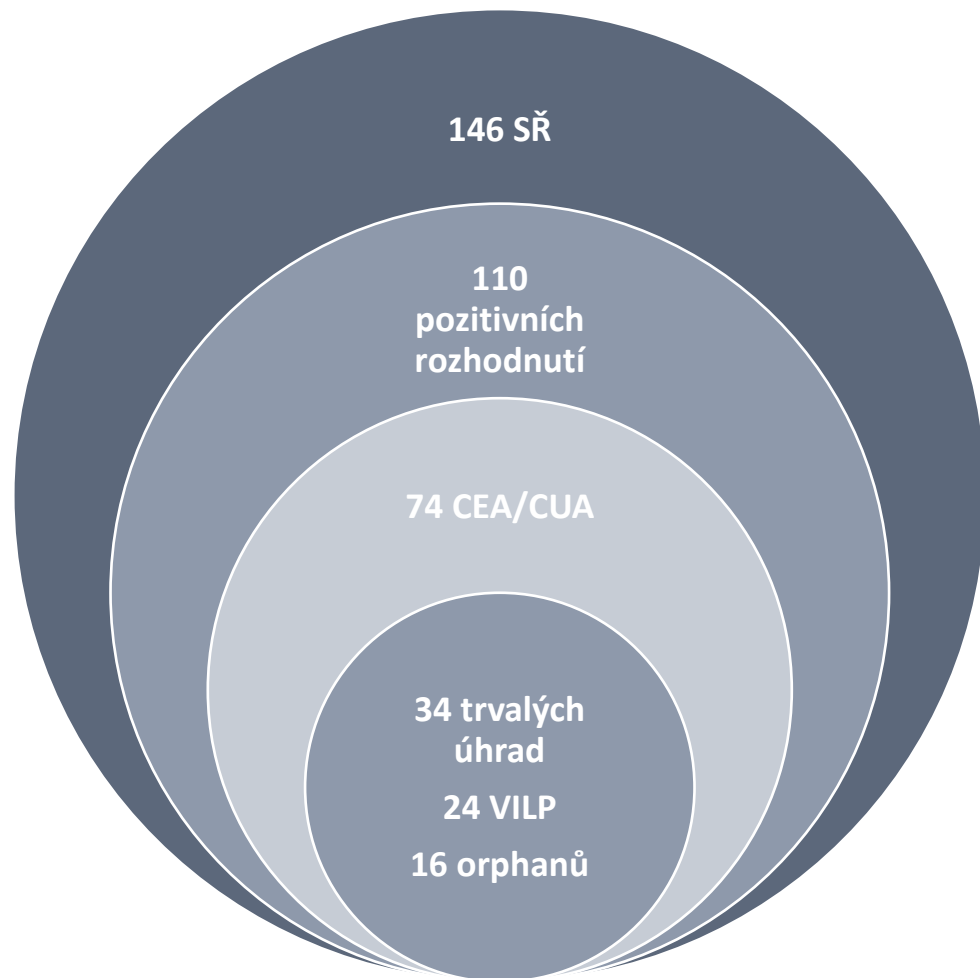
...dle metodik zahraničních a validace na českých předchozích cases/řízeních

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%



2. Statistická analýza sledovaného souboru

Základní charakteristiky souboru



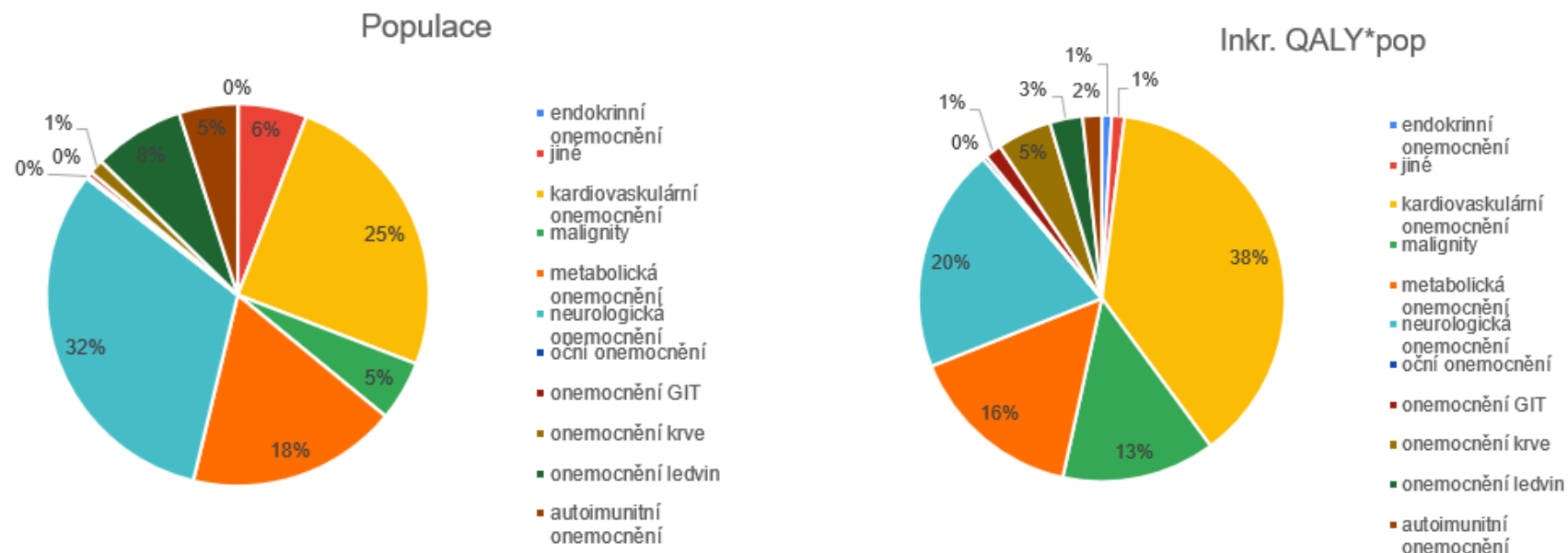
Celkový přínos z pohledu populace

(Terapeutické oblasti s 5 a více SŘ)



	Populace	Inkr. QALY x populace
kardiovaskulární onemocnění	14 608	8 248
malignity	2 965	2 943
neurologická onemocnění	18 531	4 314
onemocnění krve	727	1 051
autoimunitní onemocnění	2 895	367
Grand Total	58 377	21 763

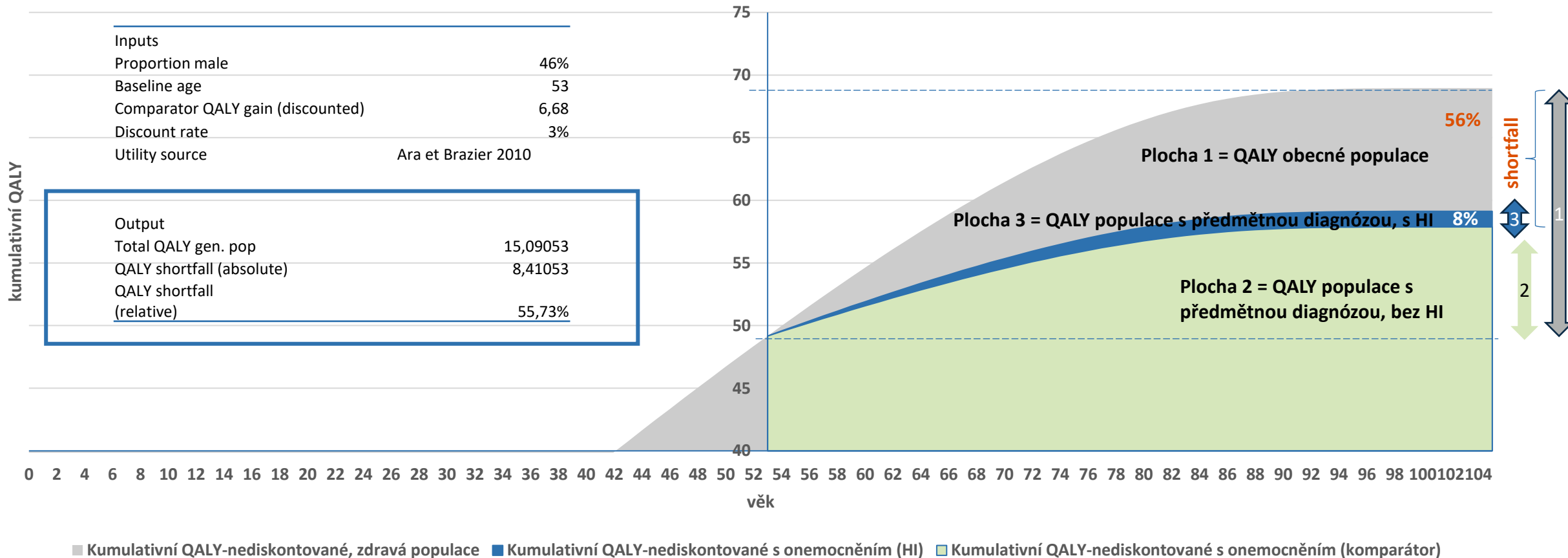
Rozdělení dle terapeutických skupin má omezenou vypovídací hodnotu kvůli nízkým počtům SŘ



3. QALY shortfall

QALY shortfall – ilustrativní příklad

Přínos intervence



NICE

TECHNICAL SUPPORT DOCUMENT 23: A GUIDE TO CALCULATING SEVERITY SHORTFALL FOR NICE EVALUATIONS



REPORT BY THE DECISION SUPPORT UNIT

January 2024

Allan Wailoo,

School of Health and Related Research (SchARR), University of Sheffield, Sheffield,
UK.

<https://www.sheffield.ac.uk/nice-dsu/tsds/severity-shortfall-tsd>

Table 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

4. Stratifikace WTP a added value dle typu SŘ

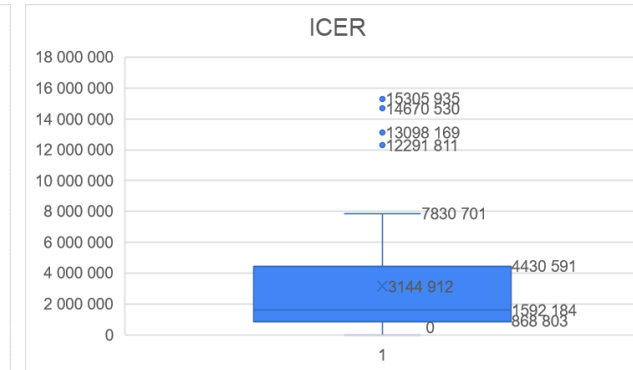
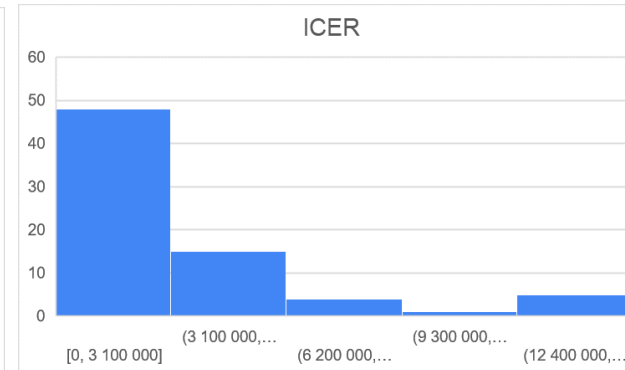
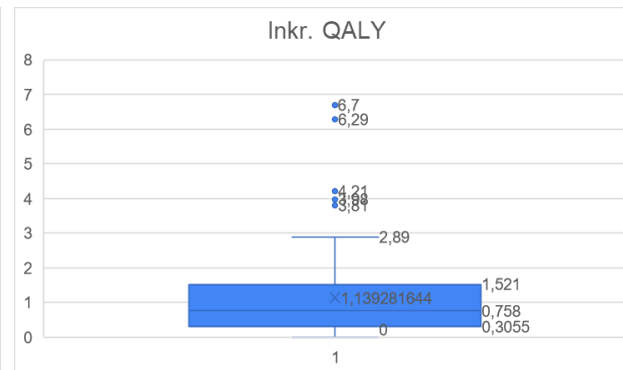
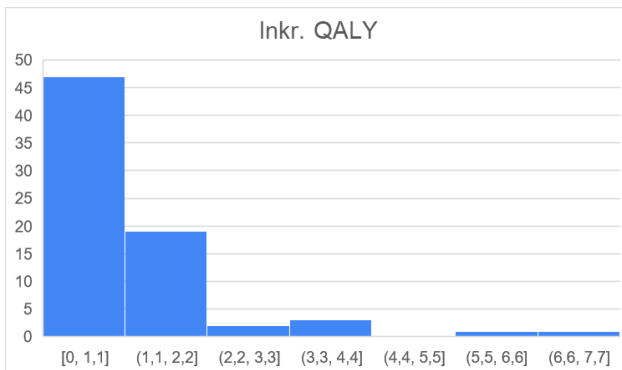
Distribuce sledovaných parametrů dle typu SŘ

(všechna SŘ)



N = 74

Percentil	Průměrný věk	Podíl žen	QALY (disk.): HI	QALY (disk.): komp	Inkr. QALY (disk.; komp)	Celoživotní celkové náklady HI (disk.)	Celoživotní celkové náklady komp. (disk.)	ICER	Total QALY gen. pop	QALY shortfall (abs.)	QALY shortfall (relative)	inkr. QALY /abs QALY shortfall
medián	54	49%	4,72	3,74	0,85	2 959 269	562 294	1 840 595	15,39	8,82	69%	8%
průměr	51	56%	6,88	5,72	1,19	8 934 984	3 624 515	3 426 545	15,60	9,63	62%	14%



celkové ink. QALY: 21 763, ink. QALY / shortfall: 8%, dohoda s plátcí: 81 %

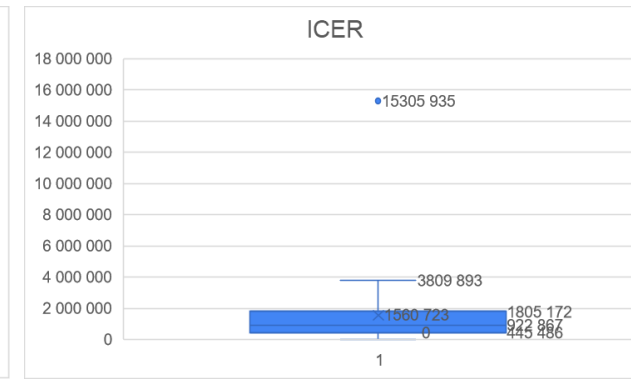
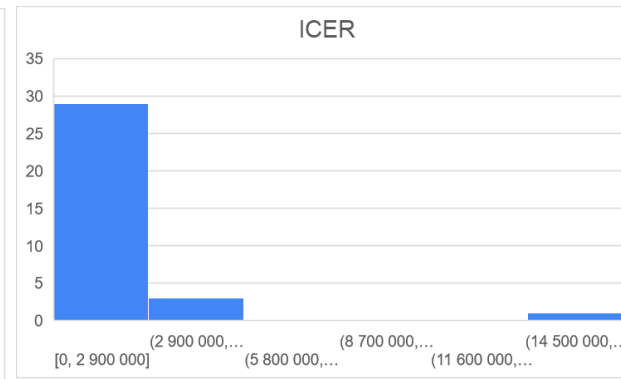
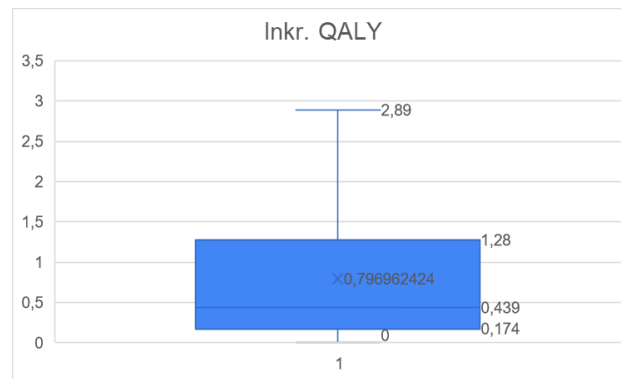
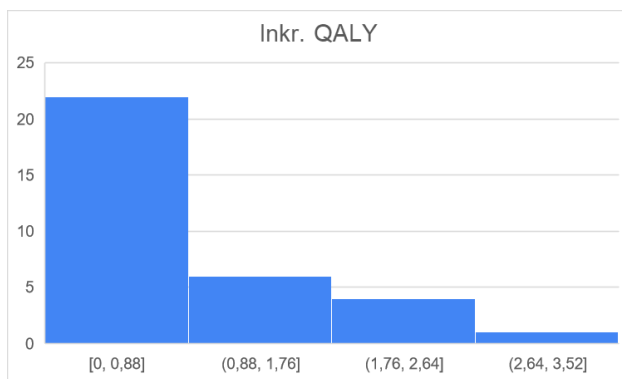
Distribuce sledovaných parametrů dle typu SŘ

(trvalá UHR)



N = 34

	Průměrný věk	Podíl žen	QALY (disk.): HI	QALY (disk.): komp	Inkr. QALY (disk.; komp)	Celoživotní celkové náklady HI (disk.)	Celoživotní celkové náklady komp. (disk.)	ICER	Total QALY gen. pop	QALY shortfall (abs.)	QALY shortfall (relative)	inkr. QALY /abs QALY shortfall
medián	53	47%	8,51	6,03	0,67	3 212 411	1 032 637	925 995	15,18	6,51	47%	7%
průměr	50	51%	7,97	7,16	0,85	3 111 042	1 893 419	1 775 995	15,69	8,35	53%	13%



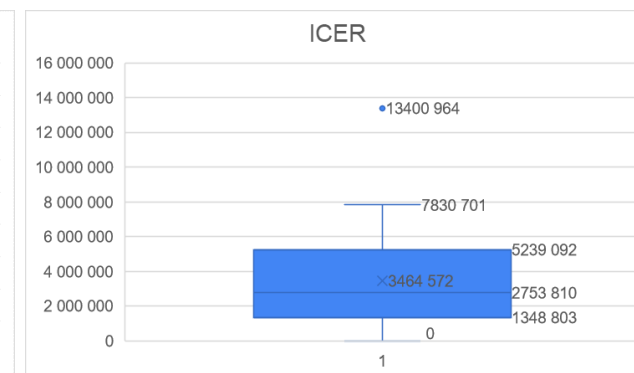
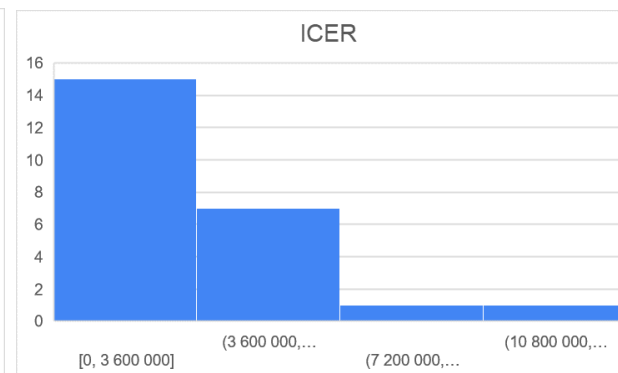
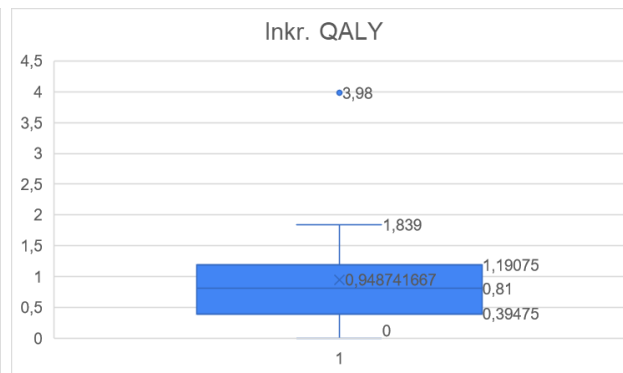
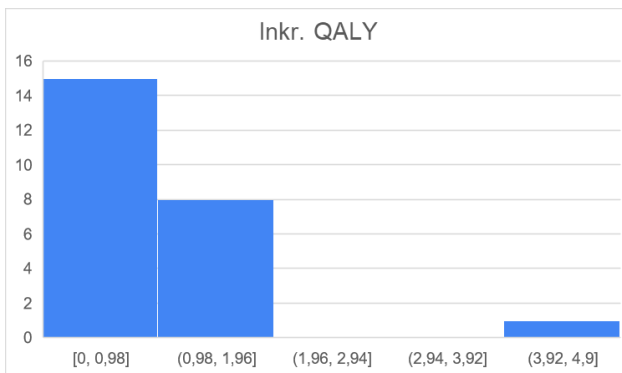
celkové ink. QALY: 15 847, ink. QALY / shortfall: 7%, dohoda s plátcí: 64 %

Distribuce sledovaných parametrů dle typu SŘ (VILP)



N = 24

	Průměrný věk	Podíl žen	QALY (disk.): HI	QALY (disk.): komp	Inkr. QALY (disk.; komp)	Celoživotní celkové náklady HI (disk.)	Celoživotní celkové náklady komp. (disk.)	ICER	Total QALY gen. pop	QALY shortfall (abs.)	QALY shortfall (relative)	inkr. QALY /abs QALY shortfall
medián	61	50%	2,37	1,35	0,88	2 761 626	423 827	2 951 956	12,79	10,70	87%	9%
průměr	58	66%	3,60	2,61	0,99	4 421 668	1 410 101	3 615 206	13,53	10,78	78%	11%



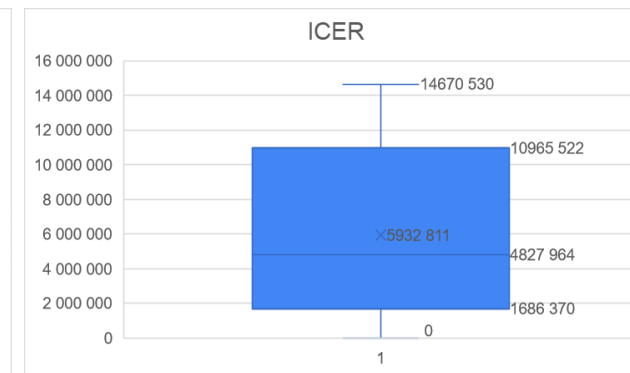
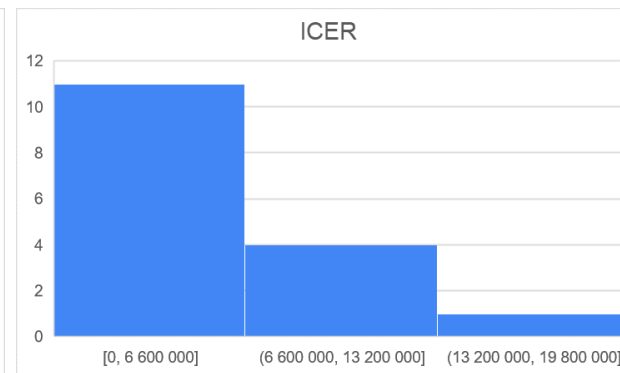
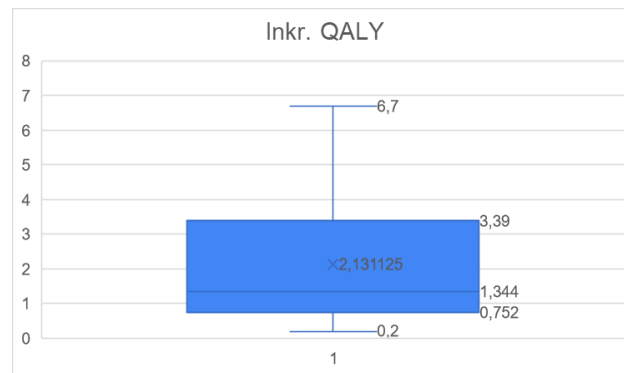
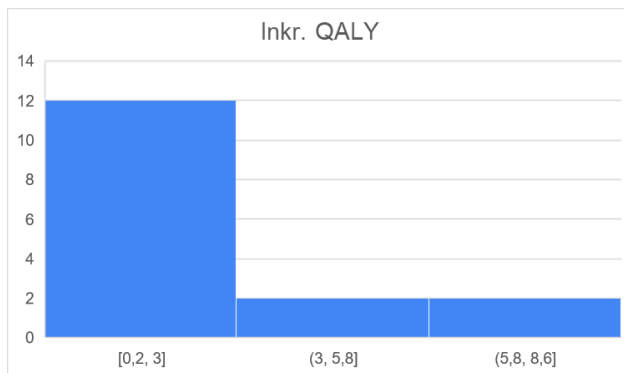
celkové inkř. QALY: 1631, inkř. QALY / shortfall: 9%, dohoda s plátcı: 92 %

Distribuce sledovaných parametrů dle typu SŘ (orphan)



N = 16

	Průměrný věk	Podíl žen	QALY (disk.): HI	QALY (disk.): komp	Inkr. QALY (disk.; komp)	Celoživotní celkové náklady HI (disk.)	Celoživotní celkové náklady komp. (disk.)	ICER	Total QALY gen. pop	QALY shortfall (abs.)	QALY shortfall (relative)	inkr. QALY /abs QALY shortfall
medián	47	49%	5,69	4,79	1,34	9 005 911	484 952	5 085 512	18,68	11,66	67%	19%
průměr	43	49%	9,34	7,21	2,13	25 978 771	9 590 557	6 328 331	18,98	11,04	61%	23%



celkové ink. QALY: 4284, ink. QALY / shortfall: 19% (pozor, změna perspektivy!), dohoda s plátcí: 100 %

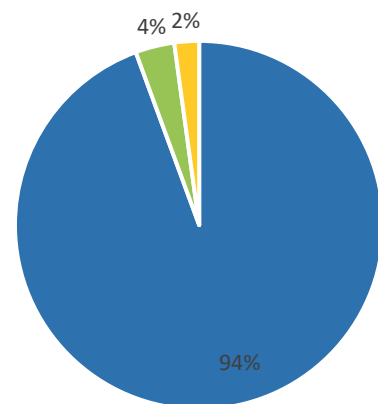
5. Závěr a limitace

Shrnutí



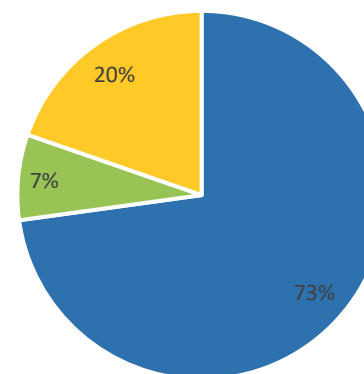
Typ SŘ	Populace	Inkr. QALY x populace
Trvalá UHR	55 111	15 847
VILP	1 998	1 631
Orphan	1 268	4 284
Všechna SŘ	58 377	21 763

Populace



■ Trvalá UHR ■ VILP ■ Orphan

Inkr. QALY x populace



■ Trvalá UHR ■ VILP ■ Orphan

Kde hledat spravedlivý WTP threshold?

medián

Typ SŘ	Medián ICER	Medián QALY gain	Medián rel. QALY shortfall	Medián abs. QALY shortfall	QALY gain / shortfall ratio
Trvalá UHR	925 995	0,67	47%	6,51	7%
VILP	2 951 956	0,88	87%	10,70	9%
Orphan	5 085 512	1,34	67%	11,66	19%
Všechna SŘ	1 840 595	0,85	69%	8,82	8%

průměr

Typ SŘ	Průměrný ICER	Průměrný QALY gain	Průměrný rel. QALY shortfall	Průměrný abs. QALY shortfall	QALY gain / shortfall ratio
Trvalá UHR	1 775 995	0,85	53%	8,35	13%
VILP	3 615 206	0,99	78%	10,78	11%
Orphan	6 328 331	2,13	61%	11,04	23%
Všechna SŘ	3 426 545	1,19	62%	9,63	14%

Limitace

- Definice terapeutických skupin**
 - V některých diagnózách může být zařazení do předem definovaných kategorií nejednoznačné
 - V jednotlivých kategoriích jsou jen jednotky SŘ (někdy dokonce 1) – nelze vyhodnotit
- Více komparátorů**
 - V analýze byl zohledněn nejhorší ICER, ale tento komparátor nemusí představovat většinu předmětné populace
- Dohoda s plátcí**
 - 2/3 trvalých úhrad, 100% §39d a §39da
 - Ve spisové dokumentaci nejsou vidět „jiné“ dohody s plátcí (např. tzv. portfolio deal)
 - Praxe se v čase vyvíjí (zkoumané období 2021-24)
- Odlišná perspektiva u části řízení dle § 39da (bude provedena dodatečná kontrola)**
- Dominantní ICER**
 - Problematické zohlednit v průměrných výsledcích
- Celkový QALY gain je definován na různých časových horizontech**
 - Prezentujeme „imaginární“ číslo: přínos QALY na populaci dle 3. roku BIA, přičemž ale ICER je počítán na různě dlouhých časových horizontech v jednotlivých SŘ, a navíc je diskontovaný
- Nekompletní data**
 - Ne všechno lze dohledat, častým případem je věk a pohlaví nutné pro výpočet QALY shortfall
 - Data se musí vzít z podkladů v SŘ (věk ze studie? Pouze pro aktivní rameno? Co když se jedná o subpopulaci?)
- a další ...**



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



Diskuze...

Děkujeme & těšíme se na spolupráci!

...při kultivaci HTA „prostoru“ a prostředí lékové/ zdravotní politiky...

**Česká společnost pro farmakoekonomiku a hodnocení
zdravotnických technologií**

Václavská 316/12, Praha 2

www.farmakoekonomika.cz

Děkujeme & těšíme se na další diskuze...
Restaurace Tradice, Radlická 806/18, Praha 5

