



Komparátory/PICO a výsledky pracovní skupiny WTP & added value

Pracovní den ČFES

19/05/2025

Program



Čas	Téma	Přednášející
5	Přivítání & úvod	Tomáš Mlčoch (ČFES)
45	Blok: Komparátory	
5	Úvod a rekapitulace z podzimního setkání ČFES	Štěpán Uherek (ČFES)
20	Komparátory z pohledu HTA agentury	Petra Chytilová (SÚKL)
20	Diskuse/Q&A	Všichni
30	Přestávka, diskuse	
45	Blok: výsledky pracovní skupiny WTP a added value	
15	Výsledky WTP a added value: představení interim reportu	Jiří Klimeš (ČFES)
10	Kalkulátor QALY shortfall jako vhodný nástroj pro kvantifikaci nenaplněné potřeby léčby	Tomáš Mlčoch (ČFES)
10	Diskuse/Q&A	Všichni
15	Blok: Různé	
10	Legislativní update („velká“ novela zákona 48/1997) a její implikace	Tomáš Doležal (ČFES)
10	Diskuse/Q&A	Všichni
5	Zakončení/různé:	
18:00-23:00	Večeře, Andělský Pivovar (Lidická 337/30, Praha 5)	

Set-up dnešního pracovního dne

Snažili jsme se vyslyšet zkušenosti z minulých Pracovních dnů

Cílem je Vás dnes „vtáhnout“ více do diskuse a mít větší engagement (workshop-like)

Delší čas přednášek a méně „busy“ program, aby byl prostor pro širší diskusi

Delší pauza mezi jednotlivými bloky, aby se vše mohlo projednat a byl čas i diskuse mezi jednotlivými členy ČFES

Jsme skvělá komunita, tak toho pojďme produktivně využít 😊

Co se událo od podzimní schůze



ISPOR CEE consortium

Odevzdali jsme úspěšně daňové přiznání

Příspěvky evidence k dnešnímu dni: aka **lepší než dříve, ale stále prostor pro růst** 😊 (87/185 = **47%**)

Stabilní počet členů (**185**), ale růst počtu sledujících na LinkedIn (**celkem 478 followerů**)

Intenzivní práce pracovní skupiny WTP & added value, report čítá **28 stran**, extrakce kompletních údajů z neuvěřitelných **73 správních řízení**. Můj odhad je minimálně **300+ hodin práce**

Diskuse a otázky směrem na pracovní skupině také na platformě AIFP



Co nás čeká a (podle stanov) nemine 😊



Abstrakt ISPOR Europe 2025 WTP & added value
(**27.6.2025 deadline**)

Na podzim 2025: **volby budoucího předsedy a výboru ČFES**: přemýšlejte prosím o případných kandidátech a nominacích 😊

Dle voleb z 10/2023 bude novým předsedou **Tomáš Doležal**

Pracovní skupina k aktualizaci „velkých“ doporučených postupů ČFES: po skončení pracovní skupiny WTP & added value (nemáme rádi multitasking 😊)



Blok 1: Komparátory



Definice komparátora v žádostech o úhradu a kontextu PICO v ČR

Shrnutí závěrů zimního semináře

Definice komparátorů v kontextu úhrad LP

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

→ Komparátor dle zákona a metodik = hrazený a obvyklý terapeutický postup

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

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 SÚKL je to možné

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	Ne	Ne	Ano	Zřejmě ano
	VILP*	Ano	Asi ne***	Ano	Ne	Ano	Zřejmě ano
	Orphan**	Ano	Ano				

Stanovisko Ministerstva zdravotnictví k využití LPVO s úhradou dle § 39da jako komparátora v řízení o trvalé úhradě LP

* Dáno rozhodnutím MZ v SŘ Ultomiris

** Dáno závazným stanoviskem MZ v SŘ Spinra

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

🕒 Vytvořeno: 8. 4. 2025

🕒 Poslední aktualizace: 8. 4. 2025

Co není zřejmé?



- **Komparátor hrazený nejasným způsobem**
 - Má být komparátorem?
- **Komparátory v nemocniční péči neprokazují nákladovou efektivitu**
 - Jsou účelnou terapeutickou intervencí?
- **Komparátory bez dat o účinnosti / bezpečnosti**
 - Je to relevantní komparátor, ale srovnání nelze validně provést. Co s tím?
- **Komparátor v SŘ dle §39da byl historicky uhrazen 1 pacientovi na §16**
 - Je to skutečně obvyklý komparátor?
- **Hlavní vs. alternativní komparátor / scénář**
 - Je srovnání s alternativním komparátorem relevantní? Bude posuzováno ve vztahu k WTP?



Komparátory z pohledu HTA agentury

Petra Chytilová

19.05.2025

Komparátor

§ 15 odst. 8 ZoVZP

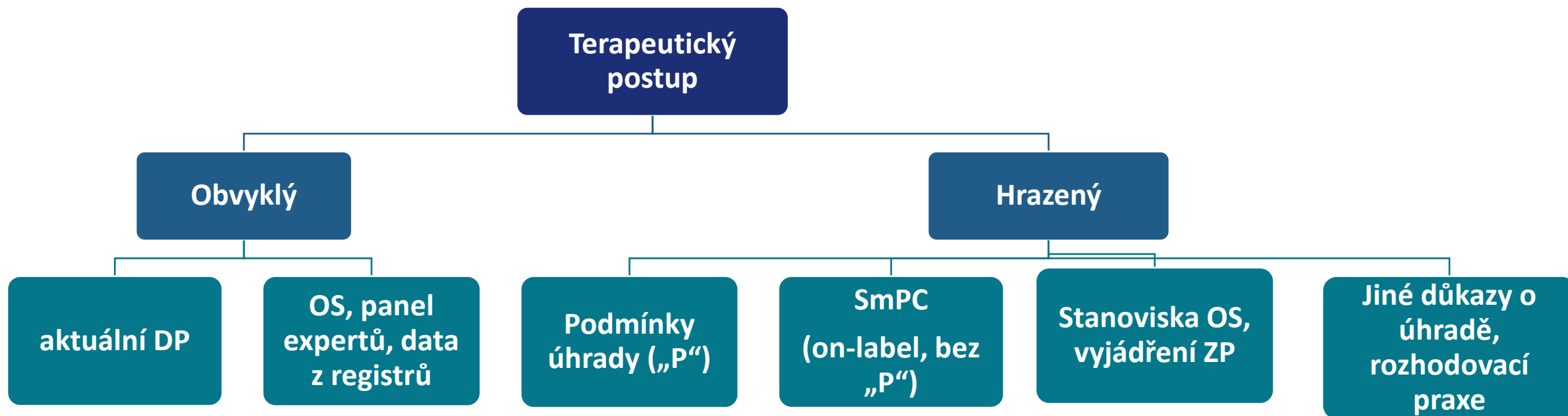
„... nákladová efektivita je hodnocena ve srovnání s takovým **terapeutickým postupem hrazeným** z prostředků zdravotního pojištění, který je **obecně přijímán jako obvyklý**.“

👁 Komparátorem může být kromě léčivého přípravku (HVLP, IPLP) také nefarmakologický postup

- Zdravotnický prostředek
- Chirurgický či jiný výkon (kryoterapie)
- Stav bez léčby (tzv. *best supportive care*)

👁 Metodika SP-CAU-028, SP-CAU-027, pokyn CAU-13

Volba komparátoru



Volba komparátoru (terapeutická účinnost bezpečnost, NEF a BIA)

- ☞ Standardními komparátory **nejsou**
 - LP *off-label* bez uvedení dané indikace v indikačním omezení podmínek úhrady
 - LP hrazen na „§ 16“
 - LP poskytován za hospitalizace
- ☞ Komparátor dle „market share“ – v závislosti na počtu komparátorů a jejich zastoupení, individuální posouzení
- ☞ Může být identifikován i v průběhu správního řízení
- ☞ Pro výběr komparátoru není rozhodující dostupnost robustní evidence pro srovnání
- ☞ „alternativní“ srovnání v „alternativním“ scénáři ANE – není rozhodné pro posouzení nákladové efektivity

Definice účelné terapeutické intervence § 15 odst. 7 ZoVZP

Trvalá UHR – věta druhá §15 odst. 7 ZoVZP

- zdravotní služby poskytované k prevenci nebo léčbě onemocnění za účelem dosažení co nejúčinnější a nejbezpečnější léčby při **ZACHOVÁNÍ NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY**
- LP musí splňovat podmínku zachování **NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY**

LPVO - věta třetí §15 odst. 7 ZoVZP

- zdravotní služby poskytované k prevenci nebo léčbě **vzácného onemocnění** za účelem dosažení co nejúčinnější a nejbezpečnější léčby, pokud farmakoterapeutické ovlivnění tohoto onemocnění má **CELOSPOLEČENSKÝ VÝZNAM** a finanční **DOPAD DO SYSTÉMU ZDRAVOTNÍHO POJIŠTĚNÍ** (dále jen „dopad do rozpočtu“) je v souladu s veřejným zájmem podle § 17 odst. 2.
- LPVO **NEMUSÍ** splňovat podmínku zachování nákladové efektivity

LPVO jako KOMPARÁTOR v řízení o stanovení/změně trvalé úhrady LP

- ☞ Stanovisko Ministerstva zdravotnictví k využití LPVO s úhradou dle § 39da jako komparátoru v řízení o trvalé úhradě LP
- ☞ Splnění podmínky **účelné terapeutické intervence** je jednou za základních podmínek pro stanovení úhrady léčivému přípravku pro určitou indikaci
- ☞ LPVO = LP s UHR stanovenou dle § 39da ZoVZP
- ☞ LPVO **NEMUSÍ** splňovat podmínku zachování nákladové efektivity
- ☞ LPVO **≠ NENÍ** komparátor pro **POSOUZENÍ NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY** HI vstupující do trvalé UHR („jen“ alternativní scénář v ANE)
- ☞ HI má orphan designaci, vstupuje do trvalé úhrady dle § 39g/§ 39i ZoVZP - komparátor pro **posouzení NEF** není LPVO
- ☞ **Při vstupu jakéhokoliv LP do trvalé úhrady § 39g/§ 39i ZoVZP musí být posouzeny náležitosti dle § 39b odst. 2 ZoVZP**, přičemž dle stanoviska MZ v ANE (NEF) nemůže být komparátorem LPVO

LPVO jako KOMPARÁTOR v řízení o stanovení/změně trvalé úhrady LP

KOMPARÁTOR	KOMPARATIVNÍ ÚČINNOST A BEZPEČNOST	NÁKLADOVÁ EFEKTIVITA	DOPAD NA ROZPOČET
LP („neLPVO“), BSC (všechny komparátorové intervence jako u LPVO, vyjma nehrazených)	ANO	ANO základní scénář, rozhodný pro posouzení NEF	ANO základní scénář
LPVO (UHR dle § 39da)	ANO*	ANO pouze jako alternativní scénář, nerozhodný pro posouzení NEF	ANO základní scénář

*HI má alespoň srovnatelný účinek jako LPVO

LPVO jako komparátor v řízeních o stanovení dočasné úhrady LP („VILP“)

KOMPARÁTOR	KRITÉRIA VILP dle §39d odst. 2 ZOVZP	ANALÝZA NÁKLADOVÉ EFEKTIVITY	DOPAD NA ROZPOČET
LP („neLPVO“), BSC	ANO	ANO základní scénář	ANO základní scénář
LPVO (UHR dle § 39da)	ANO*	ANO alternativní scénář	ANO základní scénář

*HI musí oproti LPVO prokázat splnění kritérií VILP dle §39d odst. 2 ZoVZP

Komparátor dle typu SŘ

		Způsob úhrady komparátoru				
		Standardní ÚHR	VILP (§ 39d)	LPVO (§ 39da)	§ 16	další způsob ÚHR
Typ řízení	Standardní ÚHR	ano	ne	ano/ne*	ne	dle důkazů
	VILP (§ 39d)	ano	ne/ano**	ano	ne	dle důkazů
	LPVO (§ 39da)***	ano	ano	ano	ano	ano

*ANO pro posouzení komparativní účinnosti a bezpečnosti, BIA a alternativní scénář ANE, NE pro posouzení nákladové efektivity HI (základní scénář), závazné stanovisko MZ

**NE pro posouzení kritérií VILP, ANO pro BIA (odhad počtu léčených pacientů)

***jakkoliv hrazený postup, pokud je obvyklý (i *off-label*)



Dotazník spokojenosti:



Máte zkušenosti se SÚKL?

Podělte se o ně s námi!

SÚKL se jako každá organizace snaží zlepšovat a rozvíjet poskytované služby.

Budeme proto rádi, když nám dáte zpětnou vazbu vyplněním následujícího dotazníku.

[DOTAZNÍK SPOKOJENOSTI](#)

Předem děkujeme za spolupráci a za čas věnovaný odpovědím.



DĚKUJEME ZA POZORNOST

STÁTNÍ ÚSTAV PRO KONTROLU LÉČIV

Šrobárova 49/48, 100 00 Praha 10

Tel.: +420 272 185 111

e-mail: posta@sukl.gov.cz

sukl.gov.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:



Blok 2: Výsledky pracovní skupiny WTP a added value

Výsledky WTP a added value: představení interim reportu

J. Klimeš

Proč má smysl se o tomto bavit..?

HPR171

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

AUTHORS:

Klímeš J^{1,2}, Mlčoch T^{1,3}, Pásztor B^{1,4}, Tužil J⁵, Bulejová L⁶, Decker B³, Dostál F⁵, Kmínek A⁷, Kolek M¹, Kostern M⁸, Kubešová D⁸, Mazalová M⁹, Michálek G⁸, Novotná K⁸, Petrenko J⁹, Spousta T¹⁰, Stuchlík O⁸, Spoustová Tauchmanová M^{11,12}, Uhrek 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 Králové, Charles University, Hradec Králové, Czech Republic; ¹³Bayer, Czech Republic; ¹⁴Eisai, Czech Republic



Background & Objectives

The willingness-to-pay threshold (WTP-T) is an integral part of the health technology assessment process, where health economic aspects are taken into account. In the Czech Republic, the WTP has been applied since 2008 with new legislation. Since 2011, the WTP-T has been an integral part of medicinal products' appraisal process in Czech Republic, initially set at 3-times GDP/capita/QALY.

Since 2017, the decision-making process has set the WTP-T at fixed value of 1.2 million CZK/QALY (~€50,000/QALY). Currently, this one WTP-T is applied to all medicinal products, except orphan and highly innovative medicinal products at their first temporary reimbursed launch.

The fixed WTP-T (now equivalent to ~1.86x GDP/capita) may not reflect the product's full value and the unmet medical need in a given disease, nor does it take into account the economic growth of the society or inflation.

Methods

A review of international WTP-T practices was conducted to provide a potential basis for future WTP-T cultivation and to apply an equity approach that captures the value of products and unmet needs across all (medicinal) interventions.

The following countries were included. These countries are generally known to have a well-developed HTA system and can therefore serve as inspiration for Czech Republic:

- Anglo-Saxon countries: United Kingdom (NICE), Scotland (SAC), Canada, USA, Australia
- Nordic countries (Denmark, Norway, Sweden, Finland)
- Other selected EU countries of interest (France, Netherlands, Belgium, Slovakia)

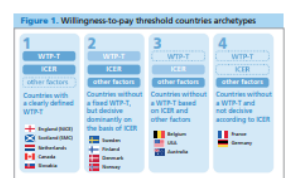
The literature review extraction template (2015-2023) registered with PROSPERO (CRD42023395813) protocol and relevant health-economic guidelines addressed the specific domains:

- 1. Applicability of WTP-T & its impact on the final decision**
 - The number of WTP-T and their levels
 - Increased WTP-T for special types of interventions and/or diseases (rare/orphan diseases, end-of-life treatment, high unmet medical need, absence of comparators, etc.)
 - Advantage/ priority launch for interventions with ICER significantly below the WTP-T
- 2. How and to what should the level of WTP-T be anchored**
 - Related to GDP/capita or other economic index (e.g. wage)
 - Implicitly derived
 - Valorisation of WTP-T over time
- 3. Definition of added value & unmet medical need in relation to WTP-T**
 - Unmet medical need & lack of alternatives
 - Incremental QALY gain
 - Relative clinical benefit & curative potential, life extension
 - Severity of disease condition & impact on quality of life
- 4. Exceptions, where WTP-T is not applicable**
 - Type of intervention, defined by target population size or orphan status
 - Level of net budget impact
- 5. Budget impact results & its impact on final decision/ Innovation launch**

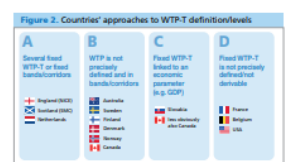
Results

The literature review shows that the use of a fixed WTP-T is a completely unique approach. In the countries studied, there are usually multiple WTP-Ts, reflecting other factors, i.e. the added value of the intervention, the level of innovation, the lack of alternatives (clinical benefit, impact on quality of life, QALY increment), the severity of the disease, the unmet medical need, the uncertainty of clinical data/outcomes, the rarity of the disease & the budget impact results, respectively.

The countries' approaches to WTP-T can be broadly grouped into four categories (Figure 1).



In the United Kingdom, the Netherlands, and Slovakia the level of WTP-T is not defined at one specific value. It varies according to disease severity, unmet need, or defined by QALY (incremental or QALY shortfall: absolute or proportional), see Figure 2.



In general, the lower the ICER, the more favourable reimbursement position and access to interventions has (faster process, or less stringent budget impact requirements).

Countries where valuation of WTP-T is mandatory are Slovakia and Canada, as the level of WTP-T is based on GDP per capita, which reflects both economic growth and price levels (inflation).

For several countries, the level of budget impact (BI) is also used in the decision-making process. These BI levels determine (i) the obligation to submit CEA/CUA analyses (the need to submit CEA/CUA, in case of low BI), or (ii) the need of appraisal within another body (entering the negotiations with health care payers and negotiate the limitation of costs).

It should be noted that the BI levels are always "permeable" in the sense that it is possible to cross them and it is rather an "entry point" to appraisal phase/ negotiations, e.g. in the United Kingdom (NICE), the Netherlands, Norway. Most countries probably operate in this way, but it is not possible to systematically track the specific values of the BI limits, which are very specific and may result from negotiations between payers and manufacturers.

Discussion & recommendations for WTP-T cultivation in the Czech Republic

In the case of efforts to cultivate the Czech WTP-T so that it transparently reflects both the therapy added value & the unmet medical need in a health condition, there are a number of inspiring approaches. We believe that these approaches can maintain the current framework of the ICER/ QALY-based decision-making process:

- 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 (ATMR, 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 incremental/ decrement (absolute, proportional) QALY
- 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
- 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)
- Faster/wider access to patients in case of low ICER vs. WTP threshold**

Conclusion

The future of WTP-T cultivation in the Czech Republic should include:

- Stratification of WTP-T reflecting disease severity, unmet medical need, and intervention added value, defined ideally through QALY (incremental QALY gained, QALY shortfall—absolute and/or proportional) as opposed to qualitative/softer evaluation.** Czech Republic is a country with more than 15 years of QALY-based HTA experience. The QALY approach is well established in the Czech system and could be extended/enriched by other factors taking into account not all technologies or disease areas are the same.
- Valorisation of WTP-T according to economic growth, increased healthcare demand, monetary reasons (inflation).**

- Posuzování přidané hodnoty terapie a nenaplněné potřeby v dané oblasti léčebných možností
- Focus na objektivitu & data driven HTA proces a následné rozhodnutí
- HTA s principy FE (QALY) a WTP-T již od roku 2008/ 2011
- WTP-T ale ve stejné výši od roku 2011
 - Výjimky VILP1,2 & Orphans
 - Jsou tyto případy „bez WTP-T“, nebo spíše je posuzováno dle jiných kritérií
 - Transparentnost / data-driven ...?

...SOUČASNÝ SYSTÉM WTP zdaleka nevyužívá potenciál svých možností k objektivnímu a na datech založeném posouzení

DÍKY!

Klimeš J*, Mlčoch T*, Pásztor B*, Uherek Š*, Vocolka M*, Decker B, Lamblová K, Mazalová M, Danielisová M, Vydrová J, Příbylová L., Písek L, Doležel J, Bizub M, Tauchmanová M, Dostál F, Chlád R, Kubátová I, Suchánek D, Kolek M, Kostern M, Šimůnková E, Koklarová A, Kubeš M, Schimmerová A, Chadimová K.

**Vedoucí jednotlivých bloků, tito autoři přispěli rovným dílem a jsou rovnocennými prvními autory.*

Hranice ochoty platit (Willingness to pay; WTP) u nových intervencí ve vztahu k přidané hodnotě terapie a nenaplněné medicínské a patientské potřebě léčby onemocnění – kvantifikace dle QALY

Interim report ČFES pracovní skupiny a doporučení pro praxi

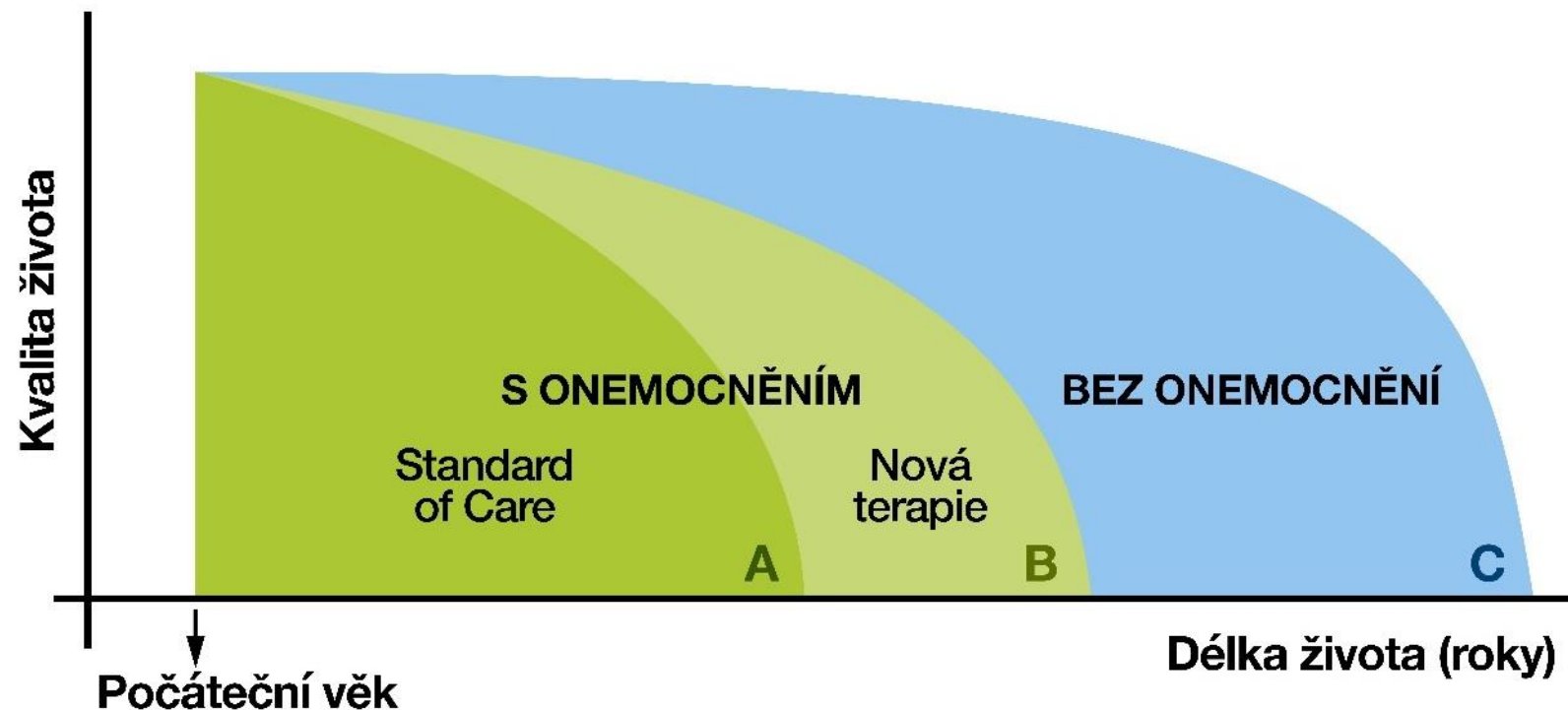
Autoři:

Klimeš J*, Mlčoch T*, Pásztor B*, Uherek Š*, Vocolka M*, Decker B, Lamblová K, Mazalová M, Danielisová M, Vydrová J, Příbylová L., Písek L, Doležel J, Bizub M, Tauchmanová M, Dostál F, Chlád R, Kubátová I, Suchánek D, Kolek M, Kostern M, Šimůnková E, Koklarová A, Kubeš M, Schimmerová A, Chadimová K.

**Vedoucí jednotlivých bloků, tito autoři přispěli rovným dílem a jsou rovnocennými prvními autory.*

- 28 stránek textu
- Vychází z předchozího ČFES výzkumu, rešerše a sladění na principech
- 75 správních řízení analyzováno!

QALY jako základní koncept zdravotně-ekonomického hodnocení



* Tmavě zelené (A): QALY běžné pop, QALY na standardu péče (SoC) (tedy QALY AS); Světle zelené (B): QALY na nové terapii, tedy i Inkrement QALY.

Otázky, na které hledějme všichni společně odpovědi



- 1) Má QALY shortfall přímo vstupovat do kalkulace WTP či vážení QALY?
- 2) Pokud ano, má být na základě QALY shortfall: 1. upravena WTP nebo 2. váženy získané QALY?
- 3) Jaký způsob vyjádření QALY shortfall je preferován?
 - Absolutní QALY shortfall;
 - Proporcionální QALY shortfall;
 - Kombinace AS a PS;
 - Poměr $\Delta QALY/AS$.
- 4) Kolik hladin WTP (alternativně vah QALY) je vhodné na základě QALY shortfall zavést?
 - Více „diskrétních“ hladin WTP;
 - Spojité škálování WTP;
 - Vyčlenění skupiny nejzávažnějších onemocnění, která by podléhala odlišným nárokům.
- 5) Je vhodné koncept aplikovat plošně nebo pouze na vybrané typy žádostí o úhradu/technologií?
- 6) Je možné takto popsány benefit terapie dále „bonifikovat“ v celkovém posouzení/ rozhodnutí, včetně BI?



Díky a těšíme se na diskuzi! 😊

Kalkulátor QALY shortfall jako vhodný nástroj pro kvantifikaci nenaplněné potřeby léčby

T. Mlčoch

ČR patří mezi vyspělé země se systémem používajícím QALY

ČR je v mezinárodním srovnání etablovanou „HTA zemí“ s použitím QALY jako parametru přínosu v rámci analýz nákladové efektivity

QALY, tak jako jakýkoliv jiný koncept, má přirozeně své výhody (např. porovnání napříč „vším“, kvalita života a prodloužení současně) i nevýhody (limity EQ-5D, srovnání intervencí, penalizace „starší“ pacientů)

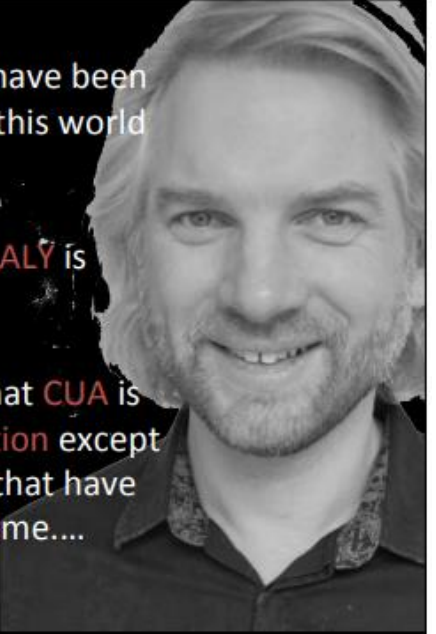
Některé diagnózy méně příznivé výsledky per QALY: např. terapie na konci života (onkologie) nebo vzácná onemocnění



Many forms of Government have been tried, and will be tried in this world of sin and woe.

No one pretends that democracy is perfect or all-wise.

Indeed it has been said that democracy is the worst form of Government except for all those other forms that have been tried from time to time....



Many forms of **outcome** have been tried, and will be tried in this world of sin and woe.

No one pretends that a **QALY** is perfect or all-wise.

Indeed it has been said that **CUA** is the worst form of **evaluation** except for all those other forms that have been tried from time to time....

Co je to QALY shortfall?

QALY shortfall = ztráta QALY s daným onemocněním oproti běžné populaci bez daného onemocnění

Vždy porovnáváme **současnou situaci**, tzn. dnešní standard léčby (komparátor), **nikoliv inovaci/hodnocenou intervenci (!!!)**

Pro odhad QALY shortfall jsou logicky potřeba tyto údaje:

1) QALY běžné populace

- Úmrtnostní tabulky, podíl muži/ženy, diskontní míra, utility běžné populace

2) QALY daného onemocnění léčené současným standardem léčby v klinické praxi

- Kompletní analýza nákladové efektivity

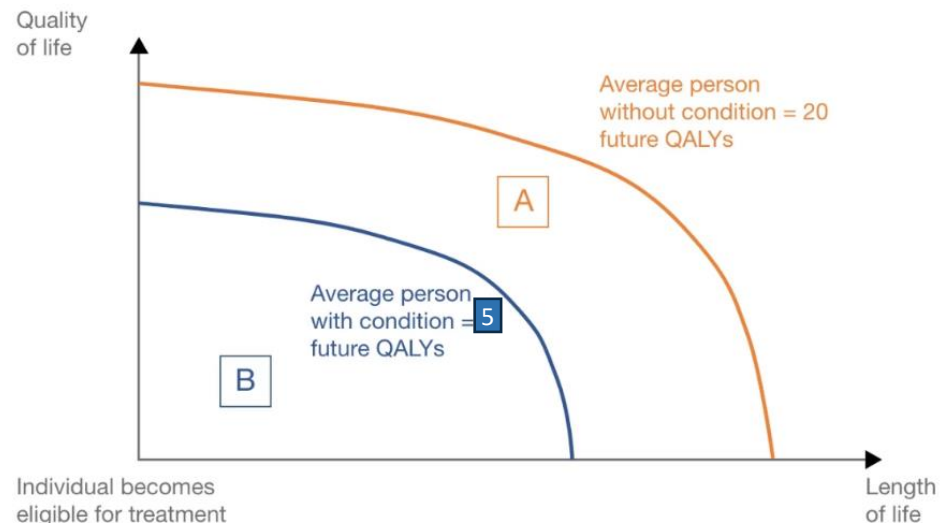
3) Nastavení, které umožní jejich společné porovnání (viz dále v ppt)

Absolutní vs. proporcionální QALY shortfall

Absolutní QALY shortfall: představuje ztrátu počtu budoucích QALYs spojenou s životem s podkladovým onemocněním při dostupnosti dnešního standardu léčby (komparátora) oproti počtu budoucích QALYs bez daného onemocnění.

Proporcionální QALY shortfall: vyjadřuje podíl budoucích QALYs, které jsou ztraceny v důsledku onemocnění ve srovnání s obecnou populací.

Figure 1. Graphical representation of a hypothetical disease



Absolutní QALY shortfall = $\text{budoucí QALYs bez onemocnění} - \text{budoucí QALYs s onemocněním}$

Proporcionální QALY shortfall = $\frac{\text{ztráta QALY způsobená onemocněním (AS)}}{\text{očekávaný počet budoucích QALYs bez onemocnění}}$

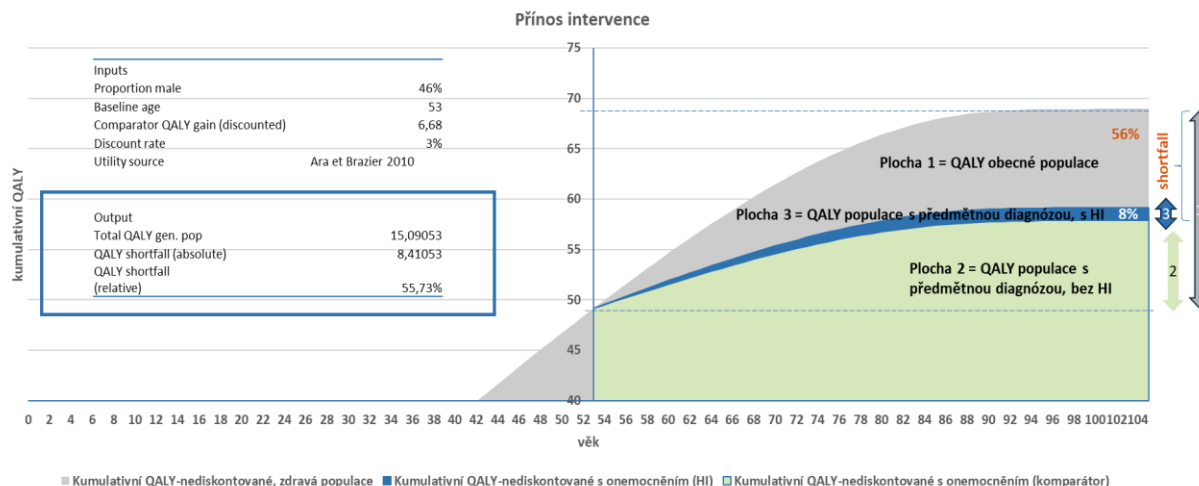
$$AS = 20 - 5 = 15 \text{ QALY} \quad PS = \frac{15}{20} = 0,75 = 75 \%$$

Nové technologie: inkrement QALY vs. standard a absolutní QALY shortfall



Na základě diskusí v rámci pracovní skupiny vznikl nápad, jak ocenit novou inovaci a to s pomocí všech známých informací, podílem inkrementu QALY a absolutního QALY shortfall (tzv. „**Bálintova konstanta**“)

Poměr $\Delta\text{QALY}/\text{AS}$ značí o kolik nová technologie „narovnáva“ QALY shortfall směrem k běžné populaci: *nabývá hodnoty 0 a 1, kdy 0 znamená žádný efekt léčby a 1 znamená úplné vyléčení pacientů a zisk QALY jako u kohorty bez daného onemocnění.*



Absolutní vs. proporcionální QALY shortfall: rozdíly k zamyšlení



Není QALY jako QALY v kontextu věku

A není inkrement QALY jako inkrement QALY v kontextu absolutního QALY shortfall

Na druhou stranu platí, že 1 QALY je stále 1 QALY, ale záleží „komu a kdy je generované“

Tabulka 1 Příklady výpočtu AS, PS a Δ QALY/AS dle věkových skupin

	Mladí	Střední	Starší
Podíl žen	50 %	50 %	50 %
Počáteční věk	15 let	40 let	75 let
Diskontní míra	<u>0%</u>	<u>0%</u>	<u>0%</u>
Utility: Ara a Brazier			
Získané populační QALY	55.20 QALY	32.57 QALY	7.77 QALY
QALY s daným onemocněním*	27.60 QALY	8.14 QALY	1.94 QALY
Absolutní QALY shortfall	41.40	24.43 QALY	5.83 QALY
Proporcionální QALY shortfall	0.75	0.75	0.75
Inkrement QALY nové technologie**	5 QALY	5 QALY	5 QALY
Poměr ΔQALY/AS	0.121	0.205	0.857

*Pro ilustraci je cíleně tato hodnota 75 % zisku populačního QALY (tj. o 25 % nižší), a to u všech kohort stejně.

** Cíleně je zde uvedena hodnota 5 QALY u všech terapií stejně, abychom ilustrovali odlišné hodnoty poměru Δ QALY/AS.

Kalkulátor QALY shortfall na webu ČFES

Kalkulátor QALY byl vyvěšen na webu ČFES: každý si ho může vyzkoušet použít

<https://farmakoekonomika.cz/hranice-ochoty-platit-wtp-ve-vztahu-k-pridane-hodnote-terapie-added-value-2025/>

Bude aktualizován o:

- 1) Možnost bez diskontace
- 2) Možnost bez korekce poloviny cyklu (half-cycle korekce)
- 3) Nejnovější úmrtnostní tabulky ČSÚ

Inputs

Proportion male50%

Baseline age30

Comparator QALY gain (discounted)5

Discount rate3%

Utility sourceAra et Brazier 2010

*min baseline věk u Ara? 40? U Sullivana pod 10 let předpokladem, to : *nutno zaokrouhlit?

*half-cycle corrected

*ideálně stejný zdroj jako v CUA

Output

Total QALY gen. pop22.61964

QALY shortfall (absolute)17.61964

QALY shortfall (relative)77.90%

Year of analysis

Age

Prob of death - male

Prob of death - female

Prob of death

S(t)

QoL Ara et Brazier

QoL Sullivan

QALY/year

Half-cycle corrected
QALY/year - discounte

QALY/year - discounted

0

30

0.00086

0.00032

0.00059

0.999

0.924

0.879

0.924

0.924

1

31

0.00092

0.00035

0.00064

0.999

0.922

0.879

0.920

0.923

2

32

0.00100

0.00038

0.00069

0.998

0.919

0.879

0.917

0.923

3

33

0.00107

0.00042

0.00075

0.997

0.917

0.879

0.914

0.923

Jak je vypočten QALY shortfall?

- 1) Populační QALY
- 2) QALY s daným onemocněním dle současného standardu léčby
- 3) Jejich rozdíl = absolutní QALY shortfall, jejich podíl = proporcionální shortfall

Tabulka 1 Ukázka vlivu změny parametrů na výsledky QALY shortfall

	Věk (let)	Podíl mužů	Diskontní míra	Očekávaný zisk QALY		QALY shortfall	
				s onemocněním	bez onemocnění	absolute	proportional
1	30	<u>50%</u>	<u>3%</u>	5,0	22,6	17,6	<u>77,9%</u>
2	50	<u>50%</u>	<u>3%</u>	5,0	16,2	11,2	<u>69,1%</u>
3	70	<u>50%</u>	<u>3%</u>	5,0	8,4	3,4	<u>40,8%</u>
4	30	<u>25%</u>	<u>3%</u>	5,0	22,8	17,8	<u>78,1%</u>
5	50	<u>25%</u>	<u>3%</u>	5,0	16,5	11,5	<u>69,7%</u>
6	70	<u>25%</u>	<u>3%</u>	5,0	8,8	3,8	<u>42,9%</u>

K může být QALY shortfall užitečný? Jak ho využít?

Koncept QALY shortfall a jeho praktické využití v úhradovém řízení



Kvantifikace nenaplněné potřeby léčby a závažnosti onemocnění

V rámci žádosti o úhradu se dle §39b, odst 2), písm b) zákona 48/1997 hodnotí také:
závažnost onemocnění, k jejímuž léčení je určen

§39d, odst 2) zákona 48/1997 Sb.:

„Léčivý přípravek určený pro léčbu vysoce závažného onemocnění, kterým se rozumí onemocnění vyžadující trvalou nebo dlouhodobou hospitalizaci, onemocnění vedoucí k častým opakovaným hospitalizacím po dobu několika let nebo k invaliditě, onemocnění, které má za následek trvalé závažné poškození zdraví, úplnou nebo téměř úplnou ztrátu zraku, sluchu, řeči nebo pohybu, nebo onemocnění, které zkracuje předpokládanou délku života více než o 20 %.“

Popis závažného onemocnění dle Strukturovaného podání, kapitola F-1:

„popis závažnosti vzácného onemocnění a splnění podmínky vysoce závažného onemocnění, popis nenaplněné medicínské potřeby“.

Praktická kalkulace v rámci správního řízení

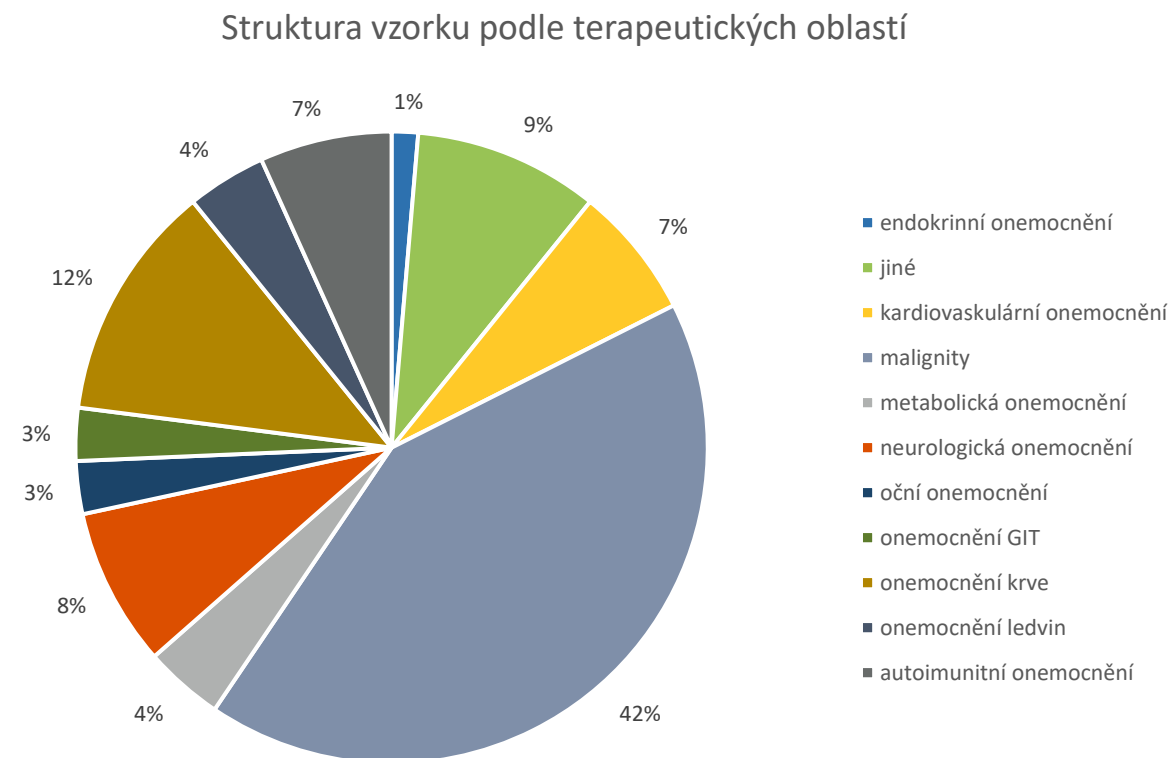
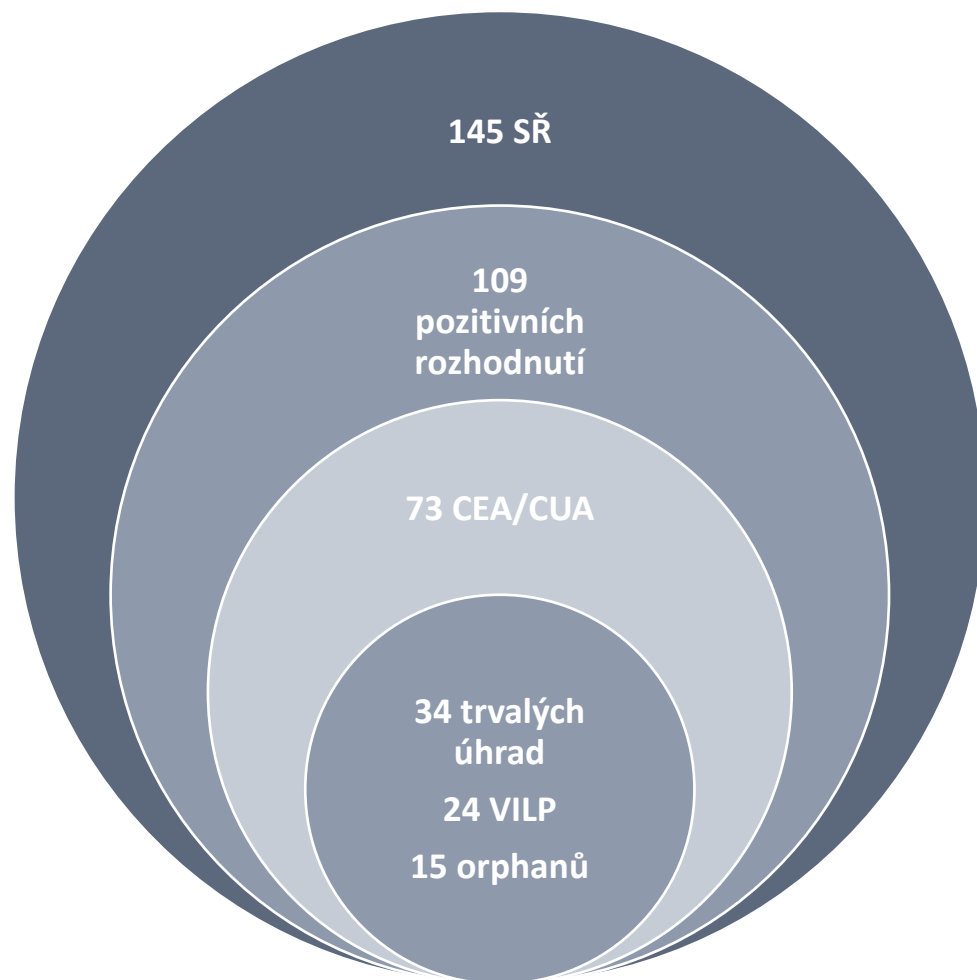
AKA to všechno spočítat a zvládneme to vůbec???



Jednou z výhod QALY shortfall je to, že dnes již disponujeme kompletně všemi údaji pro to, abychom jej mohli spočítat. **Proto jsme níže připravili 8 bodů/otázek, které je třeba si zodpovědět při kalkulaci QALY shortfalls:**

- 1) QALY shortfall je vždy **kalkulovaný u současně používané léčby (Standardní terapie terapie)/ komparátoru**
- 2) Použití **stejně diskontní míry** pro QALY ve farmakoekonomickém modelu a kalkulátoru QALY shortfall (alternativně nulové diskontní míry)
- 3) Použití zisku QALY **pouze pro pacienty**, v případě kalkulace dopadu onemocnění s ohledem na širší kontext pak i se zahrnutím utility pečovatелů
- 4) Pokud existuje **více komparátorů**, je nutné vypočítat **AS/PS/ Δ QALY pro každý z nich**
- 5) Použití **stejného zdroje a roku úmrtnostních tabulek** ve farmakoekonomickém modelu a kalkulátoru QALY shortfall
- 6) Použití **stejného zdroje utilit běžné populace** ve farmakoekonomickém modelu a kalkulátoru QALY shortfall
- 7) V situaci, kdy není použit celoživotní časový horizont (tj. >99% pacientů ve farmakoekonomickém modelu zemřelo), je nutné použití **adekvátní extrapolaci farmakoekonomického modelu na celoživotní časový horizont**, a to s použitím náležitých předpokladů a odpovídající diskuse
- 8) **Dostupnost standardizovaného kalkulátoru** QALY shortfalls pro účastníky procesu

Základní charakteristiky souboru



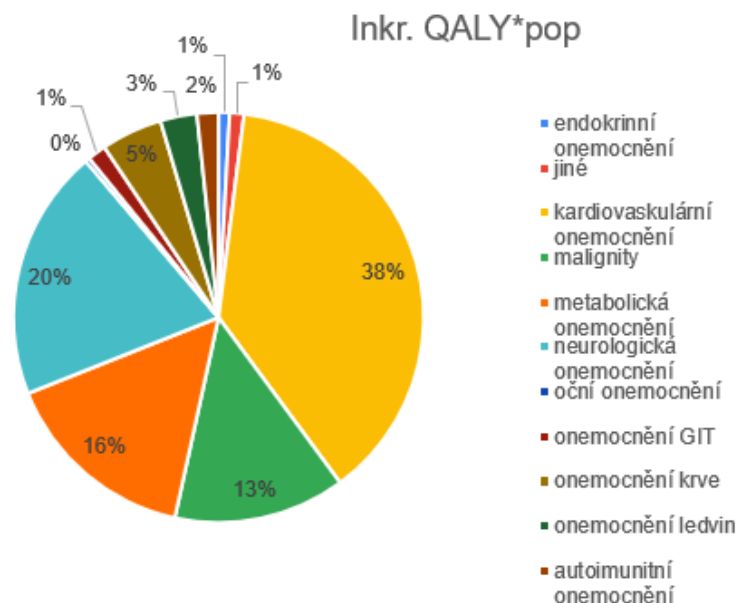
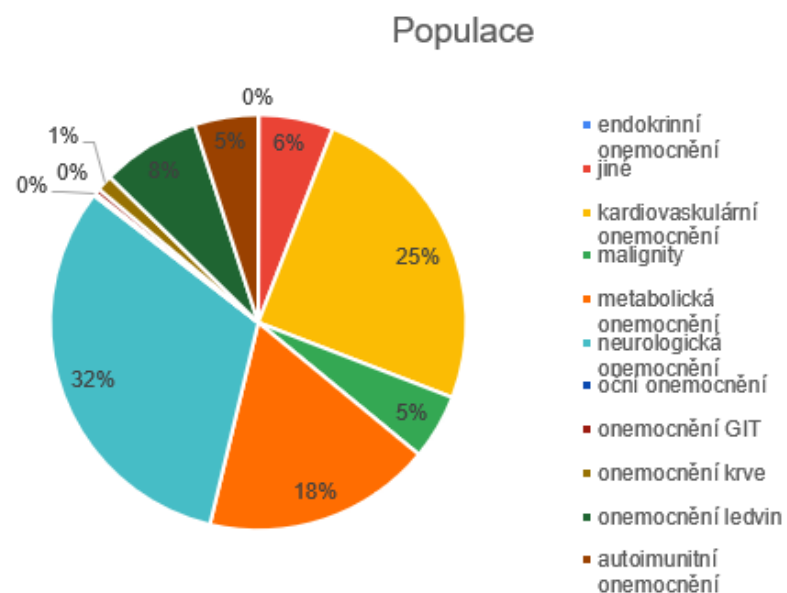
Celkový přínos z pohledu populace

(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



Celkové výsledky pro všechna SŘ (N=74)

Parametr	Průměr	Medián
Věk	50	54
Podíl žen	55 %	49 %
Diskontované celkové QALY – HI	6,79	4,89
Diskontované celkové QALY – komparátor	5,65	3,79
Inkrementální QALY (diskontované)	1,17	0,83
Diskontované celkové náklady – HI	8 917 500	2 965 021
Diskontované celkové náklady – komparátor	3 677 841	589 770
ICER	3 827 500	1 805 172
% hodnot ukazatele ICER pod 1,2 mil. Kč	37 %	
% hodnot ukazatele ICER pod 2,4 mil. Kč	58 %	
% hodnot ukazatele ICER pod 3,6 mil. Kč	70 %	
Čistý dopad na rozpočet v roce 3 (Kč)	141 407 237	99 757 499
Počet pacientů léčených HI v roce 3	800	104
% SŘ s důkazem o dohodě s plátcí	80 %	

Parametr	Průměr	Medián
Věk	50	54
Podíl žen	55 %	49 %
Diskontované celkové QALY – komparátor	5,65	3,79
Celkové diskontované QALY obecné populace	15,87	15,39
Absolutní QALY shortfall	10,01	8,89
Relativní QALY shortfall	63 %	71 %
Inkrementální QALY HI / absolutní QALY shortfall	14 %	9 %



Výsledky pro trvalou úhradu (N=34)

Parametr	Průměr	Medián
Věk	50	53
Podíl žen	51 %	47 %
Diskontované celkové QALY – HI	7,97	8,51
Diskontované celkové QALY – komparátor	7,16	6,03
Inkrementální QALY (diskontované)	0,85	0,67
Diskontované celkové náklady – HI	3 111 042	3 212 411
Diskontované celkové náklady – komparátor	1 893 419	1 032 637
ICER	1 775 995	925 995
% hodnot ukazatele ICER pod 1,2 mil. Kč	68 %	
% hodnot ukazatele ICER pod 2,4 mil. Kč	82 %	
% hodnot ukazatele ICER pod 3,6 mil. Kč	91 %	
Čistý dopad na rozpočet v roce 3 (Kč)	154 851 887	66 416 040
Počet pacientů léčených HI v roce 3	1 621	253
% SŘ s důkazem o dohodě s plátcí	64 %	

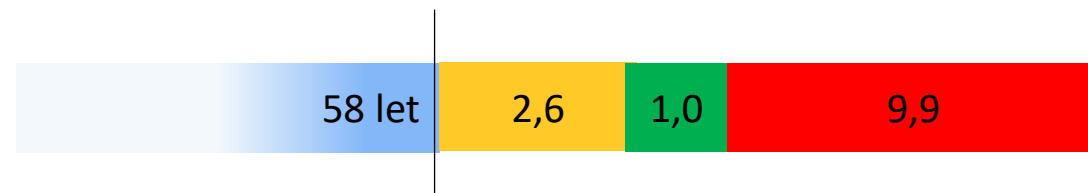
Parametr	Průměr	Medián
Věk	50	53
Podíl žen	51 %	47 %
Diskontované celkové QALY – komparátor	7,16	6,03
Celkové diskontované QALY obecné populace	15,69	15,18
Absolutní QALY shortfall	8,35	6,51
Relativní QALY shortfall	53 %	47 %
Inkrementální QALY HI / absolutní QALY shortfall	13 %	7 %



Výsledky pro VILP (N=24)

Parametr	Průměr	Medián
Věk	58	61
Podíl žen	66 %	50 %
Diskontované celkové QALY – HI	3,60	2,37
Diskontované celkové QALY – komparátor	2,61	1,35
Inkrementální QALY (diskontované)	0,99	0,88
Diskontované celkové náklady – HI	4 421 668	2 761 626
Diskontované celkové náklady – komparátor	1 410 101	423 826
ICER	3 615 206	2 951 956
% hodnot ukazatele ICER pod 1,2 mil. Kč	8 %	
% hodnot ukazatele ICER pod 2,4 mil. Kč	42 %	
% hodnot ukazatele ICER pod 3,6 mil. Kč	58 %	
Čistý dopad na rozpočet v roce 3 (Kč)	159 193 186	153 293 571
Počet pacientů léčených HI v roce 3	83	72
% SŘ s důkazem o dohodě s plátcí	92 %	

Parametr	Průměr	Medián
Věk	58	61
Podíl žen	66 %	50 %
Diskontované celkové QALY – komparátor	2,61	1,35
Celkové diskontované QALY obecné populace	13,53	12,79
Absolutní QALY shortfall	10,78	10,70
Relativní QALY shortfall	78 %	87 %
Inkrementální QALY HI / absolutní QALY shortfall	11 %	9 %



Výsledky pro LPVO (N=15)

Parametr	Průměr	Medián
Věk	38	46
Podíl žen	49 %	49 %
Diskontované celkové QALY – HI	9,08	5,56
Diskontované celkové QALY – komparátor	6,97	5,01
Inkrementální QALY (diskontované)	2,10	1,13
Diskontované celkové náklady – HI	27 036 927	7 905 402
Diskontované celkové náklady – komparátor	10 215 818	534 298
ICER	8 425 818	4 827 964
% hodnot ukazatele ICER pod 1,2 mil. Kč	13 %	
% hodnot ukazatele ICER pod 2,4 mil. Kč	27 %	
% hodnot ukazatele ICER pod 3,6 mil. Kč	40 %	
Čistý dopad na rozpočet v roce 3 (Kč)	83 371 489	53 201 935
Počet pacientů léčených HI v roce 3	84	50
% SŘ s důkazem o dohodě s plátcí	100 %	

Parametr	Průměr	Medián
Věk	38	46
Podíl žen	49 %	49 %
Diskontované celkové QALY – komparátor	6,97	5,01
Celkové diskontované QALY obecné populace	19,55	19,52
Absolutní QALY shortfall	12,52	12,51
Relativní QALY shortfall	64 %	73 %
Inkrementální QALY HI / absolutní QALY shortfall	20 %	15 %



Shrnutí



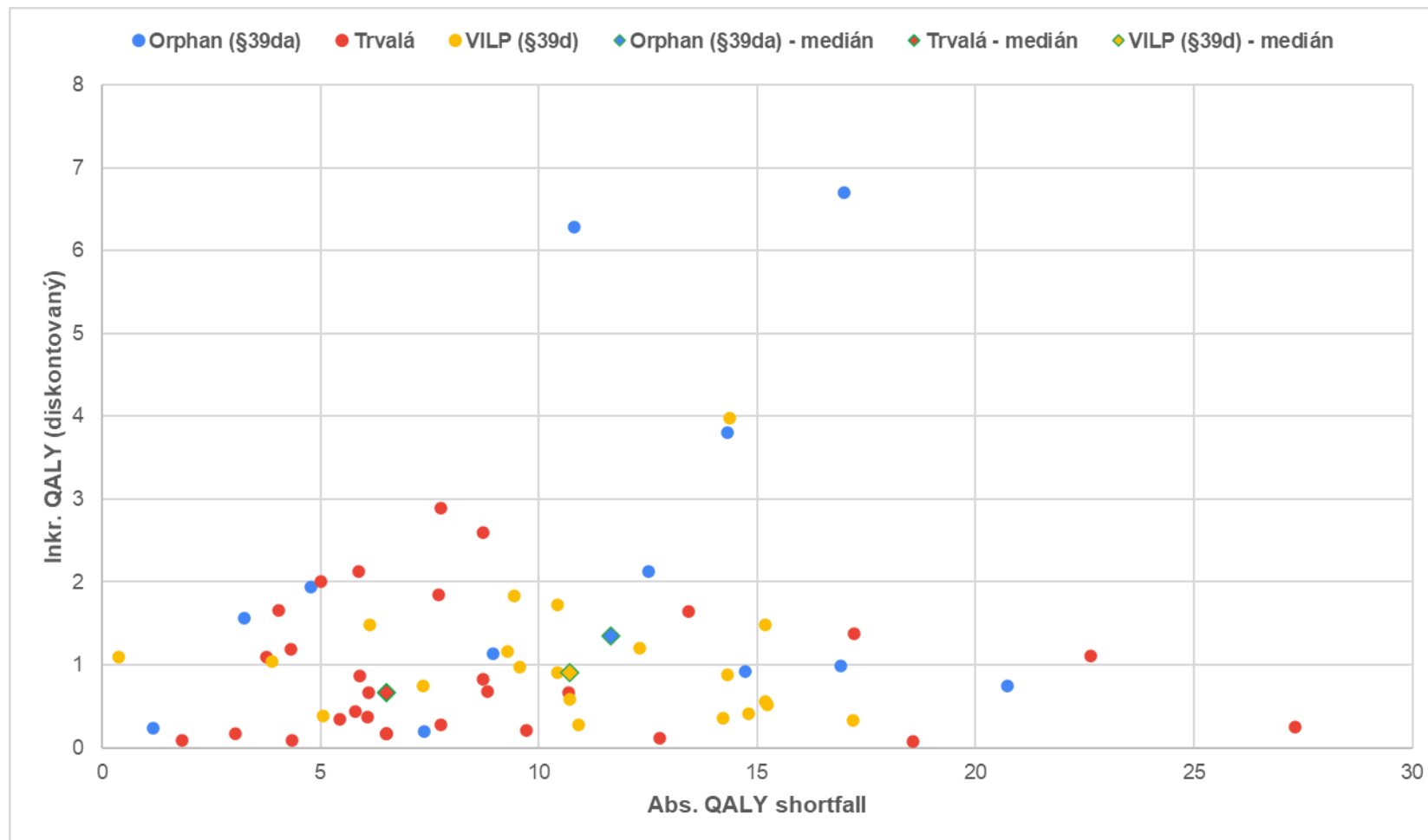
medián

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	4 827 964	1,13	73%	12,51	15%
Všechna SŘ	1 805 172	0,83	71%	8,89	9%

průměr

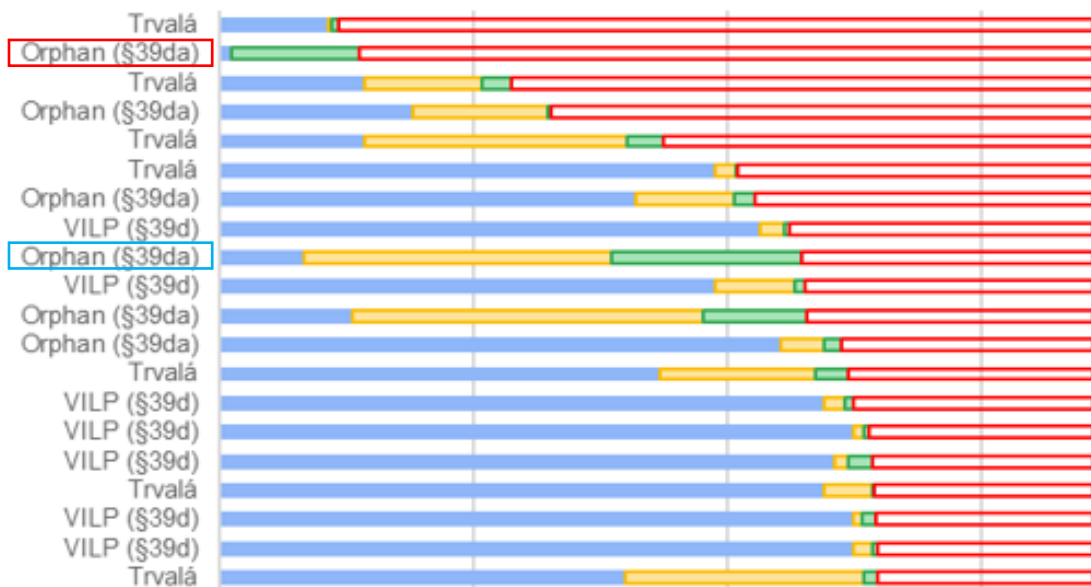
Typ SŘ	Průměrný ICER	Průměrný QALY gain	Průměrný rel. QALY shortfall	Průměrný abs. QALY shortfall	QALY gain / shortfall ratio
Trvalá UHR	1 775 995	0,85	53%	8,35	13%
VILP	3 615 206	0,99	78%	10,78	11%
Orphan	8 425 818	2,10	64%	12,52	20%
Všechna SŘ	3 827 500	1,17	63%	10,02	14%

Vztah QALY shortfall x inkr. QALY?

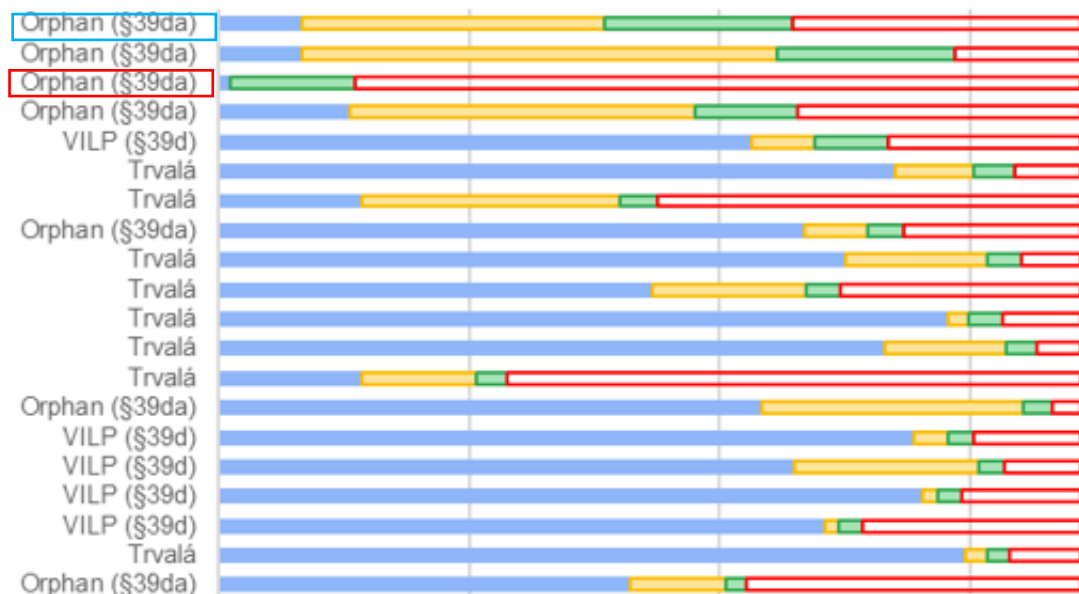


Kompozitní skóre QALY shortfall + inkr. QALY?

SŘ seřazená dle QALY shortfall (sestupně)



SŘ seřazená dle přínosu QALY hodnocené intervence (sestupně)



SŘ A: QALY shortfall 98 % všech celoživotních QALY, inkr. QALY / shortfall = 15 %, skóre = 14,7

SŘ B: QALY shortfall 45 % všech celoživotních QALY, inkr. QALY / shortfall = 27 %, skóre = 12,1

Blok 3: Různé



**Value
Outcomes**

an IQVIA business

Co přináší novela 48/1997 pro HTA komunitu?

Tomáš Doležal

19. května 2025

Praha

Přehled HTA významných změn

- HTA na nepovinné vakcíny
- HTA přes SUKL u vybraných (ZP) „nemocničních LP“ – moderní terapie
- HTA (snad) začíná pronikat do posuzování zdravotních výkonů
- Upravená kritéria VILP
- Předkládání FE modelů SUKLu
- Nemožnost cesty z VILP do orfan

LP za hospitalizace (ATMPs)

§17

- (6) Zdravotní pojišťovna **může s poskytovatelem lůžkové péče sjednat způsob vykazování a úhrady léčivých přípravků použitých při poskytování lůžkové péče, u kterých sjednala výši a podmínky úhrady s držitelem rozhodnutí o registraci nebo s výrobcem.**
- Pro účely sjednání výše a podmínek úhrady podle věty první s držitelem rozhodnutí o registraci léčivého přípravku, který **lze použít pouze při poskytování lůžkové péče, provede Ústav na základě žádosti zdravotní pojišťovny nebo držitele rozhodnutí o registraci zhodnocení přínosů a nákladů spojených s použitím takového léčivého přípravku.**
- **Držitel rozhodnutí o registraci, zdravotní pojišťovny a příslušná odborná společnost podle § 17b odst. 1 poskytují Ústavu součinnost.**
- Jedná-li se o **léčivý přípravek s podmíněčnou registrací** podle nařízení Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 726/2004(76), je součástí smlouvy podle věty první **písemný závazek držitele rozhodnutí o registraci uhradit zdravotním pojišťovnám v případě zániku, uplynutí nebo zrušení podmíněčné registrace náklady vynaložené na úhradu tohoto léčivého přípravku v příslušné indikaci u jejích pojištěnců;** za zánik nebo uplynutí podmíněčné registrace se nepovažuje její nahrazení standardní registrací léčivého přípravku podle nařízení Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 726/2004(76).

§17b - výkony

- (2) Součástí návrhu podle odstavce 1 musí být **návrh registračního listu, který obsahuje alespoň název výkonu s bodovou hodnotou, zdůvodnění návrhu, popis výkonu s bodovou hodnotou, pravidla pro jeho vykazování a podklady pro výpočet jeho bodové hodnoty.**
- **Součástí návrhu zařazení nebo změny výkonu s bodovou hodnotou podle odstavce 1 je vždy analýza ekonomických dopadů návrhu, kvalitativní a kvantitativní vymezení cílové populace nebo předpokládaný počet výkonů v čase.**
- Při návrhu na zařazení nového výkonu s bodovou hodnotou je součástí registračního listu rovněž porovnání s prokázaným léčebným přínosem existujících postupů ve stejné nebo podobné indikaci, je-li takové porovnání možné, jinak posouzení účinnosti výkonu s bodovou hodnotou.
- Vzor návrhu registračního listu a pokyny pro jeho vyplnění zveřejní Ministerstvo zdravotnictví na svých internetových stránkách.

§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 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,
 - **Analýza nákladové efektivity, včetně poměru inkrementálních nákladů a přínosů (ICER), se zohledněním prahových hodnot odpovídajících závažnosti onemocnění a celospolečenskému dopadu.**
- 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.

Kritéria VILP v § 39d odst. 2 písm. a)

(...) 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 došlo současně k prodloužení střední doby přežití bez progresu nejméně o 3 měsíce, nebo**

Důvodová zpráva:

V praxi správní orgány pozorují diskrepanci u léčivých přípravků určených pro onkologické pacienty, u nichž je speciální poměrně **přísná úprava pro parametr celkového přežívání (overall survival)**, a chybí kritéria pro podstatně častější parametr přežívání bez progresu (PFS). Navíc důkazy o prodloužení života, tj. parametrem celkového přežívání ani VILPy (ale obecně ani jiné léčivé přípravky typicky velmi časně registrované EMA) obvykle bohužel vůbec nedisponují. Ve výjimečných případech tak **do systému může, za stávající úpravy, projít onkologický léčivý přípravek bez vlivu na přežívání a s nominálně minimálním vlivem na přežívání bez progresu – což však nelze považovat za významnou inovaci** a takový přípravek by neměl profitovat z postupu dle §39d.

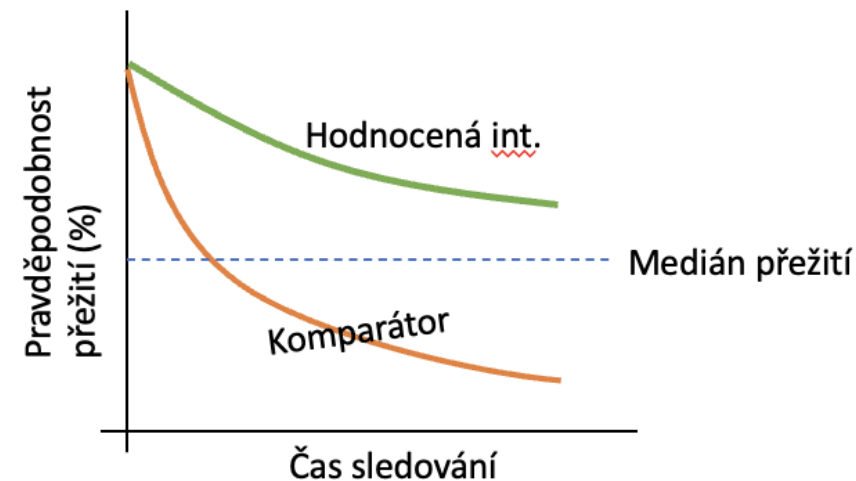
Proto je rozšířen požadavek významného nominálního benefitu právě i na parametr přežívání bez progresu. Je to zhruba v souladu s doporučeními ESMO, kdy pouze takové léčivé přípravky, které prokazují určitý benefit v parametru PFS, dostávají nejvyšší stupeň klinického doporučení.

Kritéria VILP v § 39d odst. 2 písm. b)

(...) 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**

Odůvodnění:

- Nejsou zohledněny situace, kdy není dosažen medián OS, což je paradoxně známky vysoké účinnosti



Kritéria VILP v § 39d odst. 2 písm. c) - **NOVÉ**

(...) c) se jedná o **přípravek s podmíněnou registrací** podle přímo použitelného předpisu Evropské unie a Rady (ES) č. 726/2004, kterým se stanovují postupy Unie pro registraci humánních léčivých přípravků a dozor nad nimi a kterým se zřizuje Evropská agentura pro léčivé přípravky, **pokud nemá jinou alternativu se stanovenou trvalou nebo dočasnou úhradou z prostředků veřejného zdravotního pojištění nebo je tato alternativa léčbou podpůrnou nebo symptomatickou, mimo léčbu podpůrnou nebo symptomatickou**, a **současně se v žádosti držitel pro případ zániku, uplynutí nebo zrušení podmíněčné registrace písemně zaváže uhradit zdravotním pojišťovnám náklady vynaložené na úhradu** vysoce inovativního léčivého přípravku v příslušné indikaci u jejích pojištěnců **po dobu platnosti rozhodnutí o stanovení dočasné úhrady podle tohoto ustanovení**; v případě zániku, uplynutí nebo zrušení podmíněčné registrace léčivému přípravku, dochází ke dni jejího zániku, uplynutí nebo zrušení **současně i k zániku dočasné úhrady a pro doléčení pojištěnce se použije odstavec 7; za zánik nebo uplynutí podmíněčné registrace se nepovažuje její nahrazení standardní registrací léčivého přípravku** podle nařízení Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 726/2004, kterým se stanovují postupy Unie pro registraci humánních léčivých přípravků a dozor nad nimi a kterým se zřizuje Evropská agentura pro léčivé přípravky.

Důvodová zpráva:

Dále je vhodné rozšířit možnosti pro označení léčivého přípravku jako vysoce inovativního o třetí kritérium, které by umožnilo vstoupit do systému léčivým přípravkům s podmíněnou registrací (udělenou např. na základě unmet medical needs) a k nimž v systému úhrad neexistuje hrazená alternativa v podobě příčinné léčby. Podmínkou pro vstup takového vysoce inovativního léčivého přípravku do systému úhrad bude pro případ neprodloužení podmíněčné registrace uzavřít smlouvu, v níž se držitel rozhodnutí o registraci zaváže uhradit zdravotním pojišťovnám náklady vynaložené na jeho úhradu v příslušné indikaci.

Předkládání FE modelů – 39f

(6) K žádosti žadatel přiloží

c) pokud byly pro některou z analýz uvedených v písm. b) použity farmakoekonomické modely, přiloží žadatel i tyto modely vždy v podobě umožňující zobrazit a upravovat všechny parametry, vzorce a zdrojový kód, které se podílejí na správném fungování modelu

(11)Za předmět obchodních tajemství nelze označit

f) výsledky dostupných klinických hodnocení s uvedením dávek, s nimiž byly studie prováděny, farmakoekonomických hodnocení, zejména analýzy nákladové efektivity a analýzy dopadu podle odstavce 6,

- De facto se jedná o jedinou možnost ověření FE analýz, zejména CEA
- V některých případech může urychlit hodnocení a minimalizovat výzvy
- Největší riziko je nastavení nerealistických scénářů – „worst worst case“

ANO, ale:

- Přístup by měla mít jen HTA agentura (podobné v SK/NIHO)
- Ve spisu by se měly zdokumentovat všechny změny nastavení HE modelu

Předkládání FE modelů – obchodní tajemství

(12)

(...) **Modely** podle odstavce 6 písm. c), pokud budou v souladu s tímto zákonem označeny jako obchodní tajemství, mohou být známy pouze orgánům v souladu s § 39n odst. 7.

DZ: V případě označení částí jiných podání, jako jsou smlouvy dle § 39f odst. 12, za obchodní tajemství není jednoznačné, komu může být obchodní tajemství známo, tedy kdo může do podání označeného jako obchodní tajemství nahlížet. Je potřeba odstranit odkaz na odstavec 11 ve znění odstavce 12 tak, aby bylo zřejmé, že zdravotní pojišťovny jsou oprávněny, např. v případě doručené analýzy dopadu do rozpočtu aktualizované držitelem rozhodnutí o registraci na základě dohody se zdravotní pojišťovnou o slevě, nahlížet do takového podání.

Návrh pak posiluje ochranu farmakoeconomických modelů jako obchodního tajemství tím, že mohou být známy jen správním orgánům, soudům a orgánům činným v trestním řízení.

Nemožnost přechodu VILP -> orphan

Nově nesmí následovat LPVO po VILP úhradě pro **stejnou indikaci**

Tyto možnosti **byly po novele od 1.1.2022 umožněny** a celá řada přípravků vstoupila z VILPu do orphanu, nicméně dle **nedávného výkladu SÚKL/MZČR (LP Xospata) již toto není možné ani podle stávající legislativní úpravy**

(1) Je-li to ve veřejném zájmu podle § 17 odst. 2 a nebyla-li pro stejnou indikaci stanovena dočasná úhrada nebo není-li podána pro stejnou indikaci žádost o stanovení dočasné úhrady podle § 39d ani žádost o stanovení výše a podmínek úhrady v řízení podle § 39g, Ústav rozhodne o výši a podmínkách úhrady léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění. Za léčivý přípravek určený k léčbě vzácného onemocnění se považuje léčivý přípravek, který byl je v okamžiku vydání rozhodnutí o stanovení podmínek a výše úhrady stanoven jako takový podle přímo použitelného předpisu Evropské unie o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění⁽⁶⁴⁾; v dalších řízeních se u indikace hrazené podle § 39da již splnění této podmínky neposuzuje. Řízení lze samostatně vést také ohledně léčivého přípravku určeného k léčbě vzácného onemocnění, u kterého je pro jinou indikaci vedeno současně řízení o stanovení, změně nebo zrušení maximální ceny nebo výše a podmínek úhrady, nebo hloubková nebo zkrácená revize.

Value Outcomes s.r.o.

Václavská 316/12, Praha 2

+420 724 166 747

info@valueoutcomes.cz