



Investujeme chytře do inovativních léků? Aneb hodnota za peníze po Česku

Pracovní den ČFES

25/05/2026

Program

Investujeme chytře do inovativních léků? Aneb hodnota za peníze po Česku



ČESKÁ SPOLEČNOST PRO FARMAKOEKONOMIKU A HODNOCENÍ ZDRAVOTNICKÝCH TECHNOLOGIÍ

Termín: 25. 5. 2026; 15:30 – 18:00

Místo: NODE5, Radlická 180/50, 150 00 Praha 5-Smíchov

Čas	Téma	Přednášející
'5	Přivítání & úvod	Tomáš Doležal
'30	Jak lépe vytěžit výsledky farmakoeconomických analýz? Výstupy pracovní skupiny ČFES a návrhy implementace	Bálint Pastor Tomáš Mlčoch
'90	Panelová diskuse	Jana Hlaváčová, Petr Davídek (MZ ČR) Jiří Štěrba (VZP) Pavel Mlynář (ČPZP) Magdalena Vondráčková (SZP) Petra Chytilová (SUKL) Ondřej Němeček (SUKL) David Kolář (AIFP)
'10	Shrnutí	Tomáš Doležal
Po ukončení	Neformální posezení, večeře: Andělský Pivovar (Lidická 337/30, Praha 5)	

Prosba o zaplacení příspěvků (QR kódy)



QR kód (plné členství): 800 Kč

V současnosti má zaplaceno 42% členů příspěvky, pojďme to společně zlepšit 😊

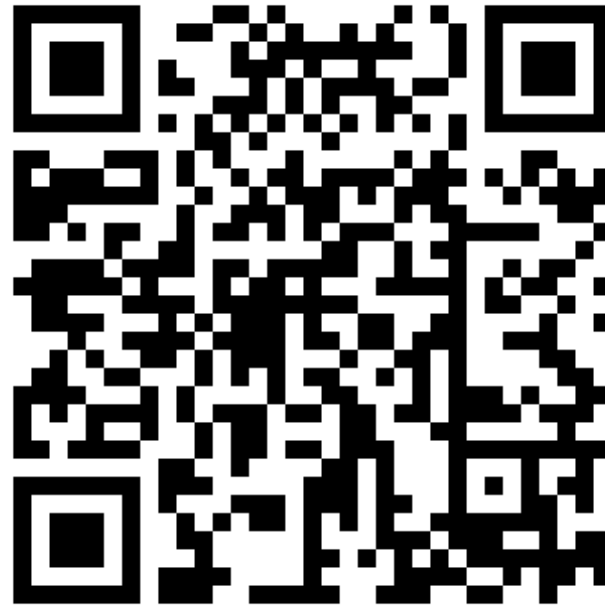


QR Platba

Prosba o zaplacení příspěvků (QR kódy)

QR kód (snížené členství (studenti, maminky na mateřské)): 200 Kč

V současnosti má zaplaceno 42% členů příspěvky, pojďme to společně zlepšit 😊



QR Platba

Dotazník spokojenosti



Reflektujeme zpětnou vazbu členů z posledního zasedání a volbách

Nový Výbor ČFES připravuje dotazník spokojenosti, který Vám brzy všem rozešleme

Budeme rádi za Váš feedback a co změnit k lepšímu 😊



Update guidelines ČFES

Cíl je nově vydat i dvojjazyčně: CZ i ENG pro lepší šíření

Skupina 1 – Úvod a základní nastavení analýz



Členové skupiny:

Martin Kolek, Kateřina Novotná, Aneta Schimmerová, Štěpán Uherek, Tereza Vávrová

Okruhy / kapitoly	Zaměření při aktualizaci
Typy analýz a obecné	<ul style="list-style-type: none">• Úprava hierarchie úvodních kapitol,• revize předpokladů a interpretace CMA (non-inferiority margins atd.),• detailnější zmínka o CCA – rostoucí význam u ZdravPro
Perspektiva	<ul style="list-style-type: none">• Přidání vzácných onemocnění (vedle chronických) jako relevantního příkladu využití celospolečenské perspektivy
Cílová populace	<ul style="list-style-type: none">• Revize interpretace analýzy podskupin – studie nejsou designovány na průkaz superiority v podskupinách
Komparátor	<ul style="list-style-type: none">• Úprava definice / podmínek relevantního komparátora:<ol style="list-style-type: none">1) standard terapie,2) dostupnost dat komparátora pro provedení srovnání,3) bez ohledu na mechanismus úhrady (pokud je relevantní v kontextu analýzy)
Časový horizont	<ul style="list-style-type: none">• Diskuse k neadekvátně dlouhému / krátkému horizontu – nejistota vs. riziko nezachycení relevantních událostí

Skupina 2 – Komparativní účinnost, bezpečnost, survival analýza, SLR, ITC, očištění o cross-over



Členové skupiny:

Jan Tužil, Tomáš Mlčoch, Klára Lamblová, Anna Jandová, Lenka Příbylová, Kateřina Chadimová

Okruhy / kapitoly	Zaměření při aktualizaci
Komparativní účinnost	Inkrementální populace vs. celá populace; Sekundární/exploratorní outcomes a jejich implementace do CUA; Minimally clinical important difference (MCID) a kontext účinnosti (respondér/non-respondér); Mapping surrogate-hard endpoints (PFS -> OS); RWE a RCT a jejich kombinace; Nezralá účinnostní data; Kompositní endpointy; External control arms; Interní/externí validace klinické evidence; Waning/duration of effect
Komparativní bezpečnost	Definice gradingů (all AE, grade $\geq 3+$, serious vs. severe AE)
Syst. review literatury	Targeted vs. systematic literature review; TLR je standard vs. SLR má svá přísná specifika
Nepřímé srovnání (ITC)	ML-NMR, soulad s guidelines (JCA, NICE) a současným poznáním; ITC u nerandomizované populace; nemožnost provést robustní ITC; výhody a nevýhody ITC metod (přehledová tabulka)
Survival analýza	Klinická plauzibilita, vhodné situace pro složitější-flexibilní modely, modely při (ne)proporcionalitě rizik
Různé	Expert elicitation, model averaging, digitalizace dat
Cross-over	Flowchart s výběrem metody, výhody/nevýhody jednotlivých metod pro lepší orientaci

Skupina 3 – Kvalita života a náklady



Členové skupiny:

Kateřina Dolečková, Jiří Klimeš, Zdeněk Kučera, Martina Mazalová, Gabriela Volfová

Okruhy / kapitoly	Zaměření při aktualizaci
Kvalita života	<p>Změna struktury celé části týkající se kvality života</p> <ul style="list-style-type: none">• Čistě metodický popis nahradit doporučeními• Doporučení ohledně optimálních metod měření/value setu• Rozcestník pro užívání zdrojů utilit v CUA <p>Doplnění částí:</p> <ul style="list-style-type: none">• Adjustace utilit podle běžné populace (i u věkové skupiny 0-16 let)• Utility pečovatelů• Utility dětí• (QALY shortfall) → nasměrování na kalkulátor ČFES
Náklady	<p>Doplnění:</p> <ul style="list-style-type: none">• One page summary s odkazem na metodiku k celospolečenské perspektivě a kalkulaci nepřímých nákladů• Náklady pečovatelů

Skupina 4 – FE modely, výsledky, interpretace



Členové skupiny:

Markéta Hašplová, Jakub Holčák, Tomáš Spousta, Milan Vocelka

Okruhy / kapitoly	Zaměření při aktualizaci
Ekonomické modely	<ul style="list-style-type: none">• Ověřit aktuálnost doporučení stran typů modelů;• otázka, zda uvádět doporučení pro specifické / typové případy
Diskontace	<ul style="list-style-type: none">• Zmapovat makroekonomické ukazatele, na jejichž základě se diskontace v ostatních státech určuje;• zaktualizovat kapitolu podle aktuálních českých hodnot ukazatelů
Výsledky zdravotně-ekonomického hodnocení	Prezentace výsledků: <ul style="list-style-type: none">• požadované členění nákladů/přínosů,• jaké výstupy / ukazatele jsou vyžadovány /NMB, Value of Information/,• analýza senzitivity/scénářů,• doporučení pro OWSA/PSA
Validita a přesnost	<ul style="list-style-type: none">• Ověřit aktuálnost doporučení
Přenositelnost	<ul style="list-style-type: none">• Ověřit aktuálnost doporučení
RWE	<ul style="list-style-type: none">• Validace dat pomocí RWE – např. délka léčby, management léčby/NÚ, mortalita, požadavky na kvalitu/popis metodiky

Skupina 5 – Analýza dopadu na rozpočet



Členové skupiny:

Robert Chlád, Michal Kostern, Vladimír Moravec, Bálint Pásztor, Patrik Sudický

Okruhy / kapitoly	Zaměření při aktualizaci
Předmět hodnocení a perspektiva	<ul style="list-style-type: none">• Rozšířit okruh hodnocených intervencí• Explicitně preferovat celospolečenskou (societal) perspektivu pro všechny intervence
Definice cílové populace	<ul style="list-style-type: none">• Odvozovat populaci od plné šíře EMA SPC;• Kroky odvození dokládat zdroji
Náklady – samostatně a strukturovaně	<ul style="list-style-type: none">• Vyčlenit náklady na hodnocenou intervenci (zvláště LP v rámci kombinačních terapií)• V příloze rozlišit náklady na intervenci vs. celkové náklady ramene; doplňovat celospolečenské náklady
Model dopadu na rozpočet a transparentnost	<ul style="list-style-type: none">• Reflektovat zákonný požadavek na zpřístupnění modelu• Doporučit prezentaci kompletních FE modelů (CEA + BIA pohromadě)
Výsledky a interpretace „value“	<ul style="list-style-type: none">• Propojit výsledky BIA s CEA; zmínit „value“ (např. QALY shortfall) i v rámci BIA• Při prezentaci výsledků zahrnout i celospolečenskou perspektivu (pokud preferovaná)
Komparátor	<ul style="list-style-type: none">• Aktualizovat dle stanovisek MZ

Skupina 6 – Zdravotně ekonomické hodnocení v širším kontextu



Členové skupiny:

Adéla Bártová, Barbora Decker, Tomáš Doležal, Aleš Kmínek, Šárka Veselá, Gustava Jessica Vydrová

Okruhy / kapitoly	Zaměření při aktualizaci
Hranice ochoty platit	<ul style="list-style-type: none">• Posun od fixní hodnoty k flexibilní WTP (tiers)• Zohlednění závažnosti onemocnění, unmet need, míry inovace, QALY shortfall• Valorizace WTP (+ případné propojení s limity BIA)
Další kritéria při vyhodnocení výsledků zdravotně-ekonomických analýz	<ul style="list-style-type: none">• Vymezení role kapitoly jako „3. pilíře rozhodování“ (vedle klinické a ekonomické evidence)• Omezit opakování konceptů z kapitol I a II, více zaměřit kapitolu na praktickou použitelnost• Rozpracování VBP v praxi (vč. orphan, ATMPs, vysoce inovativní terapie)• MEA / risk-sharing / outcome-based agreements• Zvážení strukturovaného frameworku (MCDA) jako doplňku CEA• Sociální dopady, preference pacienta a širší hodnotové aspekty, riziko double counting• Sběr RWE a reassessment• Nejistota v rozhodování (kdy je akceptovatelná, vazba na podmíněnou úhradu, sběr RWE)



Jak lépe vytěžit výsledky farmakoekonomických analýz?

Výstupy pracovní skupiny ČFES a návrhy implementace

Pásztor B, Mlčoch T, Doležal T

25/05/2026

Obsah

-
- 1. Úvod a motivace**
 - 2. Limitace dnešního systému WTP a limitů BIA**
 - 3. Vysvětlení pojmů QALY shortfalls**
 - 4. Výsledky a analýza správních řízení v ČR**
 - 5. Modelové přípravy ze správního řízení**
 - 6. Představení možné valorizace WTP/limitů BIA**
 - 7. Závěr a body pro panelovou diskusi**
-

Historický exkurz

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



Výsledky pracovní skupiny WTP (2025) navazují na výsledky pracovní skupiny WTP (2023), která byla etablovaná **již v roce 2022**

Cíle pracovní skupiny:

- Otevřít diskusi nad výší WTP a jejím možném vývoji/valorizaci v čase
- Inspirace v rozvinutých HTA systémech a zjištění, jak tyto HTA fungují v rámci rozhodovacího procesu (appraisal)

Závěry **předchozí pracovní skupiny** byly následující:

- **Zachovat systém založený na QALY**, i v něm lze kvantifikovat závažnost onemocnění a nenaplněnou potřebu léčby (viz QALY shortfalls)
- **QALY framework** + to co již umíme je validně provedená nákladovka
- Jak postupovat při **nízkém ICERu**? Např. fast-track rychlejší zhodnocení CEA/BIA a bez nutnosti smluvních ujednání (tj. např. budget capů)
- Thresholdy reflektující **závažnost onemocnění/míru inovace**

Poděkování všem účastníkům pracovní skupiny!



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

Interim report ČFES pracovní skupiny a doporučení pro praxi

Autoři:

Klimeš J*, Mlčoch T*, Pásztor B*, Uherek Š*, Vocelka M*, Decker B, Lamblová K, Mazalová M, Danielisová M, Krejčová 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, tyto autoři přispěli rovným dílem a jsou rovnocennými prvními autory.



Revisiting the Willingness-to-Pay Threshold: Integrating QALY Shortfall to Reflect Disease Severity and Unmet Medical Need

Authors:

Klimeš J, Mlčoch T, Pásztor B, Uherek Š, Vocelka M, 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, Krejčová M, Decker B



Czech ISPOR chapter, Prague, Czech Republic



Background

- The current Willingness-to-pay threshold (WTP-T) in Czechia has not been updated since 2013 (€49,000/QALY).
- Traditional ICER/QALY approach has inherent limitations and does not always adequately capture the true disease severity or unmet medical need.
- QALY shortfall metrics – absolute shortfall (AS), proportional shortfall (PS) and the ratio of incremental QALYs to AS ($\Delta\text{QALY}/\text{AS}$) – can better reflect disease severity, unmet medical need, and societal preferences in reimbursement decisions allowing equity and innovation to be quantified.

Methods

- A retrospective analysis of 73 reimbursement decisions (2022–2024) in Czechia. The year 2022 was selected because it marked the most recent major legislative changes in medicines reimbursement, including the introduction of a new pathway for orphan medicines.
- Standardized QALY shortfall calculator was developed** by the Czech Pharmacoeconomic Society (ČFES) and applied to compute (Figure 1):
 - Absolute shortfall (AS)
 - Proportional shortfall (PS)
 - Ratio $\Delta\text{QALY}/\text{AS}$
- We introduce a novel measure of innovation using ratio $\Delta\text{QALY}/\text{AS}$ that reflects the added value of a new intervention. It combines the incremental QALY gain delivered by the technology with the absolute QALY shortfall, effectively indicating the extent to which the new treatment restores health toward the level observed in the general population without the disease.
- Analysis was stratified by procedure type: Standard, Highly Innovative Medicinal Products (HIMP), Orphans.
- Benchmarked vs. NICE (UK), ZIN (Netherlands), NOMA (Norway).

Results

- Median ICER: €72,000/QALY; only 37 % of cases fell below WTP-T.
- Median QALY shortfalls: Absolute 8.9 QALYs, Proportional 71%, $\Delta\text{QALY}/\text{Absolute}$ 9% (Figure 2).**
- Orphans: highest AS 12.5 QALY, highest $\Delta\text{QALY}/\text{AS}$ 15 %
→ Orphans proved strongest Innovation potential
- Highly Innovative Medicinal Products (mainly oncology): highest proportional shortfall 87% due to high mortality of cancers.
- We present all 73 reimbursement decisions and their QALY, QALY gained by new technology and disease QALY loss (Figure 3).

Figure 1. QALY shortfalls and incremental QALYs

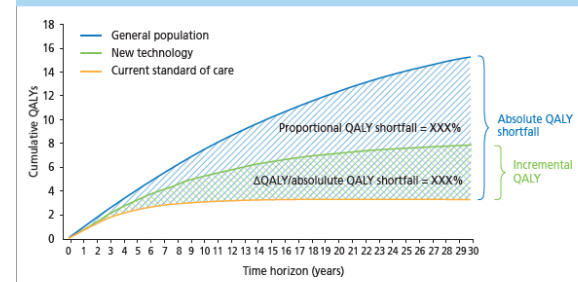


Figure 2. Comparison of QALY shortfalls and incremental QALYs, stratified by reimbursement type

Reimbursement type	Median ICER	Median QALY gain	Median proportional QALY shortfall	Median absolute QALY shortfall	QALY gain / abs. shortfall ratio
Standard	37,040	15.18	47%	6.51	7%
HIMP	118,078	12.79	87%	10.70	9%
Orphan	193,119	19.52	73%	12.51	15%
ALL	72,207	15.39	71%	8.89	9%

Conclusions

- QALY shortfall robustly quantifies disease burden & unmet need.
- Newly introduced parameter $\Delta\text{QALY}/\text{Absolute QALY shortfall}$ represents an innovative measure of therapeutic value as it shows additional information value in disease burden, unmet medical need and level of innovation, it shows the „level of healing“.
- Implementation within the current framework is feasible without additional administrative burden.
- Further dialogue on threshold differentiation or QALY weighting based on shortfall in Czechia is recommended.

Úvod, motivace, limitace dnešního systému

Proč to děláme...



- V ČR je od roku aplikováno full-HTA na nové léky ve vysoké technické/metodické kvalitě déle než 10 let
- Výsledky analýz CEA a BIA mají vysokou vypovídací hodnotu (i se všemi nejistotami, které jsou otevřeně prezentovány)
- Právní rámec v části 6 zákona 48/1997 Sb. §39b odst. 2 se ukázal jako robustní a není třeba jej rozšiřovat o další parametry
- Umíme „spočítat“ účinnost/bezpečnost, dopad na rozpočet, nákladovou efektivitu
- Stále si nevíme rady se zhodnocením závažnosti onemocnění a nahraditelností jinou léčebnou metodou (=unmet need)
- Ve světě probíhá diskuse jak nastavit financování inovací a metodikách hranice ochoty platit (SK v mezičase udělalo min. 2 legislativní změny, to samé Maďarsko, Polsko, chystá se Rumunsko)

Limitace systému nákladové efektivity/WTP

- Hranice platit je v zákoně definována v §15 odst. 8, ale nemáme ujasněný/zakotvený její výklad
- Dostali jsme se do stavu, že její hodnota je fixována od roku 2017, kdy byl SUKL přinucen opustit princip 3xHDP/obyvatele a tuto hodnotu de facto zmrazil a od té doby se nevalorizuje
- Tento strnulý stav vytváří tlak na alternativní cesty vstupu – VILP/orfany, ale také mimořádné úhrady §16
- Jedna „neflexibilní“ hranice ochoty platit není schopna dostatečně diferencovat inovace s vysokou vs. nízkou mírou inovativnosti (vyjádřené absolutním ziskem QALY)
- Do posuzování/rozhodování o úhradě nepromítáme dostatečně parametry uvedené v §39b odst. 2 - závažnost onemocnění a nahraditelnost jinou léčebnou metodou (=unmet need)
- Hlavní proud diskusí v HTA komunitě směřuje k bohatšímu využití QALY, nejen pro prostý ICER

Limitace systému BIA



- Zákon nedefinuje nízký/vysoký (přiměřený/nepřiměřený) dopad do rozpočtu
 - V některých zemích je definovaná hranice netBI, pod kterou je nový produkt automaticky přípustný a nad kterou je nutné vyjednávat/dohodnout MEA (SK 1,5 mil. EUR)
- Neexistuje jasně definovaný vztah mezi „hodnotou za peníze“ a „ochotou platit“ (mezi ICER a BI), přitom nákladově efektivnějším inovacím by měly být alokován větší rozpočet
- Výklad přiměřenosti (veřejný zájem podle §17 odst. 2) je ponechán na zdravotních pojišťovnách
- Metodiky ZP mají mnoho slabých míst a neprobíhá o nich diskuse, přitom jsou nejsilnějším regulativem vstupu nových LP
 - Nejasné odvození limitu a jeho valorizace (rok 2018)
 - Není vazba mezi velikostí populace a alokovaným objemem financí (u VZP naopak)
 - Není zřejmá vazba mezi mírou inovace a ochotou plátců alokovat vyšší rozpočet

Koncept QALY a jeho využití v měření závažnosti terapie a inovace

Koncept QALY

Možnost porovnávat různé terapie mezi sebou → „generický“ výstup (outcome)

Kalkulace: **QALY = V(Q)*Y** (funkce utility (kvality života) x počet získaných roků života)

QALY zahrnuje více důležitých aspektů:

Záchrana/prodloužení života (tj. zisk roků života)

Změnu kvality života (zvýšení, snížení -> podle zdravotního stavu pacienta)

QoL index: 1 = plné zdraví; 0 = úmrtí*

Příklad: ztráta zraku

QoL index = 0,5

Délka života = 80 let

}

 }

 }

$$0,5 * 80 = 40 \text{ QALY}$$

*Pro jednoduchost uvádíme 0 = úmrtí; existují z literatury zdravotní stavy, které mají utilitu (kvalitu života) nižší než 0 a jsou pacienty klasifikovány jako horší než samotné úmrtí.

Výhody a nevýhody QALY

Výhody

- + QALY zahrnuje více důležitých aspektů:
 - Záchrana/prodloužení života (tj. zisk roků života)
 - Změnu kvality života v čase
- + QALY přidává další podstatné parametry, které zvyšují účinnost, konzistentnost a transparentnost rozhodování
- + Pomáhá porovnat všechny intervence napříč celým zdravotnictvím (včetně prevence) a tak efektivně alokovat zdroje (napojení na ICER)
- + Kritici poukazují na problémy spojené s používáním QALY, ale nenabízí jiná kvalitnější řešení
- + Standardizovaný postup a etablovaná metoda
- + Funkční, osvědčená a celosvětově používaná a standardizovaná metoda → navzdory kritice stále nejpoužívanější nástroj (etablovaná v ČR)

Nevýhody

- Různé způsoby měření dávají různé výsledky: nutnost shodného měření utilit
- Diskuze ohledně používání preferencí získaných od běžné populace k odvození value setů
- Neexistence EQ-5D value setu pro ČR
- **Možnost menšího zisku QALY u starší populace**
- **Neřeší závažnost/unmet need (vs. AS/PS)**
- Možná limitace při porovnávání naprosto odlišných intervencí mezi sebou

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.

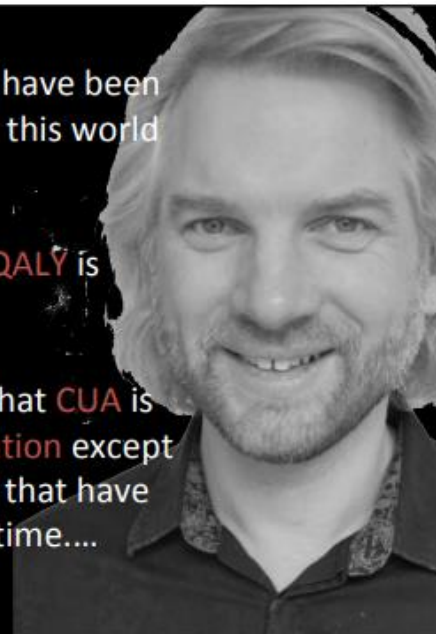
Indeed it has been said that democracy is the worst form of Government except for all those other forms that have been tried from time to time....



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....



Jak měřit závažnost onemocnění: QALY shortfalls (ztráta QALY) a proč nás to zajímá

Co je to QALY shortfall?

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

Metrika, která kvantifikuje závažnost onemocnění

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

Pro odhad QALY shortfall jsou 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

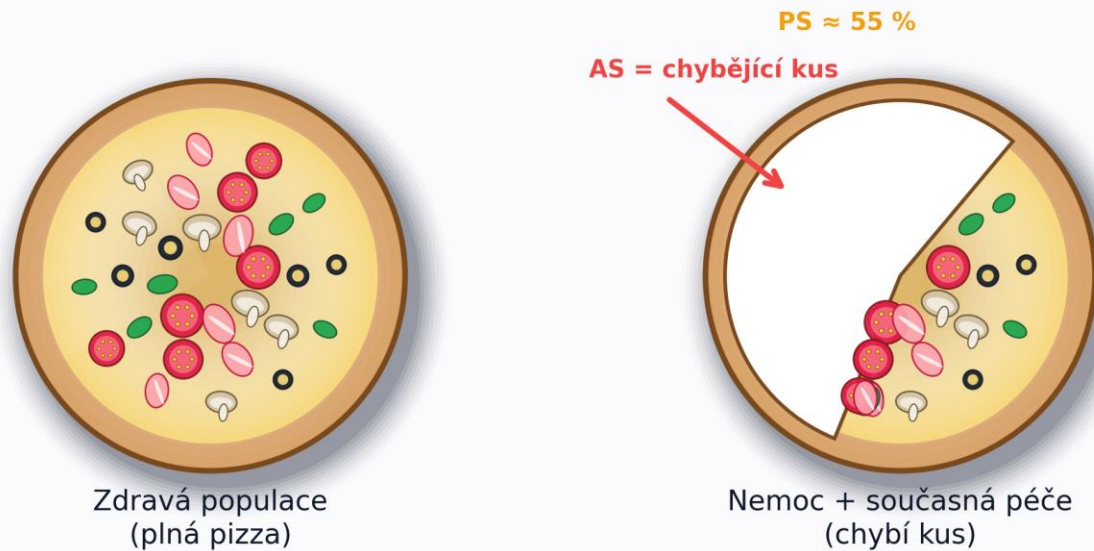
3) Nastavení, které umožní jejich společné porovnání (mortalita, utility aj)

Ilustrativní znázornění QALY shortfalls

QALY shortfall jako pizza: jen AS a PS

AS = velikost vyřiznutého kusu. PS = procento pizzy, které chybí.

 chybějící (AS)



AS (Absolute shortfall) = kolik QALY chybí do zdravé populace (absolutní mezera).

PS (Proportional shortfall) = jaké % budoucího zdraví chybí (AS / potenciál zdravé populace).

Pozn.: Toppings jsou jen pro „real-life“ vzhled; neznamenaí nic v metrice.

AS: Kolik QALY ztratí pacient v důsledku svého onemocnění v porovnání s běžnou populací?

PS: O jaký podíl QALY pacient kvůli onemocnění přijde?

Proč nás zajímá QALY shortfalls

V ČR je etablováno použití QALY, se všemi svými **výhodami** a **nevýhodami**, které byly popsány výše

Nicméně Δ QALY se bude vždy přirozeně lišit podle tíže onemocnění a věku pacientů

Pokud chceme jako společnost větší „spravedlnost“, tj. zaměření i na onemocnění, kde není tak vysoký zisk QALY (např. vysoká tíže onemocnění/věk pacientů)...

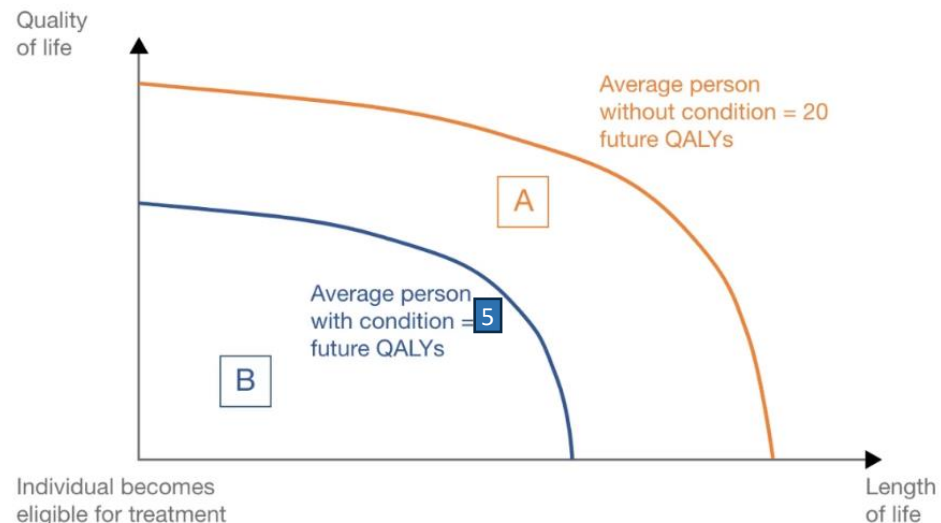
... tak QALY shortfalls do jisté míry narovnávají „nerovnost“ (inequality), která vzniká při užívání samotného QALY

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

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

Výhody a nevýhody AS/PS



Absolute QALY shortfall (AS)

Výhody

Jasně daný **absolutní počet QALY**

→ Snazší interpretace

Citlivost na velikost ztráty

→ Zachytí onemocnění s velkou ztrátou délky života/dlouhodobou ztrátou kvality života (QALY)

Nevýhody

Věkové znevýhodnění → s rostoucím věkem klesá množství získatelných QALY

Špatná srovnatelnost mezi různými věkově odlišnými populacemi

Není normalizovaný (vs. proporční)

Proportional QALY shortfall (PS)

Výhody

Proporční vyjádření ztráty zdraví

Eliminace věkového znevýhodnění → rovné zacházení napříč věkem

Normalizace (0-1)

- 0 = žádná zdravotní ztráta; 1 = úplná ztráta zbývajících zdraví (smrt)
- jednodušší interpretace pro laiky (% ztráta)
- srovnatelnost napříč diagnózami, věkem

Nevýhody

Ztráta informace o absolutní velikosti ztráty

→ Stejný PS, ale diametrálně různý AS

Vysoká citlivost při nízkém zbývajícím QALY (u starších osob)

QALY shortfalls v mezinárodní literatuře

QALY shortfalls jsou standardizovaným a mezinárodně akceptovaným postupem pro odhad nenaplněné potřeby léčby a závažnosti onemocnění

Země	Agentura	Typ shortfall
Holandsko	ZIN	PS
Anglie	NICE	AS i PS
Norsko	NOMA	AS

AS/PS definují buď vyšší WTP nebo váží QALY koeficientem (analogie ke snížení ICERu při zvýšení získaných inkrementálních QALY

NICE - koeficient

Table 6.1 QALY weightings for severity

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

ZIN – různé hladiny

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

**Jak měřit míru inovace dané technologie:
inkrement QALY a poměr $\Delta\text{QALY}/\text{QALY}$ shortfall**

Měření míry inovace dané technologie

Inovace dané technologie se dá měřit mnoha způsoby (např. klinicky, silou důkazů 1A, 2B aj., konkrétní číselnou hodnotou snížení rizika (např. onkologie, HR < 0.7))

Tyto pro onemocnění specifické způsoby nicméně budou obtížně porovnatelné mezi daným onemocněním

Při měření inovace v kontextu českého zdravotního systému proto vzniká otázka, jak využít současné informace ze správního řízení pro měření inovace:



Parametry inovativnosti:

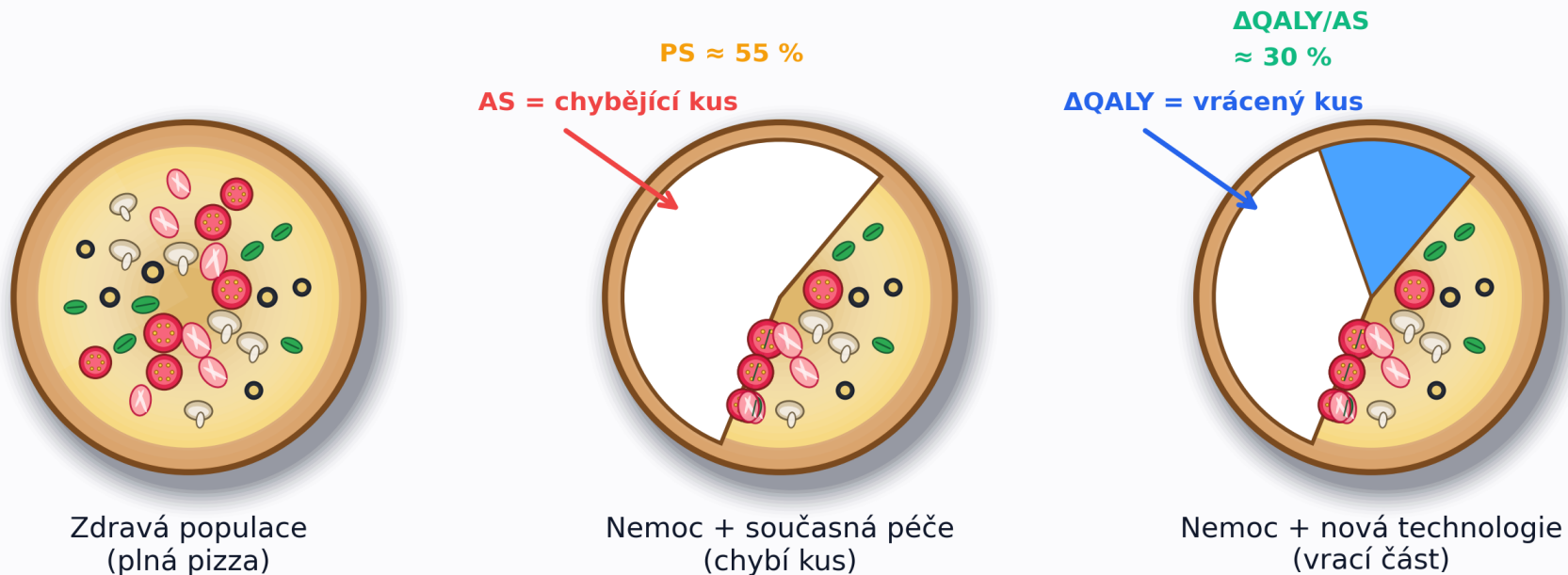
- **Inkrement QALY nové intervence**
 - Zisk QALY nové intervence – zisk QALY standardu léčby
- **Poměr Δ QALY/absolutní QALY shortfall (AS)**
 - kolik mezery ke zdravé populaci uzavírám danou intervencí (aka Bálintova konstanta)
(=*míra pokrytí shortfallu*)

Ilustrativní znázornění $\Delta QALY$ a $\Delta QALY/AS$

QALY jako pizza: co je AS, PS, $\Delta QALY$ a $\Delta QALY/AS$

Stejná velikost pizzy = stejný „potenciál zdraví“ (zdravá populace). Nemoc kus sebere. Léčba část vrátí.

 přínos ($\Delta QALY$)
 chybějící (AS)



AS (Absolute shortfall) = kolik QALY „chybí“ do zdravé populace = velikost vyříznutého kusu.

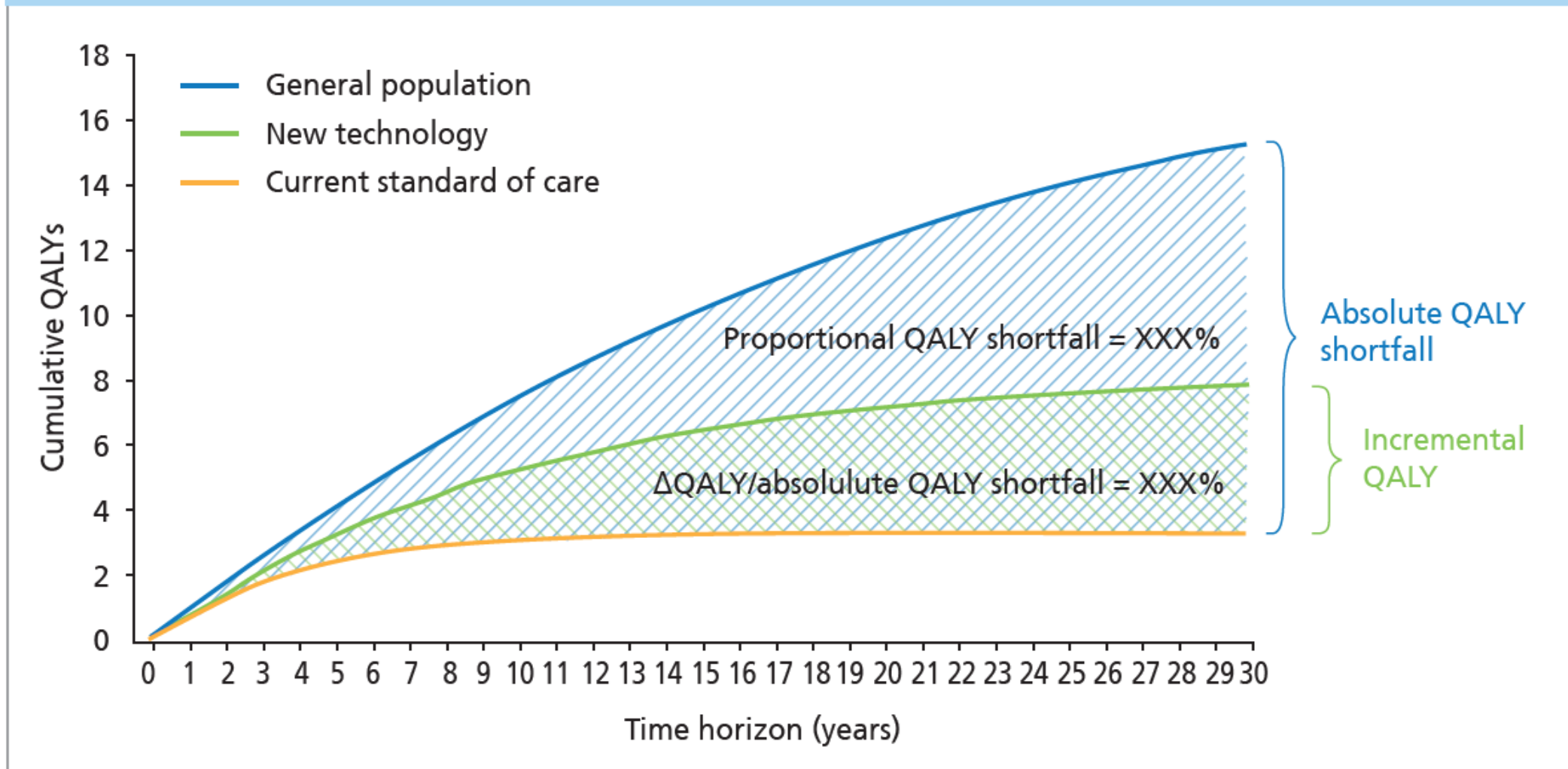
PS (Proportional shortfall) = jak velká část pizzy chybí = AS / (celá pizza).

$\Delta QALY$ = kolik pizza přibylo díky nové technologii (modrý kus).

$\Delta QALY/AS$ = kolik % z chybějícího se vrátilo.

Grafické znázornění všech konceptů

Figure 1. QALY shortfalls and incremental QALYs



Inkrement QALY vs. Δ QALY/AS

Inkrement QALY

Výhody

- Jasně definovaná a akceptovaná metrika přínosu/benefitu
- Oddělení benefitu od závažnosti onemocnění
- Jasná a přímočará interpretace
- Stabilní napříč indikacemi (1 QALY = 1 QALY)

Nevýhody

- Nereflektuje nenaplněnou potřebu léčby/závažnost onemocnění
- Nereflektuje „míru navrácení zdraví“
- Znevýhodňuje starší pacienty
- Citlivost na předpoklady modelu

Inkrement QALY/AS

Výhody

- Normalizace benefitu na nenaplněnou potřebu léčby (health gap)
- Jasná škála a narativ
- Kompatibilita s CE modely
- Srovnání jak technologie narovnává zdraví
- Interpretace 0-1
- Inovace ČFES 😊

Nevýhody

- Penalizace velmi těžkých onemocnění
- Nadhodnocuje malé benefity s nízkým AS
- Novinka a není etablovaná metrika 😊

Analýza správních řízení v ČR a typičtí zástupci

Výsledky a analýza správních řízení v ČR



- Všechna SŘ

Percentil	Inkr. QALY	ICER/QALY	AS	Proportional shortfall (PS)	Inkr. QALY / AS
0,10	0,18	609 731	3,62	23,4%	2%
0,25	0,34	1 041 189	5,78	38,9%	4%
0,50	0,83	1 805 172	8,89	71,1%	9%
0,75	1,48	4 482 600	14,31	87,1%	20%
0,90	2,23	10 061 256	17,20	93,0%	37%

- Trvalá + VILP

percentil	Inkr. QALY	ICER/QALY	AS	Proportional shortfall (PS)	Inkr. QALY / AS
0,10	0,18	541 486	3,91	25,2%	2%
0,25	0,33	915 894	5,87	37,7%	3%
0,50	0,71	1 477 029	8,72	72,2%	8%
0,75	1,33	3 398 495	12,93	89,0%	16%
0,90	1,87	5 414 446	15,22	92,7%	29%

- Pouze trvalá UHR

percentil	Inkr. QALY	ICER/QALY	AS	Proportional shortfall (PS)	Inkr. QALY / AS
0,10	0,09	352 854	3,13	21,0%	2%
0,25	0,18	630 245	4,84	33,6%	3%
0,50	0,67	925 995	6,51	46,7%	7%
0,75	1,28	1 840 595	9,05	72,0%	22%
0,90	2,00	3 488 463	16,85	88,2%	36%

Poznámky:

1. Percentily se počítají pro každý parametr nezávisle – každý sloupec má vlastní hranice a vlastní kvartilové členění. Stejně SŘ může spadat do různých kvartilů v různých sloupcích.
2. ICER / QALY vychází z veřejných úhrad, veřejná úhrada neobsahuje kompenzace dohodnuté s plátcí.

Modelové přípravky ze správního řízení

Metodika v kostce

Pro každý ze čtyř parametrů byly numerické hodnoty v daném sloupci seřazeny vzestupně a rozděleny do 4 zhruba stejných skupin – kvartilů (**Q1 = 25 % nejnižších hodnot**, Q4 = 25 % nejvyšších). Uvnitř každého kvartilu dostal řádek rank podle vzdálenosti |hodnota – globální medián sloupce| (rank 1 = nejbližší mediánu). Níže uvedené řádky byly vybrány jako **typičtí představitelé** jednotlivých kvartilů. V každé buňce je přesná hodnota parametru. Barva buňky odpovídá kvartilu: **zelená Q1, žlutá Q2, oranžová Q3, červená Q4**.

Q1

Q2

Q3

Q4

Modelové přípravky – všechna SŘ

Q	Terap. oblast	Typ SŘ	Inkr. QALY (diskont., komp)	QALY shortfall (absolutní)	QALY shortfall (relativní)	Inkr. QALYabs. / QALY shortfall
Q1	oční onemocnění	Trvalá úhrada	0,172	3,055	18%	6%
Q2	neurologická onemocnění	Trvalá úhrada	0,678	8,823	44%	8%
Q3	malignity	VILP	1,163	9,295	75%	13%
Q4	metabolická onemocnění	LPVO	6,700	16,988	61%	39%

Modelové přípravky – bez LPVO

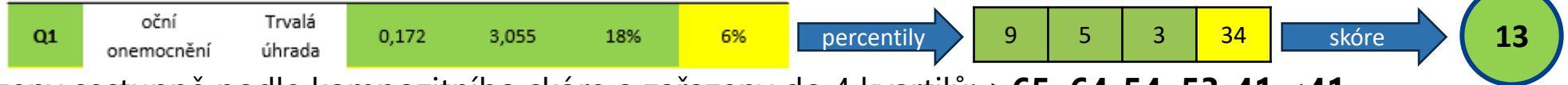
Q	Terap. oblast	Typ SŘ	Inkr. QALY (diskont., komp)	QALY shortfall (absolutní)	QALY shortfall (relativní)	Inkr. QALYabs. / QALY shortfall
Q1	oční onemocnění	Trvalá úhrada	0,172	3,055	18%	6%
Q2	neurologická onemocnění	Trvalá úhrada	0,678	8,823	44%	8%
Q3	malignity	VILP	1,163	9,295	75%	13%
Q4	onemocnění krve	VILP	3,980	14,380	81%	28%

Složení kvartilů podle typu SŘ

Metodika v kostce

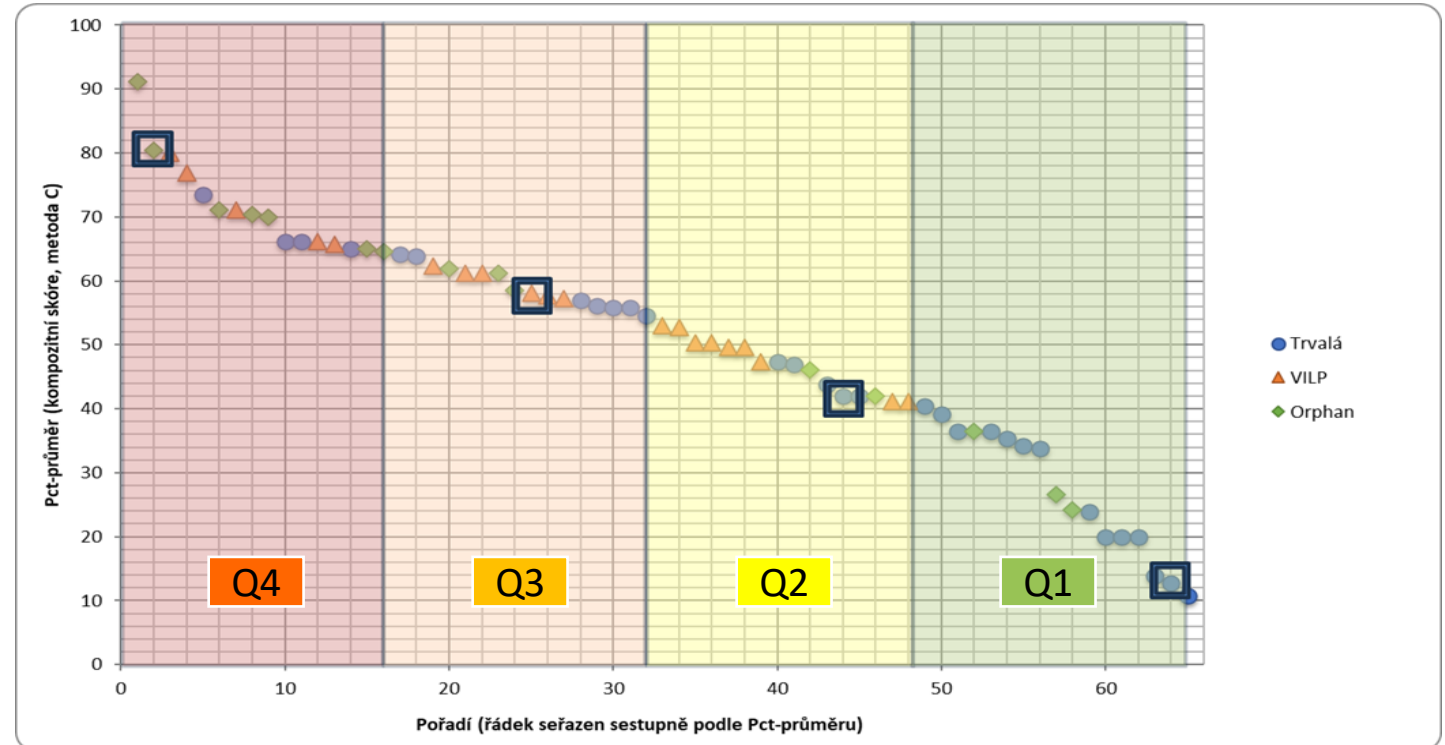
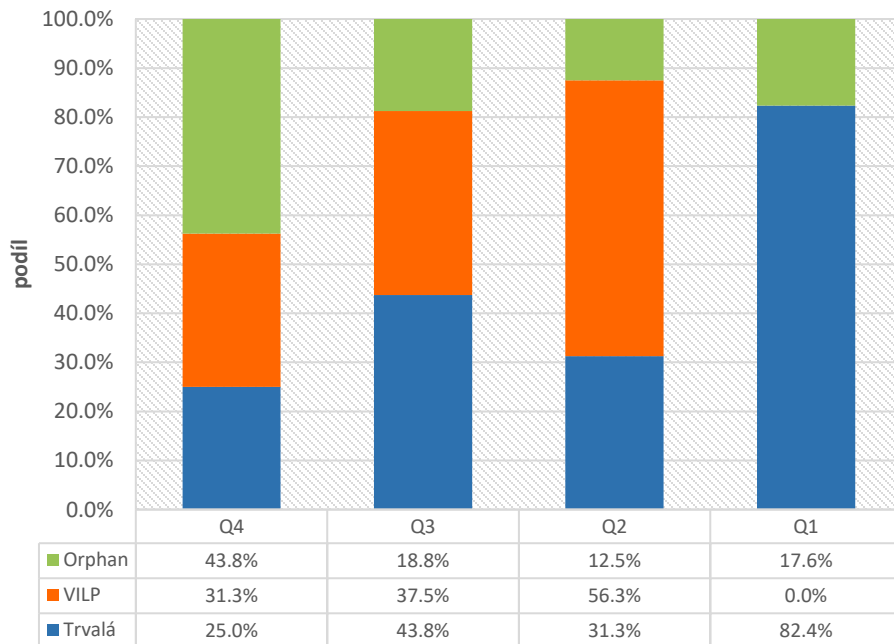
- Pro každé SŘ byl počítán percentil ve 4 sledovaných parametrech (QALY gain, AS, PS, QALY gain/AS)
- **Kompozitní skóre** daného SŘ je průměr těchto 4 hodnot percentilů

- Příklad:



- SŘ byly seřazeny sestupně podle kompozitního skóre a zařazeny do 4 kvartilů: **>65, 64-54, 53-41, <41**
- Průměrné kompozitní skóre podle typu SŘ: trvalá úhrada 42,6; VILP 57,7; orphan 58,0 (min-max: 10,8-91,2)

Procentuální složení kvartilů



Možný návrh úpravy WTP/limitů BIA

Představení možné valorizace WTP

Valorizace WTP podle kvartilů analýzy správních řízení: Tier 3 (percentil 75+), Tier 2 (50-75), Tier 1 (25-50), Tier 0 (0-25)

Metrika závažnosti onemocnění		Metrika inovace technologie		Výsledky
Abs. QALY shortfall	Prop. QALY shortfall	Δ QALY	Δ QALY/AS	Skóre
Tier 3	Tier 3	Tier 3	Tier 3	10-12
14.31+	0.871+	1.481	20.1%	WTP: 2.4M/QALY
Tier 2	Tier 2	Tier 2	Tier 2	7-9
8.90-14.30	0.711-0.870	0.831-1.480	9.1%-20.0%	WTP: 1.8M/QALY
Tier 1	Tier 1	Tier 1	Tier 1	4-6
5.79-8.89	0.390-0.710	0.350-0.830	4.1%-9.0%	WTP: 1.2M/QALY
Tier 0	Tier 0	Tier 0	Tier 0	0-3
0-5.78	0-0.389	0-0.349	0-4.0%	WTP 0.9M/QALY

Metrika závažnosti onemocnění	Metrika inovace technologie	Výsledky
Prop. QALY shortfall	Δ QALY/AS	Skóre
Tier 3	Tier 3	5-6
0.871+	20.1%	WTP: 2.4M/QALY
Tier 2	Tier 2	4-5
0.711-0.870	9.1%-20.0%	WTP: 1.8M/QALY
Tier 1	Tier 1	3-4
0.390-0.710	4.1%-9.0%	WTP: 1.2M/QALY
Tier 0	Tier 0	0-2
0-0.389	0-4.0%	WTP 0.9M/QALY

Modelové přípravky v kontextu valorizace limitů BIA



Existuje možnost reflektovat údaje z valorizace WTP a rozšířit tento pohled ve snaze bonifikovat určité intervence možností zvýšení limitů BIA

Po diskusi v rámci pracovní skupiny panovala shoda na tom, že by limit BIA měl reflektovat:

1) **Value for money** (hodnotu za peníze) dané technologie (**ICER**)

2) **Epidemiologii**

(byl vybrán **populační inkrement QALY**, který lépe odráží přínos dané terapie pro populační zdraví než počet pacientů)

Metrika závažnosti onemocnění	Metrika inovace technologie	Value for money	Epidemiologie	Výsledky
Prop. QALY shortfall	Δ QALY/AS	ICER	Populační inkrement QALY všichni (trvalá)	Skóre
Tier XXX	Tier XXX	Tier XXX	Tier XXX	XXX
0.871+	20.1%	<0.3M QALY	191+ QALY (395+)	Limit BIA 3
Tier XXX	Tier XXX	Tier XXX	Tier XXX	XXX
0.711-0.870	9.1%-20.0%	<0.6M QALY	57-191 QALY (132-394)	Limit BIA 2
Tier XXX	Tier XXX	Tier XXX	Tier XXX	XXX
0.390-0.710	4.1%-9.0%	<0.9M QALY	28-56 QALY (49-131)	Limit BIA 1
Tier XXX	Tier XXX	Tier XXX	Tier XXX	XXX
0-0.389	0-4.0%	dle WTP	<27 QALY (<48)	Limit BIA base

Závěr a body pro panelovou diskusi

Možnost aktualizace správních řízení včetně roku 2025/2026

Otázky

- Využíváme dostatečně potenciál farmakoekonomických analýz pro chytré investování do inovativních léků?
- Dokážeme měřit a zohledňovat nenaplněné medicínské potřeby?
- Máme odvahu přiznat, že máme v legislativě hranici ochoty platit?
- Jak s touto hranicí pracovat aby byla propustná pro skutečné inovace?
- Neškodí metodiky zdravotních pojišťoven vstupu inovativních léků?

Krátkodobé a dlouhodobé úkoly pro realizaci a implementaci

Děkujeme & těšíme se na další diskuze...

Restaurace Andělský pivovar, Lidická 337/30, Praha 5





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