

# HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT (HTA)

Jana Skoupá, MD; MBA.

07.04.2022

# OSNOVA PREZENTACE

- Co je to HTA (hodnocení zdravotnických technologií)
- Proč to děláme
- Kdo to dělá
- Jak to děláme
- Co je výsledek
- Jak to bude vypadat v budoucnosti

# HTA NÁSTROJ PRO HODNOCENÍ TECHNOLOGIÍ

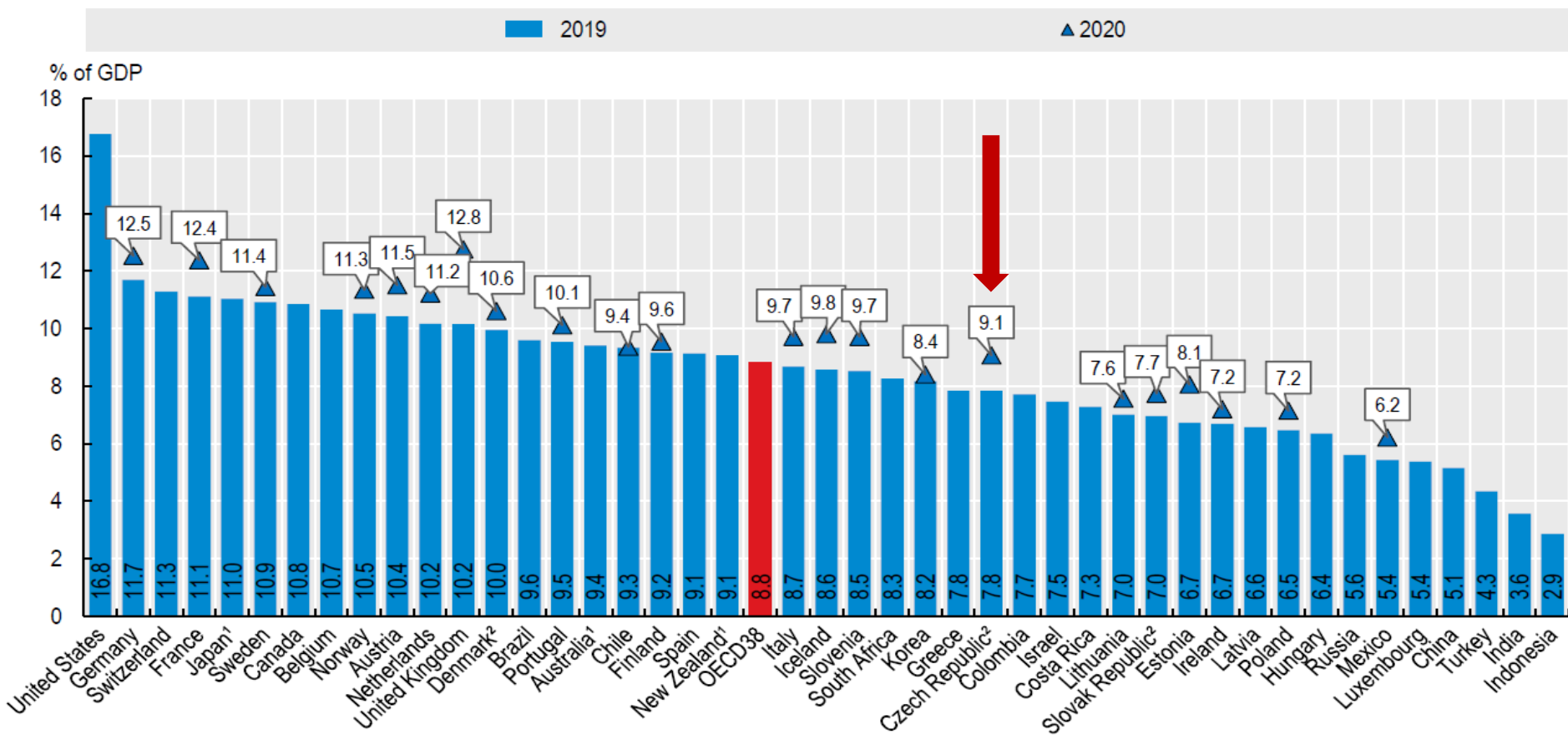
## THE ECHTA/ECAHI PROJECT – SUMMARY REPORT

Health technology assessment (HTA) seeks to inform health policy makers by using the best scientific evidence on the medical, social, economic and ethical implications of investments in health care.

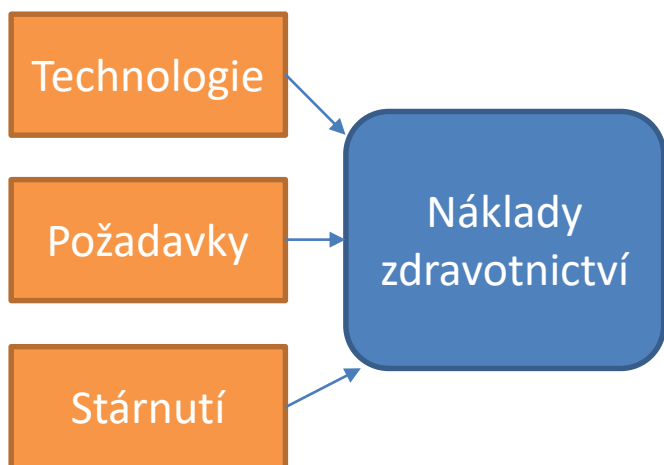
**Technology** is broadly defined to include **the drugs, devices, medical and surgical procedures used in health care**, as well as measures for prevention and rehabilitation of disease, and the organisational and support systems in which health care is provided.

[<http://www.sst.dk> 2005]

# NÁKLADY ZDRAVOTNICTVÍ – ROSTOUCÍ NÁKLADY PRO GLOBÁLNÍ EKONOMIKU

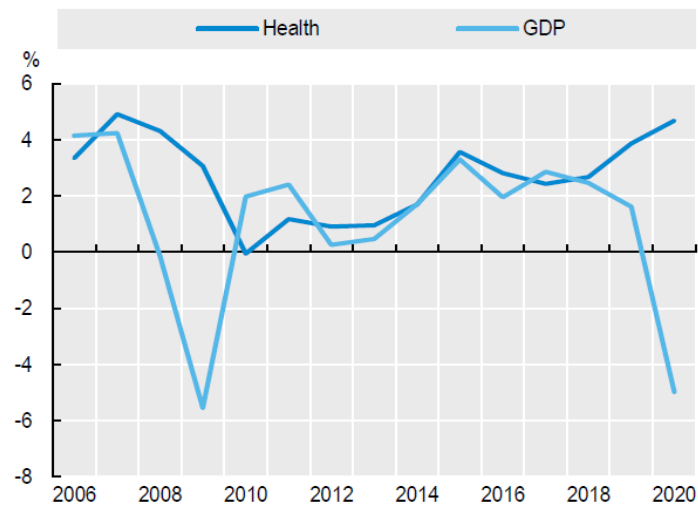


# JEDNODUCHÁ LOGIKA



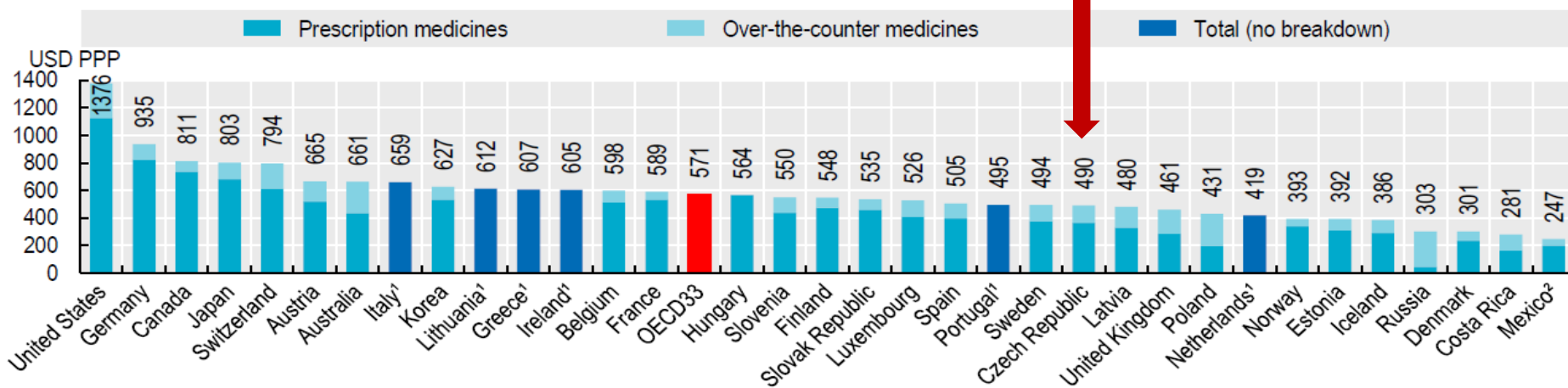
Lepší zdravotní péče → nižší úmrtnost → vyšší náklady

Figure 7.2. Annual real growth in per capita health expenditure and GDP, OECD, 2005-20



# LÉKY – JEDNODUŠE REGULOVATELNÉ, ALE...

Figure 9.2. Expenditure on retail pharmaceuticals per capita, 2019 (or nearest year)



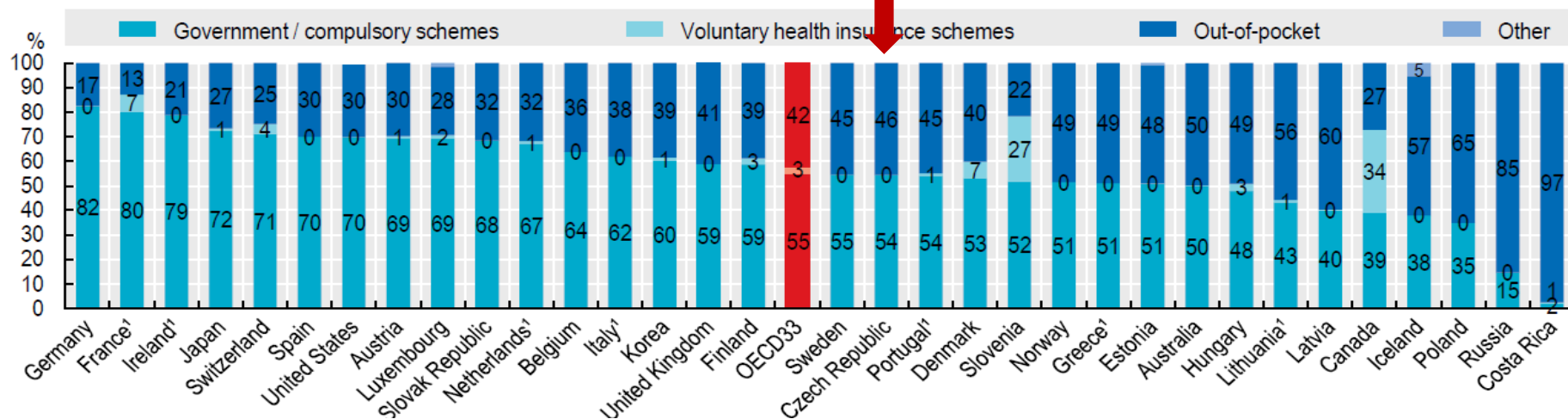
Velké rozdíly mezi zeměmi v nákladech/obyvatele.

Důvod:

- Buď nízká dostupnost léků (Mexiko....)
- Nikdo nikoho nenutí pojistit se (USA)
- Vysoká míra regulace (Česká republika)

# MŮŽEME MÍT VŠECHNO, ANIŽ BYCHOM ZVYŠOVALI ODVODY NA POJIŠTĚNÍ?

Figure 9.1. Expenditure on retail pharmaceuticals by type of financing, 2019 (or nearest year)



Odpověď:

- **NEMŮŽEME, A PROTO REGULACE**

# FINANCOVÁNÍ ONKOLOGICKÉ PÉČE JE ČÍM DÁL TÍM SLOŽITĚJŠÍ

- **Rostoucí incidence**
  - 2008 – 12 Mil nových diagnóz ročně
  - 2030 – 27 Mil nových diagnóz ročně
- **Rostoucí náklady v posledních 10 letech**
  - Více pacientů léčeno (24% vs. 11% Ca prsu na chemoterapii)
  - Rostoucí náklady na chemoterapii Ca prsu (o 10 % ročně v UK)
- **Rostoucí podíl zdravotnických nákladů alokovan na léčbu onkologických onemocnění (4 -10 %)**

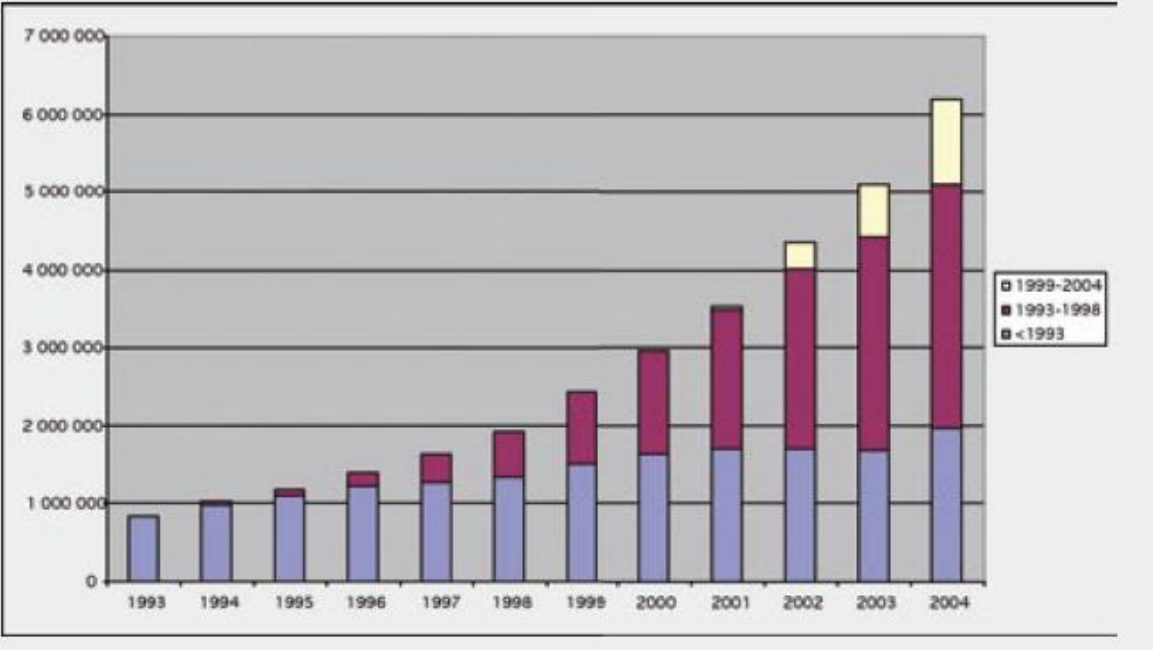


## VYBRANÉ FAKTORY RŮSTU V ONKOLOGII

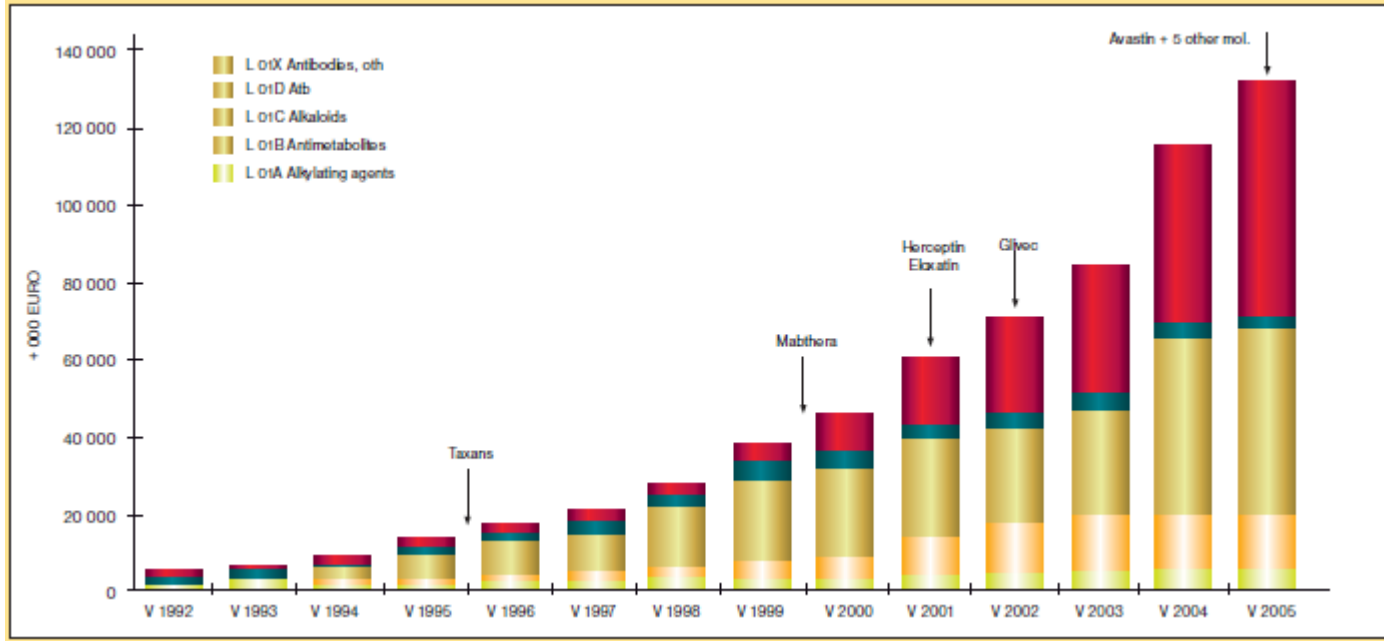
- **Více pacientů léčeno**
  - Stárnoucí populace
  - V některých zemích Ca na prvním místě v pořadí úmrtí
- **Rostou náklady na pacienta**
  - Včasnější diagnostika - screening
  - Nové technologie (inovace včetně nákladů na jejich vývoj)
  - Komplexnější léčebné protokoly (rostoucí náklady)

Years	Number of NCEs	Cost per NCE (€)	Total spending (€)	Spending per year (€)
1990-1994	8	307,000,000	2,456,000,000	491,200,000
1995-1999	19	378,000,000	7,182,000,000	1,436,400,000
2000-2004	12	895,000,000	10,740,000,000	2,148,000,000

# TOTAL CANCER DRUG SALES IN 19 WE COUNTRIES (€000)

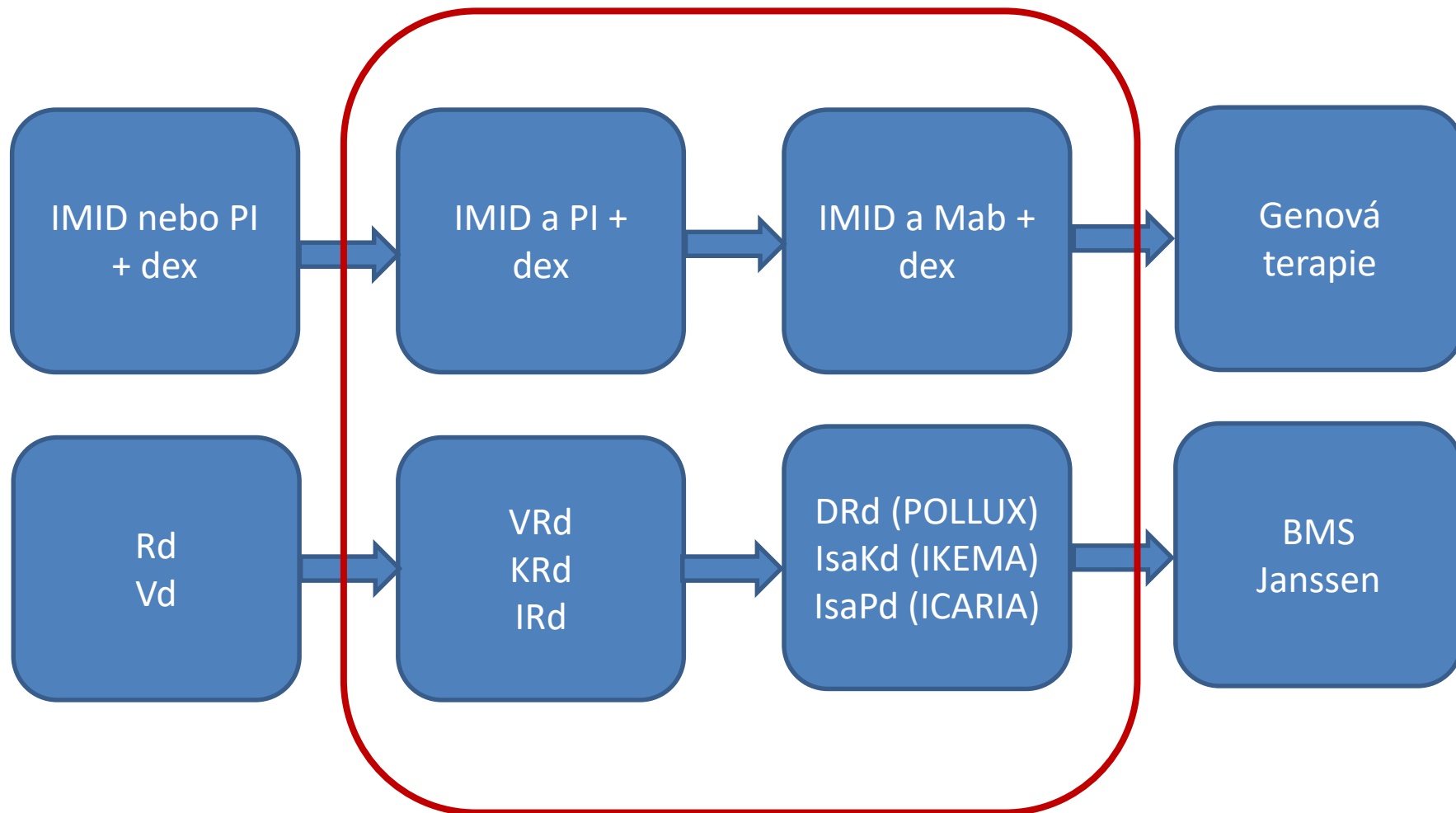


# TOTAL CANCER DRUG SALES IN CZECH (€000)



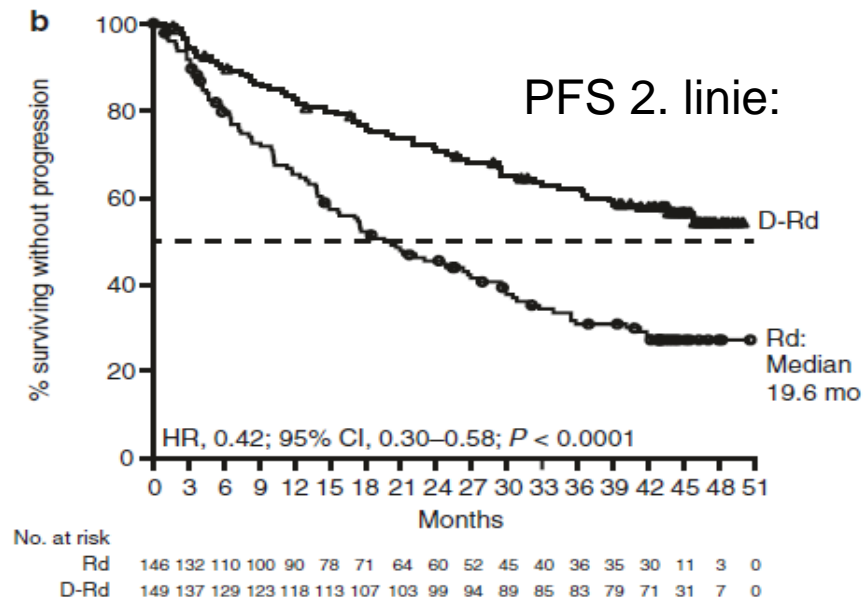
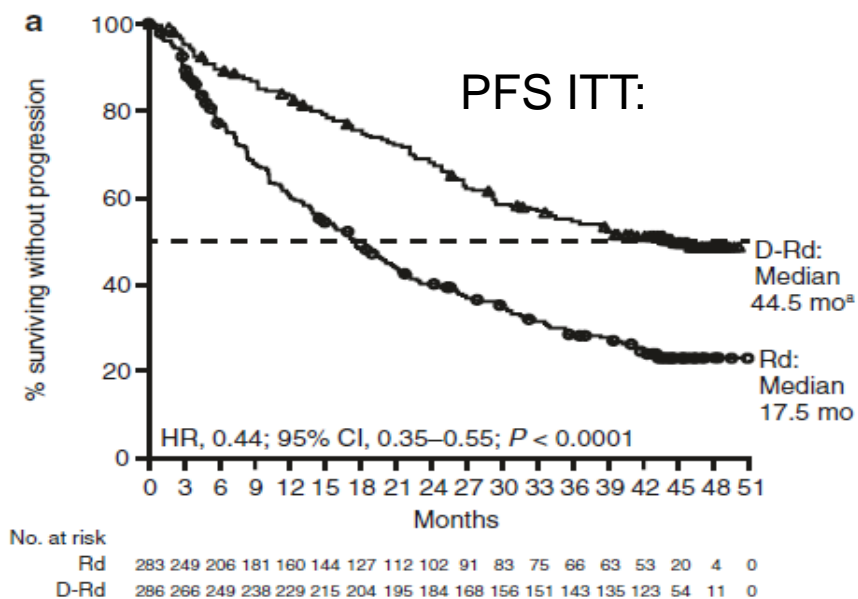
Jonsson B 2007, Skoupá 2007

# ZMĚNA ZPŮSOBU TERAPIE – MNOHOČETNÝ MYELOM



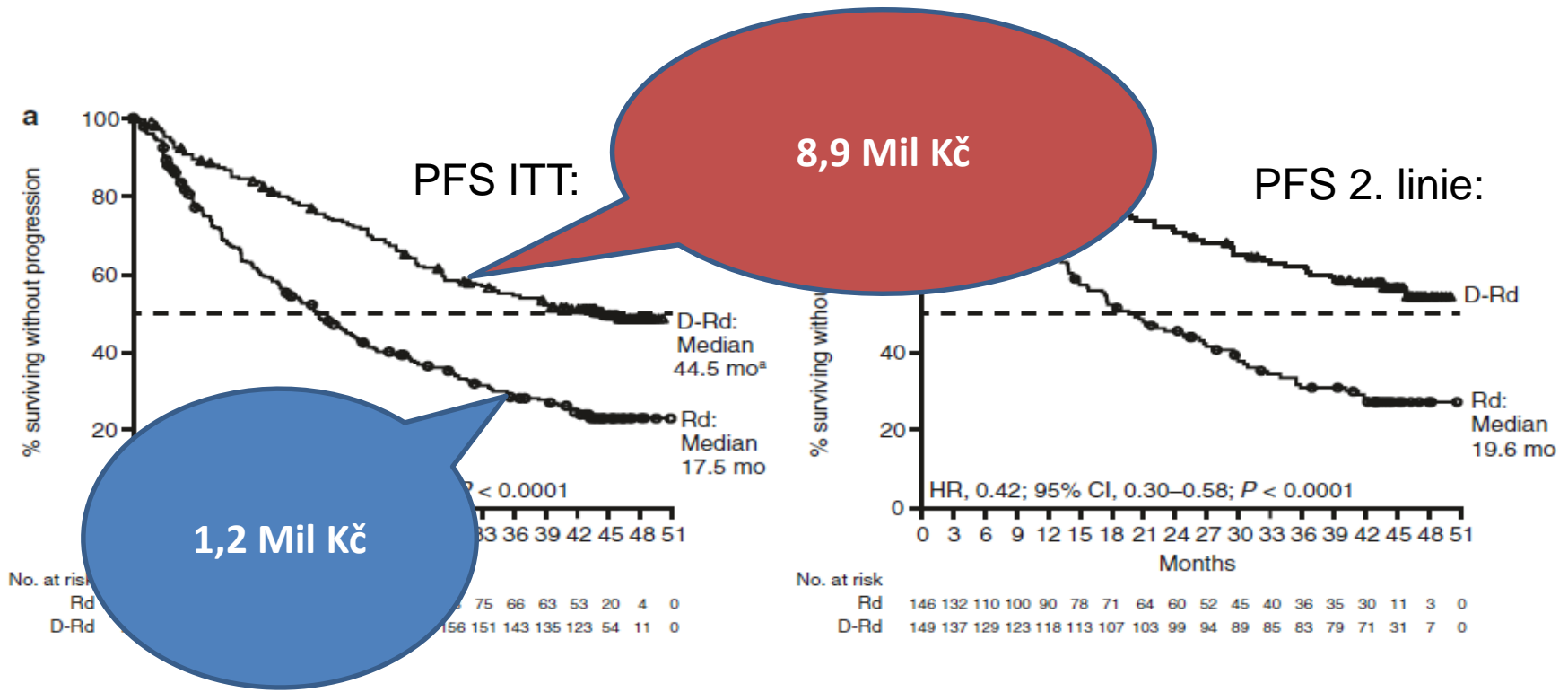
R=lenalidomid; V=bortezomib; d=dexamethazon; K=karfilzomib; I=ixazomib; Isa=isazubimab, P=pomalidomid  
Mab= monoklonální protilátka

# CO NÁM PŘINESE MODERNÍ TROJKOMBINACE U MYELOMU?



**2,5 násobné prodloužení doby do progrese; absolutně o 2,3 roky!!!!**

# CO NÁS TO BUDE STÁT?



**4,7 násobné navýšení nákladů, a proto.....**

# HTA AS AN ASSESSMENT TOOL

## THE ECHTA/ECAHI PROJECT – SUMMARY REPORT

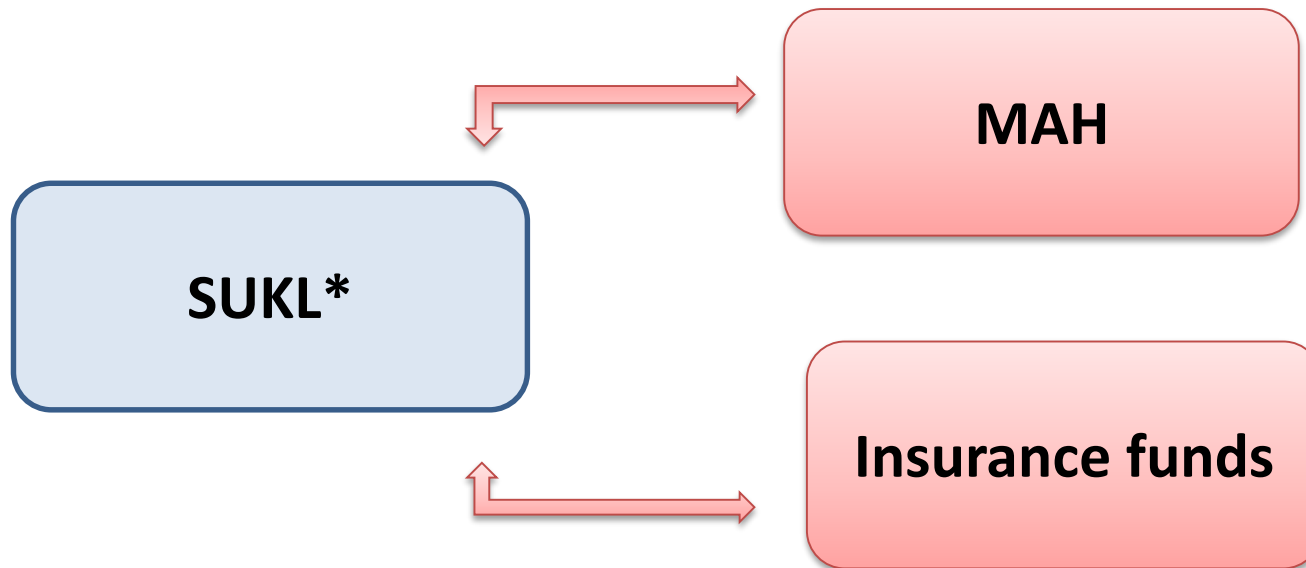
Health technology assessment (HTA) seeks to inform health policy makers by using the best scientific evidence on the medical, social, economic and ethical implications of investments in health care.

Technology is broadly defined to include the drugs, devices, medical and surgical procedures used in health care, as well as measures for prevention and rehabilitation of disease, and the organisational and support systems in which health care is provided.

[<http://www.sst.dk> 2005]

# KDO TO DĚLÁ

SUKL (Státní ústav pro kontrolu léčiv) = HTA agentura



**Odborné lékařské společnosti nejsou účastníky řízení (dle Správního řádu).**

**\* SUKL provede hodnocení a ne/navrhuje úhradu**

# TYPY REGULACE (HRAZENÉ LÉKY)

- Maximální cena (nejvyšší cena za kterou může být lék prodáván)
  - **Reguluje doplatky**
  - Stanovená na základě zahraničních cen daného produktu
  - Kalkulovaná jako průměr 3 nejnižších referenčního koše
- Úhrada (maximální cena, kterou zaplatí zdravotní pojišťovny)
  - **Reguluje náklady zdravotních pojišťoven**
  - Stanovení na základě zahraniční ceny, případně ceny jiného zaměnitelného přípravku
  - Kalkulovaná podle nejnižší ceny v Evropské Unii



# HODNOTÍCÍ PARAMETRY TECHNOLOGIE (ZÁKON 48/1997 – ZÁKON O VZP)

- a) jeho terapeutická účinnost a bezpečnost,
- b) závažnost onemocnění, k jejímuž léčení je určen,
- c) účastníkem řízení předložené **hodnocení nákladové efektivity** a dopadu na finanční prostředky zdravotního pojištění způsobeného užíváním léčivého přípravku nebo potraviny pro zvláštní lékařské účely, s vyjádřením nákladů na 1 pacienta a odhadovaný počet pacientů léčených za rok, a to v případech stanovení nebo změny výše a podmínek úhrady nebo hloubkové nebo zkrácené revize u léčivých přípravků nebo potravin pro zvláštní lékařské účely, u kterých je požadováno rozšíření podmínek úhrady vedoucí ke zvýšení počtu léčených pacientů, zvýšení úhrady oproti základní úhradě nebo 1 další zvýšená úhrada oproti stávajícímu stavu nebo oproti ostatním léčivým přípravkům nebo potravinám pro zvláštní lékařské účely v referenční skupině,
- d) veřejný zájem (§ 17 odst. 2),
- e) vhodnost cesty podání, lékové formy, síly a velikost balení,
- f) obvyklé dávkování,
- g) nezbytná délka léčby,
- h) míra součinnosti osoby, které je podáván,
- i) jeho nahraditelnost jiným léčivým přípravkem nebo potravinou pro zvláštní lékařské účely, hrazenou ze zdravotního pojištění a porovnání jejich cen a stanovených úhrad s cenou posuzovaného léčivého přípravku nebo potraviny pro zvláštní lékařské účely,
- j) předpokládaný **dopad úhrady na finanční prostředky** zdravotního pojištění,
- k) doporučené postupy odborných institucí a odborníků, a to vždy z hlediska nákladové efektivity a s ohledem na dopad na finanční prostředky zdravotního pojištění.

# HODNOTÍCÍ PARAMETRY TECHNOLOGIE (ZÁKON 48/1997 – ZÁKON O VZP)

- a) jeho terapeutická účinnost a bezpečnost,
- b) závažnost onemocnění, k jejímuž léčení je určen,
- c) účastníkem řízení předložené **hodnocení nákladové efektivity** a dopadu na finanční prostředky zdravotního pojištění způsobeného užíváním léčivého přípravku nebo potraviny pro zvláštní lékařské účely a vyříděním nákladů na 1 pacienta a odhadovaný počet pacientů léčených hloubkově pro zvláštní lékařské účely, u kterých je léčba prováděna u pacientů v kritickém zdravotním stavu nebo u pacientů s referenčními hodnotami
- d) veřejnosti dostupnost léčivého přípravku nebo potraviny
- e) vhodnost léčivého přípravku nebo potraviny
- f) obvyklé dávkování léčivého přípravku nebo potraviny
- g) nezbytnost léčivého přípravku nebo potraviny
- h) míra souvisejících zdravotních rizik
- i) jeho nahraditelnost jiným léčivým přípravkem nebo potravinou pro zvláštní lékařské účely, hrazenou ze zdravotního pojištění a porovnání jejich cen a stanovených úhrad s cenou posuzovaného léčivého přípravku nebo potraviny pro zvláštní lékařské účely,
- j) předpokládaný **dopad úhrady na finanční prostředky** zdravotního pojištění,
- k) doporučené postupy odborných institucí a odborníků, a to vždy z hlediska nákladové efektivity a s ohledem na dopad na finanční prostředky zdravotního pojištění.

Česká republika je zemí velmi zaměřenou na nákladovou efektivity a dopad do rozpočtu

**Relative Effectiveness**

**Cost/QALY**

**Country**

**France, Germany  
Japan, Taiwan**

**UK, Canada  
Australia, Korea**

**Concept**

**'Clinical benefit' evaluation  
then  
Price negotiation on "added  
value" (and Budget impact)**

**Cost/QALY vs.  
ICER Threshold  
(and Budget Impact)**

**Considerations**

Comparator  
choice key

Capacity &  
readiness

Technical  
challenges (data,  
ICER threshold)

Resource  
intensive

Relatively  
Transparent

More readily  
understood by  
stakeholders

Data 'hungry'

Difficult for some  
stakeholders to  
understand



**Country-specific fit  
(NO ONE SIZE FIT ALL)**

**Fit for purpose**

<b>Assessment model</b>  <b>Decision approach</b>	<b>Relative Effectiveness</b> <i>Clinical added value + price negotiation</i> <b>(2 step)</b>	<b>Cost/QALY</b>  <i>Cost effectiveness</i> <b>(1 step)</b>
<b>Ex-Post</b> <i>(After launch)</i>	<b>Germany</b>	<b>UK</b>
<b>Ex-Ante</b> <i>(Before Launch)</i>	<b>France</b>	<b>Australia</b>

# HTA ≠ ROZHODNUTÍ O ÚHRADĚ

<b>Efficacy and safety (RCT)</b>	<b>(Socio-)political aspects</b>
<b>Relative effectiveness</b>	<b>Cost-effectiveness</b>
<b>Budget impact</b>	<b>Patient/citizen perspective (?)</b>
<b>Industry support (?)</b>	<b>Additional considerations (Orphan drugs..)</b>



**HTA nebo jiná forma  
systematického  
posouzení**



**Rozhodovací orgán pro  
rozhodnutí o úhradě**

# STANDARDNÍ HTA V ČESKÉ REPUBLICE

Efficacy and safety (RCT)	(Socio-)political aspects
<del>Relative effectiveness</del>	Cost-effectiveness

HTA nebo jiná forma  
systematického  
posouzení

Budget impact	<del>Patient/citizen perspective (?)</del>
Industry support (?)	<del>Additional considerations (Orphan drugs..)</del>

Zdravotní  
pojišťovny

# „EFFICACY“ A „EFFECTIVENESS“



## Efficacy

Efficacy – kontrolované studie:  
*Vysoký standard , selekce pacientů ,  
málo chyb, vysoký podíl vyloučených ze  
studie*



## Effectiveness

Effectiveness - pragmatické studie:  
*Blíže reálnému životu, méně standardizované*

# VÝSLEDEK ZHODNOCENÍ SUKL



V dnešní době mají prakticky všechny nově vstupující molekuly nějakou míru slevy.

Reální náklady na léky jsou nižší vs. publikované



# SDÍLENÍ RIZIK

- **Risk-sharing agreements**
  - Dohoda o sdílení rizika, nejčastěji mezi výrobcem a plátcem/regulátorem
  - Musí být vyvážené riziko z obou stran a měřitelné výstupy
- **Managed entry agreements (MEAs) = řízený vstup**
- **Performance-based, outcomes-based agreements**
  - Úhrada je odvozena od měřitelného parametru
  - Je závislá na dosažení určitého „outcome“
- **Vs. coverage with evidence development**  
dočasná/podmíněná úhrada

# VÝHODY A NEVÝHODY V PRAXI

	VÝHODY	NEVÝHODY
<b>Výrobce</b>	Rychlejší vstup na trh Optimalizace použití produktu (cost/benefit)	Další náklady/administrativa Payback/discounts Effectiveness může být srovnávána s efficacy konkurenčního produktu
<b>Plátce</b>	Maximalizace „value“ Dostupnost pro pojištěnce Kontrola rozpočtu Snížení nejistoty	Další náklady/administrativa Obtížné opouštění již jednou zavedené léčby
<b>Pacient/společnost</b>	Rychlejší přístup ke slibným intervencím Investice sledují inovace	Překážky přístupu (specializovaná centra) Obtížné opouštění již jednou zavedené léčby

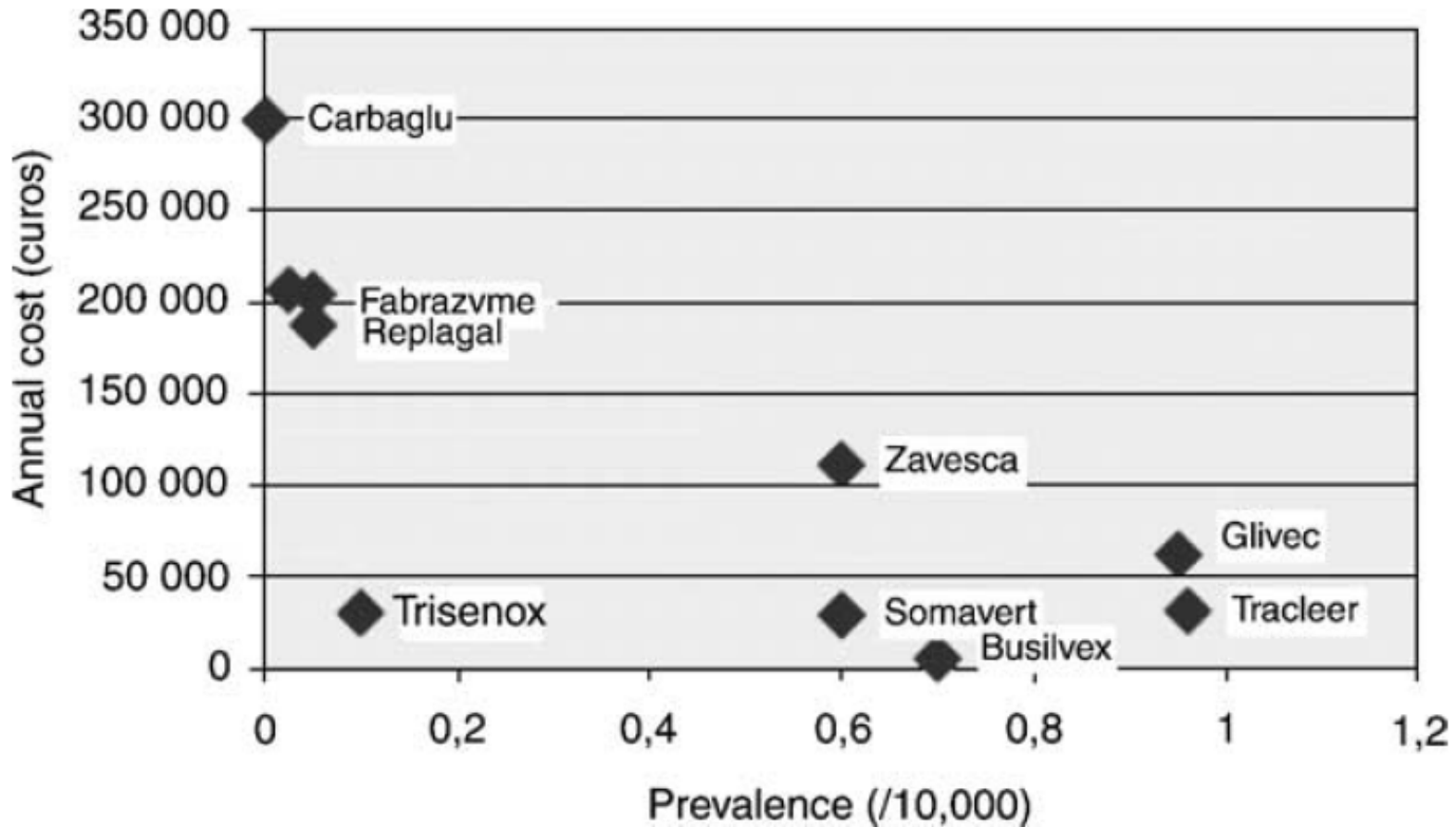
# SYSTÉMY SDÍLENÉHO RIZIKA

- **Buget cap**
  - Často Francie, dohodou je určen strop nákladů na léky, výrobce většinou vrací převis zpět (payback)
- **Effective discount**
  - Zastropování dávky beze změny ceny (Lucentis, Stelara – UK)
- **Outcomes uncertainty**
  - UK MS Drug Scheme – nejistota CUA v nákladech/QALY
  - Austrálie – úhrada bosentanu navázána na přežití pacienta v observační studii
  - USA-záruka vrácení peněz při nedosažení efektu (atorvastatin)
- **Subgroup uncertainty**
  - Identifikace respondérů, např. UK Velcade – úhrada respondérů, zpětné zaplacení non-respondérů výrobcem

# ORPHAN DRUGS (VÝSKYT 5/10 000)

- Drahé léky pro vzácná onemocnění
  - takto hodnoceno až 5.000 diagnóz !
  - do nedávné doby nebyla specifická terapie
  - nákladný vývoj x omezená cílová skupina/zisk
  - monopolní postavení výrobce/atypický trh
  - velké politické téma
- dříve nebyly FE hodnoceny
  - ↑ počet ..... ↑ potřeba ekonomického zhodnocení
  - ↑ nákladů - ↓ zdroje na jiné dg. (UK) “opportunity cost”

# VÝSKYT A NÁKLADY NA OD



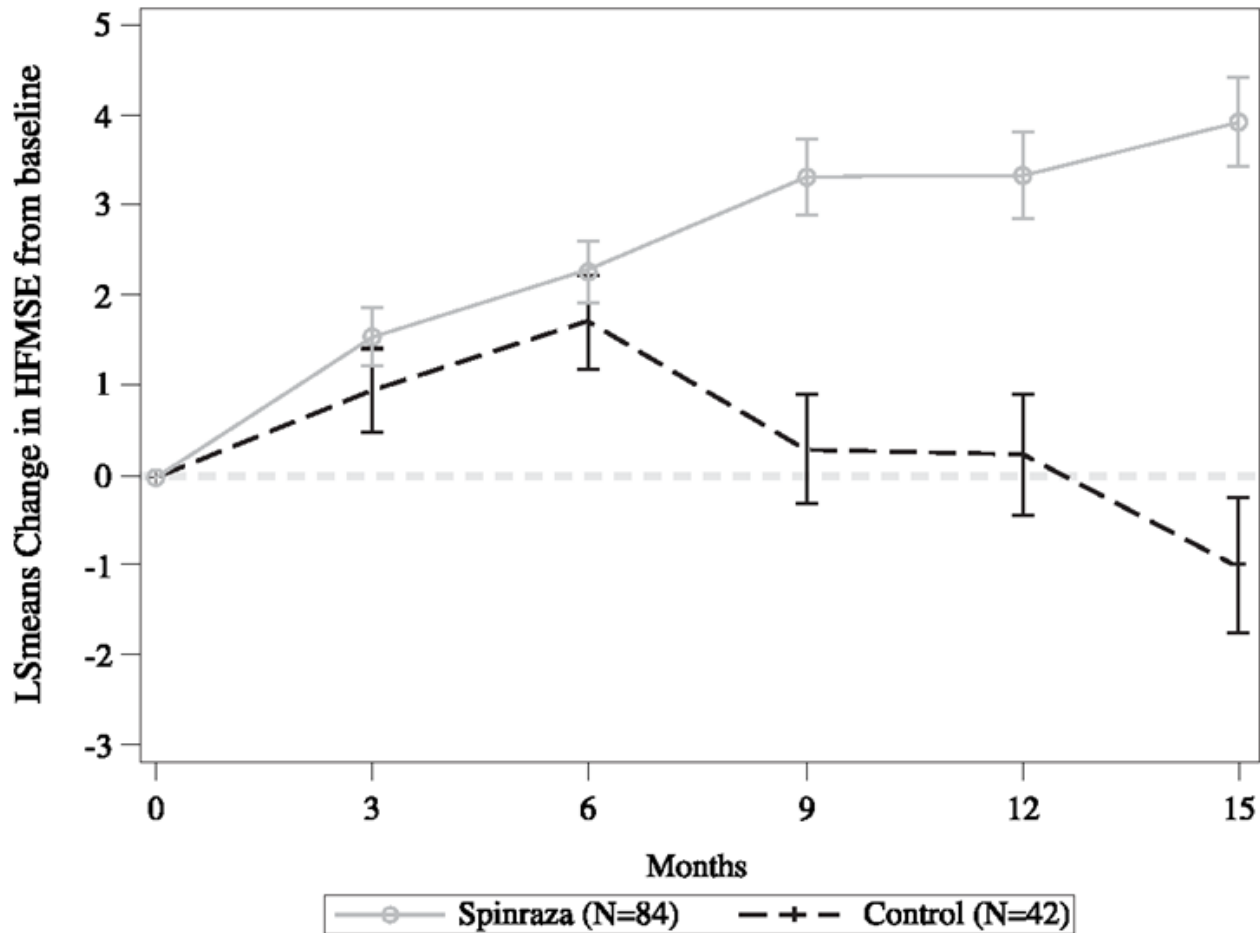
## ORPHAN DRUGS – PŘÍKLADY UK

<b>Terapie</b>	<b>Choroba</b>	<b>Náklady /pacient /rok</b>	<b>Cena/ QALY</b>	<b>Počet pacientů</b>
<b>imiglucerasa</b>	Gaucher	90.000 GBP	400.000	250
<b>agalsidasa</b>	Fabry	119.000 GBP	252.000	150
<b>laronidasa</b>	Mukopoly- sacharid.	450.000 GBP	? >450.000	100

# HRAZENÍ ORPHAN DRUGS ZE ZDRAVOTNÍCH ROZPOČTŮ

- Nelze aplikovat pravidla HTA
- Ve sporu nákladová efektivita a preference společnosti („societal value“)
- Vysoký ICER, ale malý dopad na rozpočet (budget impact)
  
- V České republice od 1.1.2022 „zvláštní pravidla“

# Spinální svalová atrofie (Spinraza)



<sup>1</sup>Data for patients without a Month 15 visit were imputed using the multiple imputation method

<sup>2</sup>Error bars denote +/- standard error



# Výsledky CUA - SPINRAZA

	náklady (Kč)	inkrementální náklady (Kč)	přínosy (QALY)	inkrementální přínosy (QALY)	ICER (Kč/QALY)
nusinersen	45 435 983		1,78		
standardní péče	575 576	44 860 407	0,67	1,11	40 589 736

1 dávka léku cca 2,5 Mil Kč

- První rok 6 dávek
- Další roky 3 dávky

# Počet pacientů k léčbě SPINRAZA

	1. rok	2. rok	3. rok	4. rok	5. rok
prevalence (počet pacientů celkem) typu I-III	84	84	84	84	84
počet typ I	18	18	18	18	18
počet typ II	39	39	39	39	39
počet typ III	27	27	27	27	27

	1. rok	2. rok	3. rok	4. rok	5. rok
počet živě narozených dětí	-	114 250	115 099	115 948	116 796
incidence (1:8000)	-	14	14	14	15
zahajující léčbu typ I		3	3	3	3
zahajující léčbu typ II		7	7	7	7
zahajující léčbu typ III		4	4	4	5

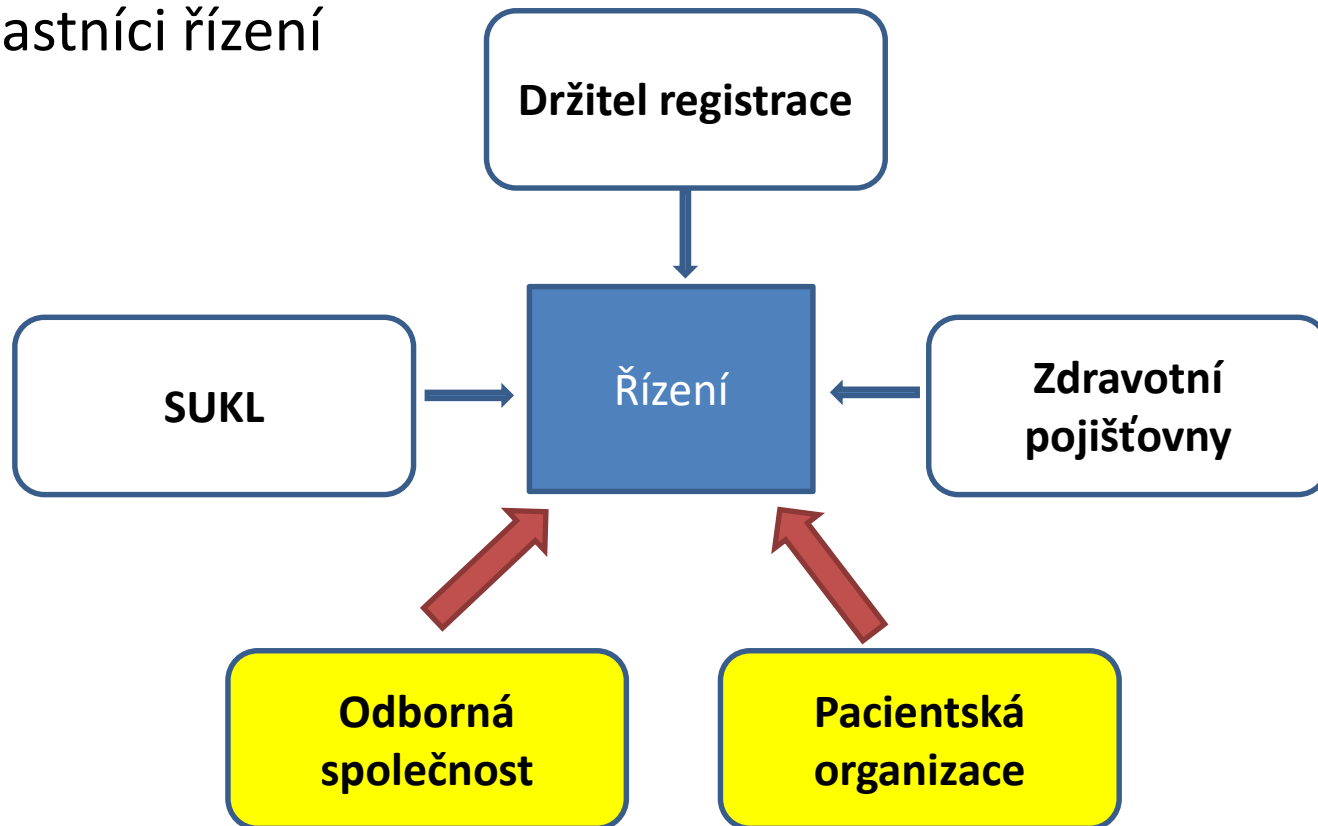
	1. rok	2. rok	3. rok	4. rok	5. rok
náklady na 6 dávek LP Spinraza včetně nákladů na podání	14 918 480				
náklady na 6 dávek LP Spinraza - pouze farmakoterapie	<b>14 914 767</b>				
náklady na 3 dávky LP Spinraza včetně nákladů na podání	7 459 240				
náklady na 3 dávky LP Spinraza - pouze farmakoterapie	<b>7 457 384</b>				
počet pacientů zahajujících léčbu	14	7	3	3	3
počet pacientů léčených v dalších letech	0	11	15	15	15
náklady na farmakoterapii <b>typ I</b>	214 772 647	183 444 738	156 764 271	156 930 384	157 096 497
náklady celkem pacienti <b>typ I</b>	214 826 116	183 490 408	156 803 298	156 969 452	157 135 607
počet pacientů zahajujících léčbu	31	14	7	7	7
počet pacientů léčených v dalších letech	0	25	32	32	32
náklady na farmakoterapii <b>typ II</b>	465 340 736	397 996 106	340 192 381	340 556 248	340 920 115
náklady celkem pacienti <b>typ II</b>	465 456 585	398 095 188	340 277 073	340 641 031	341 004 988
počet pacientů zahajujících léčbu	22	10	4	4	5
počet pacientů léčených v dalších letech	0	17	23	23	22
náklady na farmakoterapii <b>typ III</b>	322 158 971	274 634 601	234 609 945	234 855 159	235 100 374
<del>náklady celkem pacienti <b>typ III</b></del>	<del>322 239 174</del>	<del>274 702 973</del>	<del>234 668 352</del>	<del>234 913 628</del>	<del>235 158 904</del>
<b>náklady na farmakoterapii</b>	<b>1 002 272 354</b>	<b>856 075 445</b>	<b>731 566 596</b>	<b>732 341 791</b>	<b>733 116 986</b>
<b>náklady celkem</b>	<b>1 002 521 875</b>	<b>856 288 569</b>	<b>731 748 723</b>	<b>732 524 111</b>	<b>733 299 499</b>

# HRAZENÍ ORPHAN DRUGS (NOVELA 48/1997)

- Posuzuje se:
  - Účinnost a bezpečnost
  - Závažnost onemocnění pro které je určen
  - Nenahraditelnost z prostředků veřejného zdravotního pojištění
  - **Celospolečenský význam možnosti ovlivnění onemocnění a dopady na zdravotní a sociální zabezpečení**
  - **Přínos přípravku na zlepšení kvality života**
  - **Možnosti pro zajištění poskytování léčby**
  - Doporučené postupy odborných společností
  - **Podmínky úhrady (navrhovaná schémata sdílení rizik ze strany držitele registrace)**
  - Analýza nákladové efektivity
  - Analýza dopadu do rozpočtu

# NOVELA ZÁKONA 48/1997

- Účastníci řízení



Pacientská organizace musela vzniknout před nejméně 12 měsíci a musí sdružovat pacienty s daným onemocněním

# ROLE ODBORNÝCH SPOLEČNOSTÍ A PACIENTŮ

- Odborná společnost: Role medicínského experta
- Pacientské organizace:
  - Pro důkazy – pacienti s daným onemocněním
    - Předkládají důkazy zejména o kvalitě života, dopadech na rodinu, sociálních omezeních
  - Pro hlasování – pacienti bez daného onemocnění

# POSUZOVACÍ/ROZHODNUTÍ PROCES

- Posouzení:
  - Jako dosud, SUKL připraví podklady, pacienti jejich evidenci
- Rozhodnutí:
  - Ministerská komise
  - Shrnou předložené a vyjádření odborníků
  - Rozhodnou o slevě, podmínkách úhrady, centrech...
  - Proti tomuto rozhodnutí není odvolání
  - Pokud negativní rozhodnutí, držitel registrace může znovu žádat až s odstupem