



HTA A FARMAKO-EKONOMIKA V ROZHODOVANÍ O ÚHRADE LIEKOV NA SLOVENSKU

ČO JE FARMAKO-EKONOMIKA A PREČO JE DŮLEŽITÁ

Farmako-ekonomika je nástroj, ktorý porovnáva, čo liečba prináša pacientom a čo stojí systém verejného zdravotného poistenia. Pomáha rozhodovať v prostredí obmedzených zdrojov. Jej cieľom nie je nájsť „najlacnejší“ liek, ale posúdiť, či je nová liečba primeraná svojej cene v porovnaní s už hradenou alternatívou. Výsledok závisí od viacerých predpokladov – od zvoleného komparátora, kvality dát, časového horizontu, nastavenia modelu aj od miery neistoty. Preto FE nie je jedno číslo, ale analytický rámec, ktorý má byť konzistentný, transparentný a overiteľný.

KDE MÁ FE A HTA MIESTO V ROZHODOVANÍ

HTA je širší proces ako samotná farmako-ekonomika. Zahŕňa posúdenie klinického prínosu, bezpečnosti, nákladovej efektívnosti, dopadu na rozpočet a praktickej realizovateľnosti v systéme.

Na Slovensku Držiteľ registrácie predkladá FER, odborné hodnotenie pripravuje NIHO a komplexné podklady posudzuje MZ SR. Konečné rozhodnutie o úhrade nerobí HTA inštitúcia, ale štát ako regulátor.

Dôležité je odlíšiť hodnotenie (assessment), teda odbornú analýzu dôkazov, od posúdenia (appraisal), teda rozhodnutia, ktoré môže okrem analýzy zohľadniť aj širšie systémové faktory.

AKO FUNGUJÚ HTA AGENTÚRY V ZAHRANIČÍ

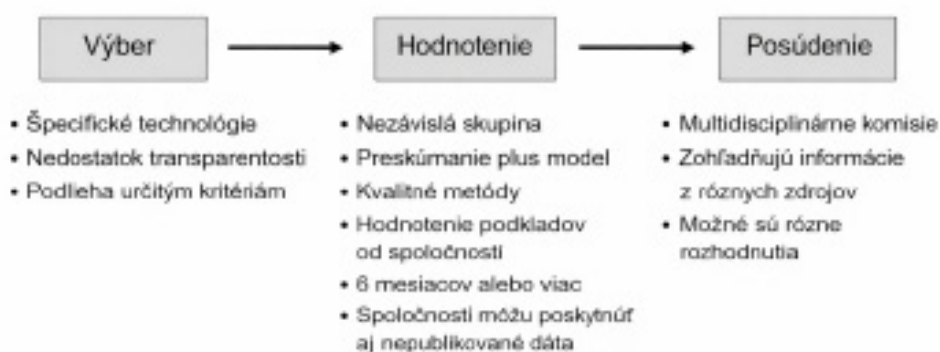
Väčšina európskych HTA agentúr nevydáva právne záväzné rozhodnutia. Ich úlohou je pripraviť odborné odporúčanie; konečné rozhodnutie zvyčajne robí ministerstvo zdravotníctva, poisťovňa alebo iný platca. Kľúčové číslo - 81 % - HTA odporúčaní nie je právne záväzných hovorí, že vo väčšine krajín sa môže tvorca politiky odkloniť od záverov HTA agentúry. HTA teda v praxi často slúži ako podklad do diskusie, nie ako definitívne rozhodnutie.

Z porovnania 14 európskych krajín vyplýva, že 36 % krajín má nezávislú inštitúciu mimo vládnych štruktúr, 50 % krajín využíva vládnu agentúru alebo štátneho regulátora, v 50 % krajín rozhoduje ministerstvo zdravotníctva a v 50 % krajín poisťovňa, NHS alebo iná agentúra. Záväzné HTA odporúčania má len 1 z 14 krajín (UK).

To znamená, že právna nezáväznosť HTA nie je zlyhanie systému, ale bežný európsky model. Úlohou HTA je dodávať dôkazy a analytický podklad, nie nahradiť rozhodovanie štátu.

Často referencovanou krajinou je Anglicko a hodnoteniaca agentúra NICE, ktorá vydáva hodnotenie a odporúčanie. Jeho odporúčania sú záväzné – NHS je zo zákona povinná financovať lieky a postupy, ktoré NICE odporučí. Ak NICE odporučí liečbu ako možnosť, NHS ju musí sprístupniť do 3 mesiacov od zverejnenia odporúčania. Proces v Anglicku je však diametrálne odlišný od slovenského prostredia a nie je presne prenositeľný do slovenskej praxe.

Proces NICE



ZDROJ: The University of York (Centre for Health Economics)

Anglický systém NICE využíva tzv. Evidence Assessment Groups (EAG) – nezávislé akademické skupiny, ktoré technicky a metodicky hodnotia klinické a farmako-ekonomické dôkazy. EAG nevydáva rozhodnutie, ale systematicky testuje predpoklady, scenáre a neistoty, ktoré sú podkladom pre neskoršie posúdenie. Tento model funguje vďaka dlhodobo vybudovanej akademickej infraštruktúre, striktnej delbe medzi hodnotením (assessment) a posúdením (appraisal) a akceptácii neistoty ako štandardnej súčasti rozhodovania.

ČO JE DÔLEŽITÉ PRI INTERPRETÁCII FE VÝSLEDKOV

Výsledok farmako-ekonomického hodnotenia vzniká modelovaním a pracuje s neistotou. Kľúčové otázky preto nie sú len „aký je výsledok“, ale najmä:

- aké dáta boli použité,
- či sú relevantné pre slovenský kontext,
- či je jasne určený komparátor,
- ako sa pracovalo s neistotou,
- či sú predpoklady transparentné a reprodukovateľné.

Je metodika konzistentná, transparentná a overiteľná?

PRAKTICKÉ OTÁZKY, KTORÉ SA V PROCESE OPAKUJÚ

V praxi sa pri hodnoteniach objavujú aj otázky, ktoré vplývajú na predvídateľnosť procesu. Najčastejšie ide o odhad počtu pacientov vhodných na liečbu, prácu s neistotou pri neúplných klinických dátach, mieru akceptácie analytických prístupov používaných v iných krajinách a dodržiavanie zákonných lehôt.

Z pohľadu predkladateľov podkladov je citlivou témou najmä to, či sa podobné prípady posudzujú podobne a či sú odborné výhrady vysvetlené jasne a konzistentne. Z pohľadu štátu je zároveň legitímne chrániť verejné zdroje, overovať realistickosť predpokladov a zohľadňovať neistotu dôkazov.

KDE VZNIKÁ NESÚLAD V SLOVENSKEJ PRAXI

V hodnoteniach sa opakovane objavujú situácie, ktoré by mali byť predmetom diskusie medzi predkladateľmi a hodnotiteľom:

- zjednocovanie prínosov medzi hodnotenou intervenciou a komparátorom,
- podhodnocovanie počtu pacientov, čo môže znížovať limit úhrad,
- nevykonanie plnohodnotného hodnotenia, aj keď boli predložené podklady, s odkazom na neistoty v dátach,
- neakceptovanie niektorých analytických výstupov alebo technických nastavení používaných v zahraničí,
- nedodržiavanie lehôt, čo oslabuje predvídateľnosť a právnu istotu procesu.

Neoddeliteľnou súčasťou hodnotenia by mala byť aj adekvátna interpretácia klinických dôkazov a porozumenie klinickému kontextu ochorenia. V praxi sa opakovane objavujú situácie, kde nedostatočné klinické porozumenie vedie k podhodnocovaniu prínosu nových liekov – napríklad práve prostredníctvom zjednocovania klinických prínosov hodnotenej intervencie a komparátora. Takýto prístup môže viesť k de facto popretiu klinického prínosu nového lieku, aj keď tento prínos preukázateľne existuje.

Zároveň je potrebné reflektovať, že klinické dáta môžu byť v čase rozhodovania limitované, čo je prirodzená súčasť vývoja inovatívnych terapií a farmako-ekonomického hodnotenia. Skutočnosť, že údaje nesú mieru neistoty, by nemala sama o sebe viesť k odmietaniu klinického prínosu, pokiaľ bol liek schválený Európskou liekovou agentúrou (EMA) na základe kladného posúdenia pomeru prínosu a rizika. HTA proces by preto nemal spochybňovať samotnú účinnosť lieku potvrdenú regulátorom, ale pracovať s neistotou transparentne a konzistentne v rámci analytického hodnotenia.

Zároveň platí, že samotná existencia odborného nesúhlasu nie je problém. Kľúčové je, aby sa pravidlá uplatňovali rovnako, odôvodnene a transparentne. V tomto prípade je obzvlášť dôležitý dialóg medzi predkladateľom a hodnotiteľom, ktorý by mal byť súčasťou konania. Tento mechanizmus by umožnil riešiť odborné neistoty priebežne. Tento dialóg funguje napríklad aj v Českej republike, kde je umožnená odborná diskusia medzi predkladateľom a hodnotiteľom.

Hodnotenie respektíve úlohu NIHO v hodnotení zdravotníckych technológií na účely kategorizácie upravuje zákon 358/2021 o Národnom inštitúte pre hodnotu a technológie v zdravotníctve a o zmene a doplnení niektorých zákonov v znení neskorších predpisov. Tento zákon okrem iného vymedzuje pojem, čo je odborné hodnotenie, aké má súčasti, a v akej časovej lehote má byť hodnotenie vydané. V zmysle zákona sa hodnotením zdravotníckych technológií rozumie analyzovanie ich klinického prínosu a ekonomickej hodnoty tohto prínosu a analyzovanie zdravotníckych technológií zo sociálno-pacientskeho, organizačného, právneho a etického hľadiska, inak povedané, odborné hodnotenie má popísať nie len klinického prínosu ale aj ekonomickú hodnotu.

Tento zákon zároveň ukladá lehotu na vydanie odborného hodnotenia, pričom sa berie do úvahy prípad, ak je konanie zo strany ministerstva prerušené. V praxi sa však často stretávame s tým, že zákonom stanovená lehota nie je dodržaná a dochádza k prieťahom v hodnotení.

Od septembra 2024, respektíve od zmeny legislatívy 1.8.2024, keď všetky kompetencie hodnotiť prešli na NIHO, sú zverejňované aj tzv. zrýchlené hodnotenia (tento pojem nemá legislatívnu oporu).

V prípade tzv. zrýchlených hodnotení NIHO uvádza nasledovné vysvetlenie: *„Toto hodnotenie nie je štandardným hodnotením NIHO. Ide o zrýchlené hodnotenie zdravotníckej technológie v indikácii, v ktorej je na základe žiadosti predpokladaný relatívne nižší čistý dopad na rozpočet VZP. Aplikovanie rozdielného prístupu k rozsahu hodnotení (teda používanie tzv. „adaptívneho hodnotenia zdravotníckych technológií“) z dôvodu dopadu na rozpočet je používané aj v zahraničí. Cieľom je efektívne zameranie analytických kapacít najmä na technológie s najväčším dopadom na rozpočet a rýchlejšia dostupnosť nových technológií pre pacientov. Rovnako ako pri štandardnom hodnotení, aj pri zrýchlenom hodnotení NIHO dbá na dodržanie všetkých platných právnych predpisov. Rozdiel oproti štandardnému hodnoteniu spočíva v rozsahu relevantných zdrojov, ktoré NIHO preveruje, v hĺbke ich preverovania a v rozsahu písaného textu v hodnotení. V zrýchlenom hodnotení napríklad neuvádzame všetky údaje a nastavenia držiteľa registrácie verejne dostupné vo farmako-ekonomickom rozbore, ale iba stanoviská NIHO k jednotlivým aspektom.“*

Vzhľadom na to, že tento postup nemá legislatívnu oporu a nie je jasné čo znamená „relatívne nižší čistý dopad na rozpočet VZP“, tento postup NIHO môže byť vnímaný ako netransparentný a nepreskúmateľný.

ODKLON OD ODBORNÉHO HODNOTENIA JE MOŽNÝ, ALE MÁ BYT ZDÔVODNENÝ

Slovenská legislatíva umožňuje, aby sa konečné rozhodnutie od odborného odporúčania odklonilo. Takýto postup má zákonnú oporu, no mal by byť riadne odôvodnený. To je dôležité aj z pohľadu transparentnosti, aj z pohľadu dôvery v systém, a v neposlednom rade z pohľadu zabezpečenia procesných práv účastníkov konania garantovaných Ústavou SR, princípmi správnych konaní a právom EÚ (najmä Smernicou 89/105/EHS). Kategorizačné konanie je druh správneho konania, v ktorom musia byť zabezpečené práva účastníkov konania a žiaden z podkladov konania nemôže mať privilegované postavenie či byť nespochybniteľný. Preto je nevyhnutné, aby rozhodujúci správny orgán (MZ SR) mal možnosť kriticky sa vysporiadať aj s hodnotením NIHO.

ZÁVER

- HTA a farmako-ekonomika sú odborné nástroje, ktoré majú zlepšiť kvalitu rozhodovania o úhrade liekov, nie ho automaticky nahradiť.
- Väčšina európskych krajín funguje tak, že HTA pripraví odporúčanie a konečné rozhodnutie robí štát alebo platca.

ZOZNAM SKRATIEK

HTA – hodnotenie zdravotníckych technológií
FE – farmako-ekonomika
FER – farmako-ekonomický rozbor
NICE – Národný inštitút pre zdravie a výnimočnosť starostlivosti v Anglicku
NIHO – Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve
MZ SR – Ministerstvo zdravotníctva Slovenskej republiky
VZP – verejné zdravotné poistenie
ICER / ICUR – prírastkový pomer nákladov a efektívnosti / užitočnosti
QALY – rok života upravený o kvalitu
EMA – Európska lieková agentúra
ŠÚKL – Štátny ústav pre kontrolu liečiv

VYSVETLENIE POJMOV

Farmakoeconomika

- aplikácia ekonomických princípov na hodnotenie nákladov a výsledkov farmakoterapie s cieľom optimalizovať využitie zdravotníckych zdrojov¹
- multidisciplinárny odbor, kombinuje viaceré vedné odbory (medicínske vedy, farmácia, bioštatistika...)
- súčasť procesu hodnotenia zdravotníckych technológií – ide o jeden aspekt HTA.

Výsledkom FE

- najčastejšie farmako-ekonomický rozbor (FER), ktorého záverom je odhad nákladovej efektívnosti nového lieku v porovnaní s aktuálne hradenou liečebnou alternatívou (komparátor).
- najčastejšie vo forme ICER/ICUR (prírastkový pomer nákladov a efektívnosti/užitočnosti) je potrebné porovnať s prahovou hodnotou (ochota platiť).

Typy FE analýz a prahové hodnoty sú na Slovensku definované zákonom 363/2011.

- Pre dôveryhodný systém je kľúčové, aby boli metodika, lehoty a odôvodnenia rozhodnutí konzistentné, transparentné a predvídateľné.

Analýza užitočnosti nákladov (CUA) – výsledkom je ICUR

- **ICUR** je rozdiel nákladov na nový (A) a starý (B) liek vydelený rozdielom prínosov vyjadrených ako QALY nového (A) a starého (B) lieku

$$ICUR = \frac{Cost_A - Cost_B}{QALY_A - QALY_B}$$

- **QALY** – rok života štandardizovaný na kvalitu (quality adjusted life year) je kombinácia kvantity (dĺžky) a kvality života pacienta (ak človek prežije 1 rok života v kvalite 100 %, získal 1 QALY; ak však prežije 1 rok života v kvalite života 50 %, získava len 0,5 QALY). Umožňuje štandardizovať výsledky analýz naprieč rôznymi diagnózami (liek nemusí nevyhnutne predlžovať prežívanie, môže však významne zlepšovať kvalitu života). Číslo, ktorým sa „váži“ dĺžka prežívania z hľadiska kvality života, odborne nazývame aj utilitou.

Výsledky analýzy s časovým horizontom dlhším ako rok, bývajú diskontované – aplikovaním,

tzv. diskontnej sadzby – ide o ekonomický koncept zohľadňovania tej skutočnosti, že budúce prínosy/náklady sú „menej cenné“ ako súčasné prínosy/náklady.

Prahová hodnota nákladovej efektívnosti – ochota platiť (willingness-to-pay), hodnota, ktorú ICUR nesmie prekročiť, ak má byť liek považovaný za nákladovo efektívny. Na Slovensku existuje viacero hladín prahových hodnôt pre špecifické skupiny liekov.

Perspektíva analýzy – definuje, z akého pohľadu je analýza vykonaná. Na Slovensku sa analýzy spravidla vykonávajú z perspektívy platcu zdravotnej starostlivosti (zdravotných poisťovní). To znamená, že do úvahy sa neberú dôsledky (napr. nákladové) spojené s pracovnou neschopnosťou, či invaliditou pacienta, ani aspekty súvisiace napr. s opatrovatelmi pacientov (tzv. sociálna, prípadne celospoločenská perspektíva).

Analýza minimalizácie nákladov (CMA) – typ analýzy vhodný v prípade, keď sa porovnávajú intervencie s rovnakou predpokladanou účinnosťou a bezpečnosťou. Rozhodujúci je potom náklad na liek a liečbu.

¹ Drummond, M. F., Sculpher, M. J., Claxton, K., Stoddart, G. L., & Torrance, G. W. (2015). Methods for the economic evaluation of health care programmes (4th ed.). Oxford University Press.