

ABSTRAKT

Univerzita Karlova v Praze, Farmaceutická fakulta v Hradci Králové

Katedra Katedra sociální a klinické farmacie

Kandidát **Mgr. Eva Ornstová**

Konzultant **PharmDr. Jan Kostřiba, Ph.D.**

Název rigorózní práce **PARAMETRY HODNOCENÍ LÉČIV K TERAPII VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ**

KLÍČOVÁ SLOVA:

vzácná onemocnění, hodnocení zdravotních intervencí, zdravotní politika, léková politika

CÍL

Cílem této studie bylo hodnotit vliv zahrnutých kritérií v hodnocení zdravotnických technologií (HTA) na výsledný přínos léčiv. Dopad multikriteriálního hodnocení byl studován zejména ve vztahu k léčivým přípravkům pro vzácná onemocnění. Dalším cílem bylo prozkoumat, která kritéria jsou v hodnocení přínosu léčby nejdůležitější, a změřit rozdíly v pohledu na hodnotové preference mezi třemi skupinami dotčených respondentů v České republice.

METODIKA

Panelem expertů byl vybrán soubor 10 kritérií a definovány 3 modelové typy léčby. Během dvoukolového dotazníkového šetření byli jako respondenti osloveni vysoce kvalifikovaní zástupci třech dotčených stran (pacientů nebo jejich pečovatелů, lékařů a autorit z řad úředníků). V prvním kole respondenti stanovili váhu každému kritériu na stupnici od 1 do 7. Ve druhém kole respondenti ohodnotili modelovou léčbu podle jejího výsledku dosaženého v rámci každého kritéria. Normalizované váhy byly kombinovány s hodnotou skóre a agregovány pro všechna hodnocená kritéria. Modelové příklady léčby byly následně seřazeny podle celkové zjištěné hodnoty. Dále byly detekovány rozdíly mezi preferencemi jednotlivých skupin respondentů. Ke stanovení statistických rozdílů byl použit Kruskal-Wallisův test (dvoustranný).

Pořadí modelové léčby dle celkové hodnoty bylo porovnáno s pořadím vyplývajícím z použití omezeného souboru kritérií. U léčby na vzácné onemocnění byla pozorována změna celkové hodnoty přínosu léčby s a bez zahrnutí více kritérií. Byly použity základní deskriptivní statistické metody (aritmetický průměr, medián, maximální a minimální hodnota).

VÝSLEDKY

Studii dokončilo 27 (v prvním kole) a 13 respondentů (v druhém kole). Klinická účinnost a kvalita života byly kritérii s nejvyššími preferencemi ve všech skupinách respondentů (relativní váha \square 11,5 %). Autority udaly výrazně vyšší váhu kritériu nákladová efektivita a dopad na rozpočet. Všechny tři skupiny respondentů se shodly na důležitosti těchto kritérií: délka života, kvalita života, nenaplněná potřeba a bezpečnost ($p > 0,31$). V dalších šesti kritériích ke shodě preferencí nedošlo ($p < 0,03$). Léčba pro vzácné onemocnění prokázala v multikriteriálním hodnocení nejvyšší hodnotu mezi srovnávanými modelovými příklady léčby, ale při použití omezeného souboru kritérií (pouze nákladové efektivity a dopadu na rozpočet) se ukázal opak – v pořadí nejnižší hodnota.

ZÁVĚR

Multikriteriální hodnocení může v HTA prokázat hodnotu a celkový přínos léčby v případech, kdy není možné sestavit standardní analýzu nákladové efektivity nebo analýza nákladové efektivity není klíčem k posouzení celkové hodnoty (např. u léčivých přípravků pro vzácná onemocnění). Hodnocení přínosu léčiv může být zúžením zahrnutých kritérií zásadně ovlivněno. Celkově vyšší společenská hodnota některých léčiv nemusí být v tomto případě plně oceněna, jak se někdy stává v českém procesu stanovení úhrady. Akcent na jednotlivá kritéria pro měření hodnoty vyjádřený vahou kritérií se mezi reprezentanty jednotlivých zájmových skupin výrazně lišil, a proto by v ideálním případě měl být zohledněn všestranný pohled.