

Název rigorózní práce **Parametry hodnocení léčiv k terapii vzácných onemocnění**
Uchazeč **Mgr. Eva Ornstová**
Oponent **PharmDr. Jiří Klimeš, PhD, MBA**

Posudek oponenta rigorózní práce

Cílem práce bylo hodnotit vliv různých 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.

Práce v teoretické části je hodnotově obsáhlá, autorka se v obecné části věnuje poměrně mnoha aspektům hodnocení léčiv, včetně HE analýzám, což je možná i nad rámce zaměření samotné práce a činí tak dílo velice rozsáhlým. Velice zajímává a přínosná je část týkající se samotné MCDA a Definice hodnoty ve zdravotnictví.

Metodika praktické části práce zahrnovala identifikaci souboru o 10 kritériích (dle panelu expertů) a definovány byly 3 modelové typy léčby. Během dvoukolového dotazníkového šetření byli jako respondenti osloveni vysoce kvalifikovaní zástupci třech stake-holders (pacienti, lékaři, HTA autorita). Nejprve byla stanovena váha jednotlivých kritérií, ve druhém kole byly hodnoceny modelové příklady léčby.

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.

V praktické části pak velice chválím výběr jednotlivých stake-holders a sady pro výběr kritérií. Co bych mohlo práci ještě dále pozvednout je například uvedení konkrétních referencí pro definice jednotlivých kritérií.

Autorka závěrem uvádí: MCDA může být nástrojem pro hodnocení/ posuzování intervencí 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).

Práce je dle mého posouzení velice aktuální a do praxe přínosná, což hodnotím velice pozitivně!

K samotné práci mám prosím tyto dotazy, které budou předmětem diskuze při závěrečné obhajobě:

- 1) Výběr jednotlivých kritérií - jsou pro Vás tyto dostatečné nebo naopak je jejich seznam velice široký a potenciálně hrozí jejich vzájemné ovlivňování? Mohla byste prosím toto adresovat?
- 2) Modelové příklady onemocnění a terapie
 - a. Jak byly tyto voleny; jsou za Vás reprezentativní, a lze tak na nich udělat hlubší závěry ke všem intervencím
- 3) Vaše doporučení do praxe a další kroky ve výzkumu