

# 13. Zber a analýza dát. Prezentácia a používanie výsledkov

6MMEH1

Metody ekonomického hodnocení zdravotnických programů

**doc. Ing. Peter Pažitný, MSc. PhD.**



EVROPSKÁ UNIE  
Evropské strukturální a investiční fondy  
Operační program Výzkum, vývoj a vzdělávání

**MŠMT**  
MINISTERSTVO ŠKOLSTVÍ,  
MLÁDEŽE A TĚLOVÝCHOVY



# Obsah

1. Zber a analýza dát
2. Ekonomické hodnotenie a klinické štúdie
3. Pragmatické štúdie pre ekonomické hodnotenie
4. Modelovacie štúdie - prístupy a problémy
5. Formáty reportovania pre ekonomické hodnotenie
6. Transfer ekonomického hodnotenia z jedného nastavenia (podmienok) do iného nastavenia (podmienok)
7. Používanie ekonomického hodnotenia v rozhodovacom procese



# 1. Zber a analýza dát – dáta o účinnosti

Je veľmi dôležité zdôrazniť, že ekonomické hodnotenie zdravotníckeho programu je iba tak dobré ako dáta o účinnosti, na ktorých je postavené.

Dôkazy o účinnosti programu porovnané s inou alternatívou sú nevyhnutným základom ekonomického hodnotenia

Kľúčové kritériá

1. Skreslenie
2. Presnosť
3. Relevantnosť



# 1. Zber a analýza dát – Validita

## Validita

- RCT majú zvyčajne vysokú mieru *internej validity* – miera, v akej výsledky štúdie presne odrzkadľujú kauzálny vzťah medzi intervenciou a výsledkom v konkrétnych podmienkach danej štúdie
- Na druhej strane, dáta z RCT môžu mať nízky stupeň *externej validity* – miera, v akej môžu byť výsledky dosiahnuté v určitých podmienkach zovšeobecnené (aplikované) na iné podmienky (napr. v skutočnom svete)



# 1. Zber a analýza dát – Validita

Napätie medzi internou a externou validitou môžeme rámcovať aj ako dilemu medzi skreslením a presnosťou:

- Čím je štúdia viac kontrolovaná, tak odstraňujeme skreslenie za cenu zníženie relevantnosti pre bežný život
- Naopak, nekontrolovaná štúdia (napr. Observačná štúdia) produkuje dôkazy relevantné pre praktický život, ale môže niesť skreslenie pre vykonanie kauzálnych vzťahov

# 1. Zber a analýza dát – Validita



## Internal Validity

Did the experiment measure what it set out to do? – Did the IV produce the change in the DV?



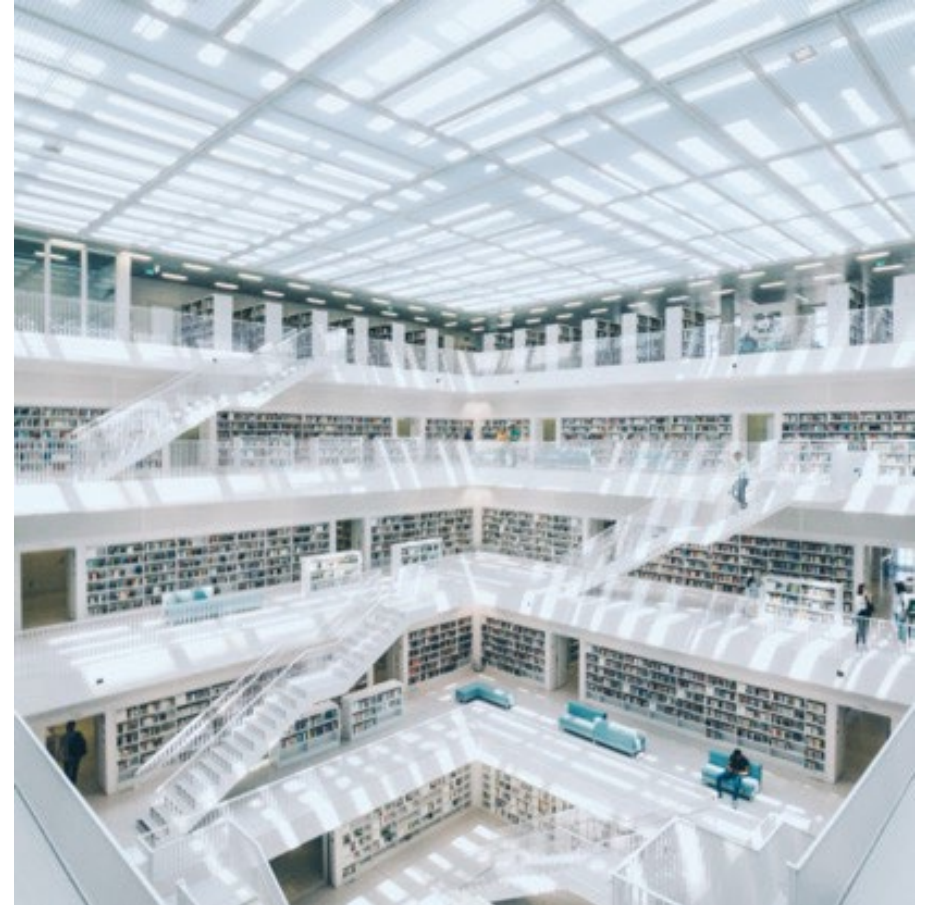
## External Validity

Can the findings be generalised to other situations outside the experimental situation?

# 1. Zber a analýza dát – dostupné dáta

Je důležité připomenout klíčovou filozofickou pozici:

1. Ekonomické hodnotenie je iba tak dobré, ako dobré sú dáta, na ktorých je postavené
2. Ekonomický analytik musí urobiť to najlepšie čo môže s *dostupnými dátami*





## 2. Ekonomické hodnotenie a klinické štúdie

Ako sú ekonomické dáta získané?

- Môžu byť ekonomické hodnotenie jednoducho “*pribalené*” ako súčasť existujúceho klinického výskumu alebo potrebujeme upraviť dáta zo štúdie pomocou modelovacích techník aby sme zvýšili externú validitu?
- Taktiež sa môže stať, že sa určitých okolností, ekonomické hodnotenie nemôže byť “*pribalené*” a je potrebné dizajnovať špecifickú štúdiu pre ekonomické hodnotenie

Výhody ak sú dáta pre ekonomické hodnotenie zbierané ako súčasť klinickej štúdie:

1. Získavame dáta špecifické pre pacienta ako na strane nákladov, tak aj výsledkov (interná validita)
2. Pri vysokých fixných nákladoch na zbieranie klinických dát, dodatočné náklady na zber ekonomických dát sú veľmi nízke







## 2. Ekonomické hodnotenie a klinické štúdie

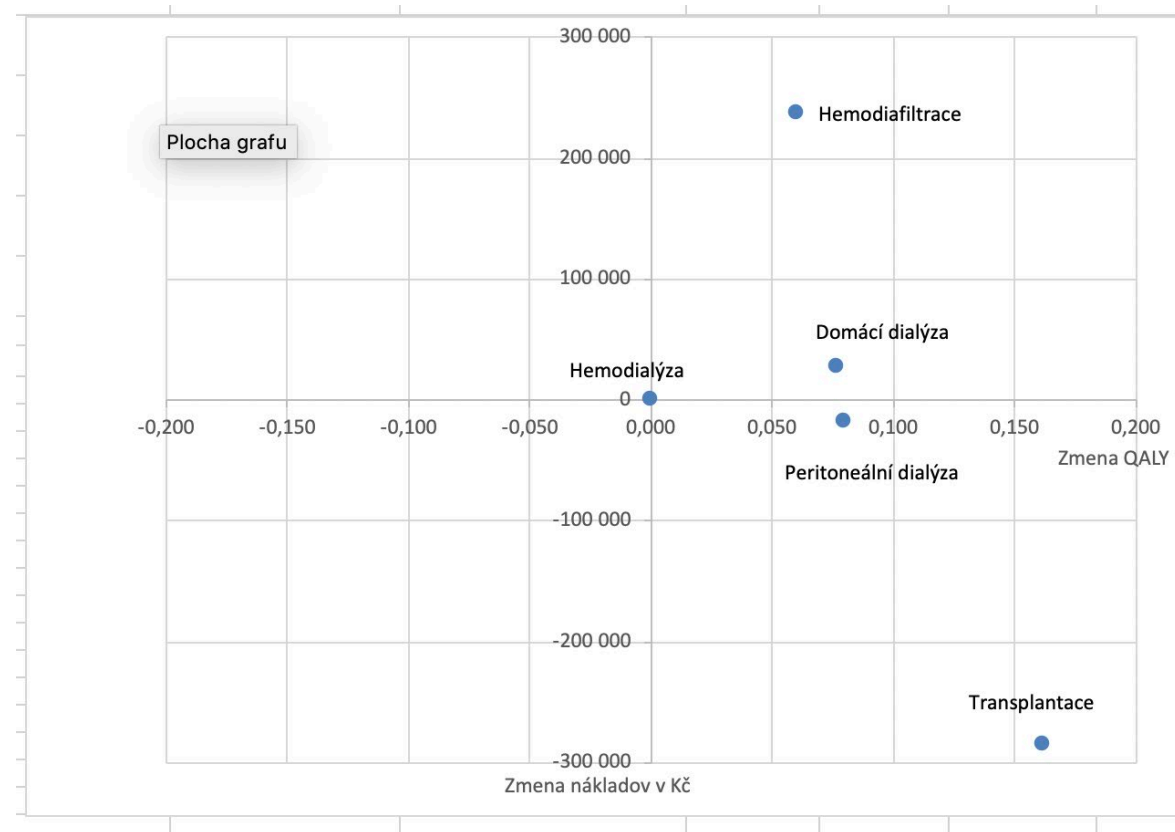
Keď ekonomické hodnotenie je súčasťou klinickej štúdie, aké nastávajú otázky?

1. Výber porovnávacej terapie (komparátora)
2. Zlatý štandard merania výsledkov
3. Prechodné vs. finálne výsledky
4. Neadekvátne sledovanie pacientov alebo neadekvátna veľkosť vzorky
5. Náklady a výsledky ovplyvňované podľa protokolu

## 2 . Ekonomické hodnotenie a klinické štúdie

Výber porovnávacej terapie (komparátora)

- Štandardná terapia
- Najpoužívanější terapia
- Najmodernejšia terapia
- Priamy konkurent
- Placebo





## 2. Ekonomické hodnotenie a klinické štúdie

### Zlatý štandard merania výsledkov

- RCT často vykonávajú merania výsledkov, ktoré sú oveľa viac detailné, invazívne alebo častejšie ako je bežné vo zvyčajnej klinickej praxi
- Dochádza preto k úpravám takýchto “efficacy” dát aby mali takéto štúdie vyššiu externú validitu



## 2. Ekonomické hodnotenie a klinické štúdie

Prechodné vs. finálne zdravotné výsledky:

- Existujú klinické štúdie, v ktorých je bežné reportovať prechodné biologické markery ako výsledky, lebo samotná veľkosť vzorky na otestovanie rozdielov finálnych výsledkov testovanie znemožňuje (napr. kardiovaskulárna mortalita)
- Dobrým príkladom sú lieky na znižovanie cholesterolu – výsledok je meraný ako zmena v celkovej hladine cholesterolu
- Pre ekonomické hodnotenie nás však zaujíma, aký dopad má takáto zmena na *finálne* zdravotné výsledky (mortalita, morbidita)
- To častokrát ústi do pokusov použiť existujúce epidemiologické dáta na konštrukciu modelu, ktorý predikuje zmeny vo finálnom výsledku (smrť/infarkt myokardu) na základe zmien v rizikovom faktore (hypertenzia, cholesterol)



## 2. Ekonomické hodnotenie a klinické štúdie

Neadekvátne sledovanie pacientov alebo neadekvátna veľkosť vzorky

- Črtou mnohých klinických štúdií je, že sledovanie pacientov a zber dát sú ukončené náhle, keď pacient zažije jednu z udalostí z klinických výsledkov
- Toto môže byť často frustrujúce, keďže veľká časť nákladov súvisiach s danou terapiou sa môže vyskytnúť neskôr, v súvislosti s liečbou daných udalostí
- Druhou oblasťou na posúdenie je veľkosť vzorky a jej vhodnosť na testovanie ekonomických hypotéz
- Je možné, že na posúdenie ekonomických otázok je potrebná väčšia vzorka pacientov ako na posúdenie klinických otázok



## 2. Ekonomické hodnotenie a klinické štúdie

Náklady a výsledky ovplyvňované podľa protokolu

- Jedným z problémov je určiť, či v danom ekonomickom hodnotení sa používajú dáta súvisiace s vykonaním samotnej štúdie, alebo dáta súvisiacej s terapiou ako takou
- Napríklad, klinické štúdie požadujú zaslepenie (aj u lekára), avšak v praxi to tak nie je  
(počas štúdie sa môže lekár správať inak, ako by sa správal v bežnom živote) – toto môže znížiť externú validitu nielen klinických, ale aj ekonomických dát
- Ďalším príkladom je, že počas štúdií sa veľmi dbá na compliance pacientov (napr. pravidelnosť v užívaní liekov) – v praxi je však takáto compliance nedosiahnuteľná



### 3. Pragmatické štúdie

Pragmatické štúdie pre ekonomické hodnotenie

- Namiesto “pribalenie” ekonomického hodnotenia ku klinickej štúdií existuje čoraz väčší záujem na dizajnovaní špecifických štúdií na zber ekonomických dát
- Cieľom je ponúknuť kompromis medzi internou a externou validitou
- Pragmatická štúdia si ponecháva koncept pacientov náhodne alokovaných do terapií s cieľom znížiť skreslenie (interná validita) a zároveň poskytuje menej reštrikcií ako sú pacienti vybraní a sledovaní po randomizácii (externá validita)
- Cieľom pragmatickej štúdie je vyhodnotiť **účinnosť intervencie za skutočných podmienok**  
(ktoré by nastali po nasadení intervencie do rutinného používania)





## 3. Pragmatické štúdie

Hlavné črty pragmatickej štúdie

1. Vybraní sú pacienti s normálnym zaťažením chorobou
2. Nová terapia je porovnaná so súčasným štandardom
3. Lekári a pacienti nie sú slepí voči terapii  
(po zvážení všetkých výhod a nevýhod terapie)
4. Všetci pacienti sú sledovaní podľa rutinných podmienok
5. Meria sa veľké množstvo výsledkov  
(efficacy, udržateľnosť, tolerancia, kvalita života, použitie zdrojov, ...)



## 4. Modelovacie štúdie - Prístupy a problémy

Ekonomické hodnotenie môže používať rozličné modelovacie techniky:

1. Modely rozhodovacej analytiky
2. Extrapolačné modely
3. Epidemiologické modely
4. Markovove modely



## 4. Modelovacie štúdie - Prístupy a problémy

Modely rozhodovacej analytiky

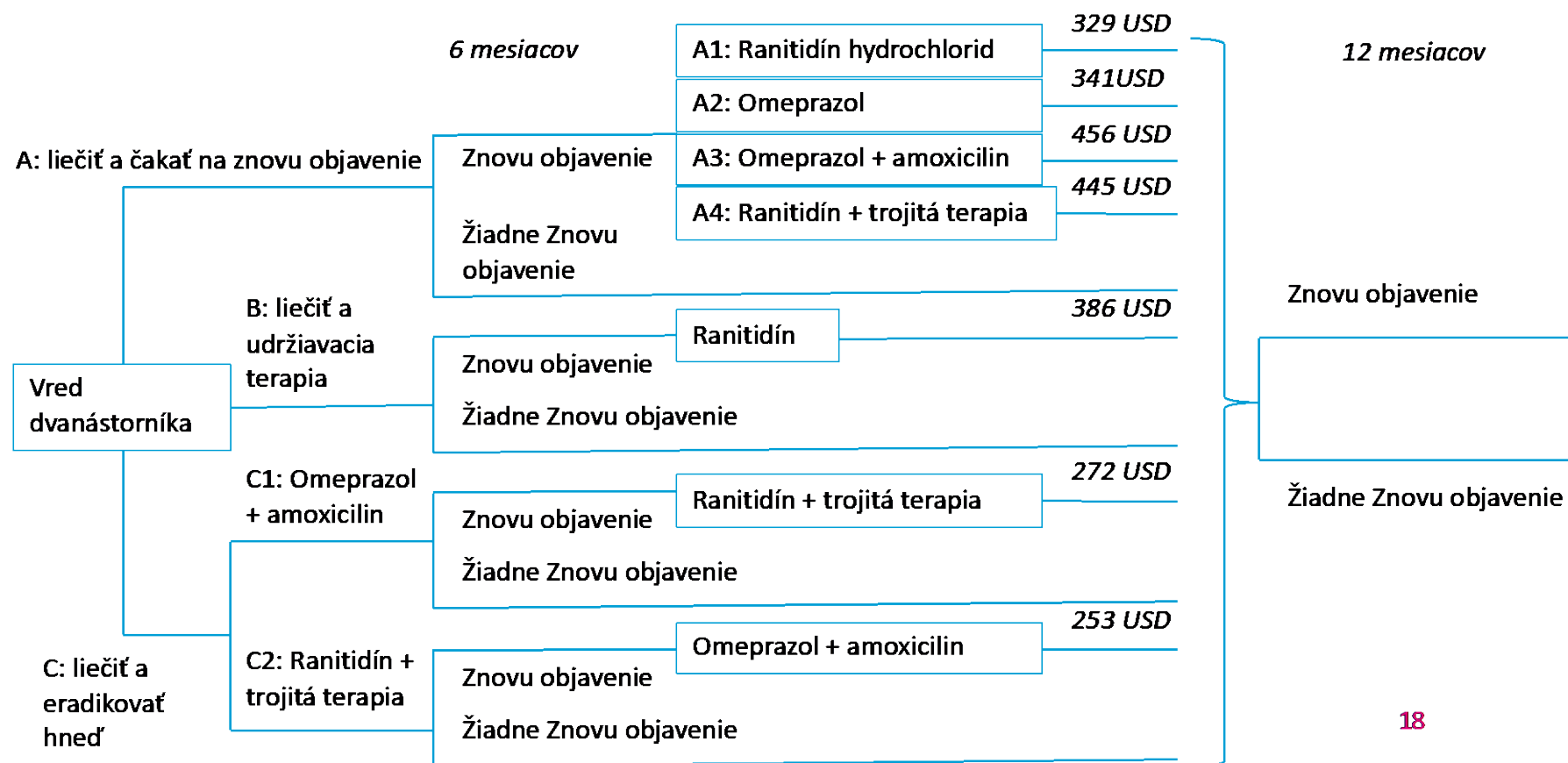
- Založené na starostlivom štrukturovaní problému použitím rozhodovacieho stromu – to je grafická schéma, kde začneme s rozhodnutím (terapia A alebo terapia B) a sledujeme všetky možné cesty, náklady a následky, ktoré sa môžu objaviť v čase

Výhody tohto postupu sú dvojaké:

- Po prvé, analytik veľmi rýchlo identifikuje, aké dátové komponenty (pravdepodobnosti, náklady, užitočnosti) sú vyžadované na skompletizovanie analýzy
- Po druhé, definovanie problému takýmto spôsobom umožňuje oddeliť
  1. fakty (pravdepodobnosť nastatia nejakej udalosti)
  2. od hodnoty (užitočnosť jedného stavu pred druhým)

## 4. Modelovacie štúdie - Prístupy a problémy

Model rozhodovacej analytiky – manažment dvanástorníkového vredu





## 4. Modelovacie štúdie - Prístupy a problémy

### Modely rozhodovacej analytiky

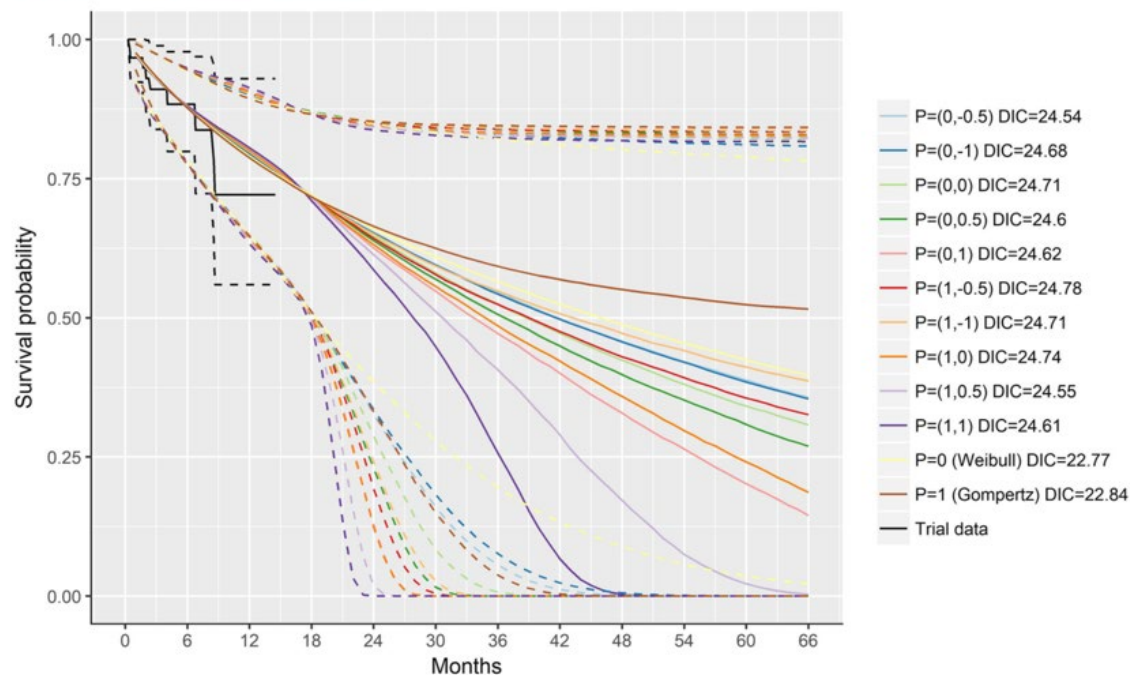
- Dáta pochádzajú z rôznych zdrojov:
  - Klinické štúdie
  - Administratívne dáta
  - Expertné názory lekárov
- Priemerné náklady na pacienta sa vypočítajú ako suma nákladov vážená pravdepodobnosťou nastatia – toto sa volá aj “spriemerňovanie stromu”
- Nevýhoda – Frankensteinove monštrum – môže sa stať, že do modelu sa dávajú rôzne dáta z rôznych štúdií, o ktorých si autori myslia, že spolu dajú prediktívny model, ale vôbec to tak nemusí fungovať

## 4. Modelovacie štúdie - Prístupy a problémy

### Extrapoláčné modely:

- Klinické štúdie často sledujú pacienta iba v krátkodobom časovom horizonte (napr. v kardiológii – mortalita do 30 dní)
- V mnohých situáciách potrebujeme extrapolovať dáta za časový horizont pozorovaný v klinickej štúdií (napr. vypočítať zachránené roky života)
- Vtedy sa používajú extrapoláčné štatistické modely, ktoré na základe dát modelujú náklady a následky v dlhodobom horizonte

From: [Integrating expert opinion with clinical trial data to extrapolate long-term survival: a case study of CAR-T therapy for children and young adults with relapsed or refractory acute lymphoblastic leukemia](#)

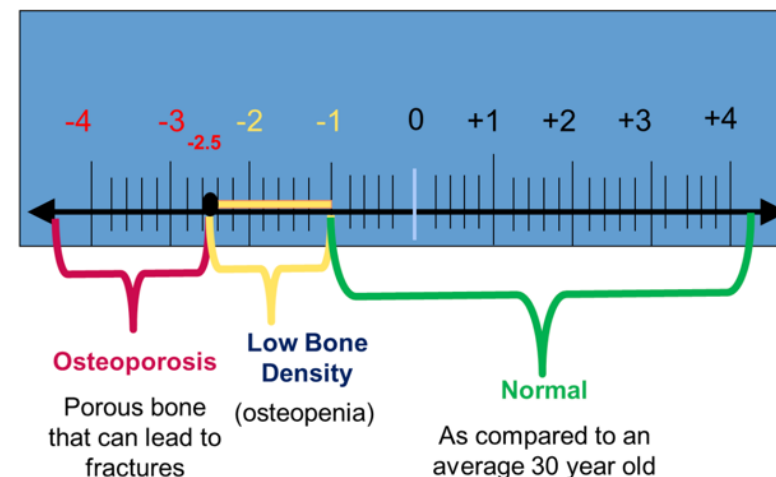


Modeled survival based on ELIANA trial data (1.5 years) without expert information. Solid lines represent point estimates and dashed lines the 95% credible intervals

## 4. Modelovacie štúdie - Prístupy a problémy

### Epidemiologické modely:

- Používa sa na prepojenie prechodných a finálnych výsledkov
- Využíva sa najmä v kardiovaskulárnej medicíne, kde je veľkým predmetom záujmu hladina cholesterolu a výška tlaku – na prepočet zachránených rokov života sa používa epidemiologický model, ktorý prepája prechodný a finálny výsledok
- Používa sa taktiež v oblasti liečby osteoporózy – kde sa sleduje vzťah medzi zníženou hustotou kostných minerálov (T-skóre) a zlomeninami





## 4. Modelovacie štúdie - Prístupy a problémy

### Markovov model:

- Niektoré choroby, alebo liečby sú charakteristické znovu objavením sa určitých zdravotných stavov alebo liečebných algoritmov
- Markovov model určuje výmenu pravdepodobností medzi rozdielnymi zdravotnými stavmi (podmienkami) pre každý cyklus modelu
- Markovov model predpokladá “nulovú pamäť” – pravdepodobnosť zmeny závisí jedine od zdravotného stavu pacienta a nie od toho, ako dlho pacient v danom stave bol, alebo ako sa do neho dostal

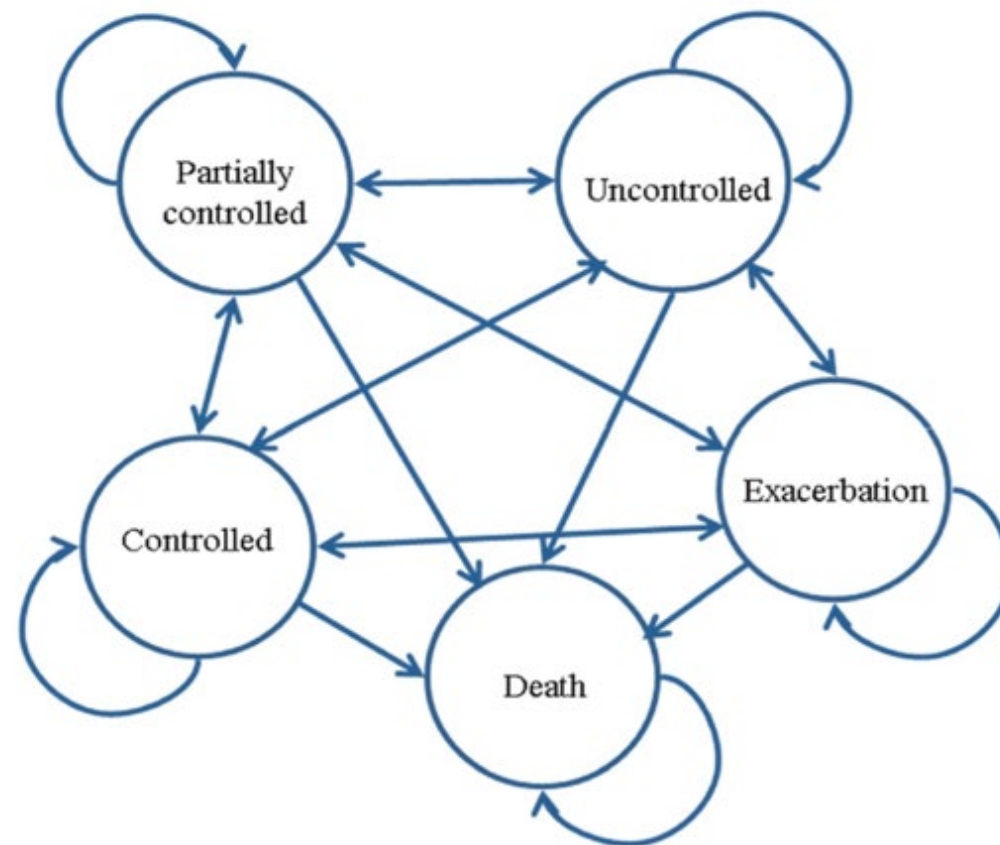


Illustration of the asthma Markov model.



## 5. Formáty reportovania v ekonomickom hodnotení

Prečo trvať na spoločnom reportovacom formáte?

1. Zvyšuje **transparentnosť** štúdií  
(čo analytik urobil a či použil vhodné metódy)
2. Uľahčuje **porovnanie** medzi štúdiami  
(čitateľ môže viac dôverovať tomu, že výsledky štúdie odzrkadľujú charakteristiky intervencie, alebo programu a nie rozdiely v metodológií)
3. Zvyšuje všeobecnú **kvalitu** hodnotení  
(požiadavky na reportovací formát vedú analytika, aby sa zameral na najdôležitejšie metodologické úvahy)



## 5. Formáty reportovania v ekonomickom hodnotení

10-bodový Drummondov zoznam ako rámec pre reporting:

- Tento zoznam predstavený v 3. prednáške je primárne určený ako štruktúra pre kritické zhodnotenie publikovaných článkov
- Avšak, tento zoznam (a otázky v ňom) môžu slúžiť ako sprievodca pre analytika, ktorý chce zlepšiť kvalitu svojho vlastného reportu
- Keď je report napísaný spôsobom, že umožňuje čitateľovi odpovedať na všetky otázky v zozname, tak je analytik na veľmi dobrej ceste uspokojiť základné požiadavky transparentnosti



# 5. Formáty reportovania v ekonomickom hodnotení

SUKL – Postup pro hodnocení nákladové efektivity (2013)

1.Cíl

2.Uživatelé

3.Definie základních pojmu a skratek

4.Navazující vnitřní předpisy

5.Související obecně platné předpisy, normy a předpisy EU



# 5. Formáty reportovania v ekonomickom hodnotení

## 6. Postup

- Obecné náležitosti farmakoekonomického hodnocení
- Vlastní provedení farmakoekonomického hodnocení
- Přenositelnost ve farmakoekonomickém hodnocení
- Zpusoby měření kvality života

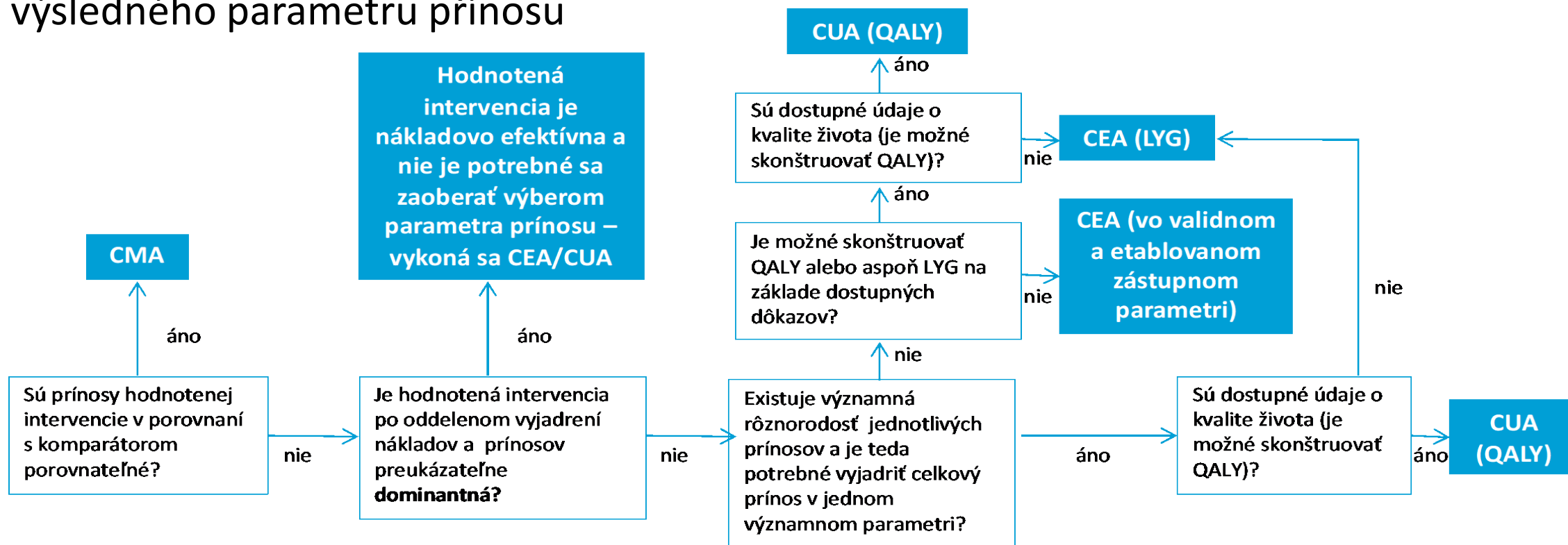
## 7. Přílohy

- Výběr vhodné metodiky farmakoekonomického hodnocení a výběr výsledného parametru přínosu
- Seznam referenčních zdrojů

# 5. Formáty reportovania v ekonomickom hodnotení

SUKL – Postup pro hodnocení nákladové efektivity (2013)

Príloha 1: Výběr vhodné metodiky farmakoeconomického hodnocení a výběr výsledného parametru přínosu





## 6. Transfer ekonomického hodnotenia

- Štúdie, ktoré sa porovnávajú, môžu pochádzať z **rozličných nastavení**.
- Pri interpretácii výsledkov ekonomického hodnotenia, si musíme urobiť názor, či sú výsledky **aplikovateľné** do našich podmienok
- Niektoré vedecké dáta sú určite **prenositel'né** (napríklad klinický efekt pre pacienta, ktorý berie určitý liek je preavdepodobne rovnaký aj v USA, aj v Kanade)
- Avšak, toto už nemusí byť pravda pre rovnakú operáciu vykonanú iným chirurgom
- Navyše, v niektorých prípadoch, klinické výsledky nemusia byť úplne nezávislé od nastavenia celého zdravotného systému
- Z tohoto dôvodu je aplikácia výsledkov ekonomického hodnotenia z jedných podmienok do druhých široko diskutovaná v rámci krajín, aj medzi krajinami





## 6. Transfer ekonomického hodnotenia

- Rastúca medzinárodná literatúra ohľadom ekonomického hodnotenia ako aj rapídne medzinárodné rozširovanie nových zdravotníckych technológií vyžaduje potrebu *ekonomického hodnotenia na medzinárodnej úrovni*
  - Napríklad prijímatelia rozhodnutí v zdravotníctve, špeciálne v krajinách s limitovaným rozpočtom pre HTA, môžu mať ambíciu reinterpretovať výsledky ekonomického hodnotenia **vo svojich vlastných podmienkach**
  - Taktiež, kontrolované klinické štúdie sú často zhromažďované na medzinárodnej báze, aby sa zabezpečil **dostatočný počet pacientov**, alebo aby sa uspokojili potreby rozdielnych národných klinických a regulačných agentúr, ktoré by shceli vidieť dôkazy o účinnosti na svojej vlastnej vzorke pacientov
- **Výsledky štúdií nemusia byť automaticky prenositeľné z krajiny do krajiny**
  - Napríklad nákladovo-efektívny nový liek v USA, nemusí byť automaticky nákladovo efektívny v Európe



## 6. Transfer ekonomického hodnotenia

### Faktory ovplyvňujúce nákladovú efektívnosť a jej prenositeľnosť

#### 1. Základná demografia a epidemiológia chorôb

- Napríklad programy imunizácie, alebo skríningu a následnej liečby budú pravdepodobne najviac nákladovo efektívne v populáciách, kde je **incidencia** danej choroby vysoká
- Napríklad rozdielna **veková štruktúra** medzi krajinami môže viesť k rozdielnym stupňom incidencie a ovplyvňovať ekonomickú záťaž
- Nákladová efektívnosť je ovplyvňovaná aj **patientskymi charakteristikami**, vekom, životným štýlom či zdravotnou históriou

#### 2. Dostupnosť zdravotných zdrojov a variácia v klinickej praxi

#### 3. Motivácie zdravotníckych profesionálov a inštitúcií

#### 4. Relatívne cena alebo náklady



## 6. Transfer ekonomického hodnotenia

### Faktory ovplyvňujúce nákladovú efektívnosť a jej prenositeľnosť

1. Základná demografia a epidemiológia chorôb
2. Dostupnosť zdravotných zdrojov a variácia v klinickej praxi
  - Napríklad pri liečbe vredu, **dostupnosť chirurgie** sa môže meniť z miesta na miesto (čakacie listiny), dostupnosť endoskopie môže byť odlišná.
  - Zároveň, ak je **dlhý čakací zoznam** na endoskopiю, tak lekár môže vyskúšať farmako-terapiu, bez toho aby čakal na výsledky endoskopie
  - Nasadenie farmakoterapie však môže ovplyvňovať to, či je **daný liek v krajine dostupný** a či je hrazený zo zdravotného poistenia, alebo pacientom
  - A v neposlednom rade, výrazne sa môže líšiť **klinický štýl lekárov**, a to nielen medzi krajinami, ale aj vnútri krajín
3. Motivácie zdravotníckych profesionálov a inštitúcií
4. Relatívne cena alebo náklady



## 6. Transfer ekonomického hodnotenia

### Faktory ovplyvňujúce nákladovú efektívnosť a jej prenositeľnosť

1. Základná demografia a epidemiológia chorôb
2. Dostupnosť zdravotných zdrojov a variácia v klinickej praxi
3. Motivácie zdravotníckych profesionálov a inštitúcií
  - **Platobné mechanizmy** výrazne ovplyvňujú správanie lekárov a inštitúcií
  - Napríklad v jednej krajine môžu byť lekári odmeňovaní platom, v inej cez kapitáciu, v inej cez výkony, pričom lekári platení platom a kapitáciou majú tendenciu odstrašovať dopyt, pričom lekári platení za výkony majú tendenciu indukovať dopyt
  - Takéto správanie môže ovplyvniť počet návštev u lekára, či počet diagnostických testov
  - Podobne, nemocnica, ktorá je platená cez globálny rozpočet má iné motivácie ako nemocnica, ktorej hlavným príjmom je DRG (znižovať počet dní na lôžku, rýchlejší obrat pacientov, vyššia vyťaženosť postelí)
4. Relatívne cena alebo náklady



## 6. Transfer ekonomického hodnotenia

### Faktory ovplyvňujúce nákladovú efektívnosť a jej prenositeľnosť

1. Základná demografia a epidemiológia chorôb
2. Dostupnosť zdravotných zdrojov a variácia v klinickej praxi
3. Motivácie zdravotníckych profesionálov a inštitúcií
4. Relatívne cena alebo náklady
  - Je známe, že absolútne ceny medzi krajinami sú veľmi rozdielne
  - Pre ekonomické hodnotenie je kritické, či sa menia *relatívne* ceny zdravotných zdrojov
  - Je zrejmé, že keď sa relatívna cena hlavného lieku pre daný stav mení medzi krajinami, tak sa mení aj **relatívna nákladová efektívnosť**
  - Menej zrejmé už je, že relatívna nákladová efektívnosť lieku sa bude meniť ak sa menia relatívne ceny iných zdravotných zdrojov
  - Napríklad, liek s vyššou účinnosťou, lepšími vedľajšími účinkami, či pohodlnejším spôsobom administrácie bude vyzeráť, že má *vyššiu hodnotu za peniaze* v krajine, kde náklady na vyšetrenie, hospitalizáciu, chirurgiu, či návštevy u lekára sú relatívne vyššie a spotreba týchto statkov klesne



## 7. používanie ekonomického hodnotenia v rozhodovacom procese

- V akých situáciách by malo byť ekonomické hodnotenie používané?
  - Pred-trhová kontrola liekov a prístrojov
  - Schválenie / vylúčenie z úhrady verejnými zdrojmi
  - Plánovanie veľkých investičných celkov, špeciálnych zariadení, alebo špecifických technológií
- Česko / slovenský kontext
  - SUKL (ČR)/ MZSR (SR) – určovanie maximálnych cien a úhrad v rámci kategorizácie liekov
  - Útvar hodnoty za peniaze – rozhodovanie o rozpočtových zdrojoch (napr. nUNB)
  - Súkromní poskytovatelia – rozhodovanie o cenových stratégiách (WTP)
- Akým spôsobom môže byť ekonomické hodnotenie používané?
  - Prvý spôsob – cesta, ako oceňovať návrhy na použitie zdrojov v zdravotníctve
  - Druhý spôsob – systematický spôsob myslenia v zdravotníctve

## 7. používanie ekonomického hodnotenia v rozhodovacom procese

- SK = 41 000 EUR / QALY
- CZ = 60 000 EUR /QALY  
(3 x HDP na hlavu)

**Table 1: Applied thresholds in Australia, Canada and England**

Country	HTA agency	Implicit vs explicit	Threshold (cost per QALY)	Reference
Australia	Pharmaceutical Benefits Advisory Committee (PBAC)* <sup>5</sup>	Implicit, values presented are based on empirical studies analysing past decisions	AUD50,000	Wang, Gum and Merlin (2018)
Canada	Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH)**	Implicit, values presented are based on empirical studies analysing past decisions	'Policy thresholds' as indicated in PMPRB (2019):  CAD50,000 (non-oncology)  CAD100,000 (oncology)  'Empirical' threshold as indicated in Skedgel, Wranik and Hu (2018)  CAD140,000*** (oncology)	Patented Medicine Prices Review Board, (2019a); Skedgel, Wranik and Hu, (2018);
UK	National Institute for Health and Care Excellence (NICE)	Explicit as indicated in the NICE methods guide	£20,000 – 30,000  End-of-Life (EoL): £50,000****  Highly Specialised Technologies (HST): £100,000 - £300,000*****	National Institute for Health and Care Excellence, (2018) *****



# Zhrnutie

Cieľom ekonomického hodnotenia je byť *pomôckou (nástrojom)* pre prijímanie rozhodnutí a nie kompletnou bázou pre robenie rozhodnutí.

Je dôležité objasniť silné a slabé stránky všetkých prístupov a neupíňať sa k myšlienke, že je iba jeden-jediný, teoretický alebo filozofický prístup je správny.

Je dôležité mať kritické myslenie a zároveň byť otvorený iným argumentom.





# Zdroje

- DRUMMOND, M F. *Methods for the economic evaluation of health care program mes.* Oxford: Oxford University Press, 2015. ISBN 978-0-19-966587-7.

Ďakujem veľmi pekne za pozornosť  
v priebehu celého kurzu 6MMEH1