

# Základy farmakoeconomiky pro studenty Lékařské fakulty

Mgr. Barbora Říhová, Ph.D., PharmDr. Jana Kučerová, Ph.D., MUDr. Regina Demlová, Ph.D.

<b>1.</b>	<b>ZÁKLADY FARMAKOEKONOMIKY PRO STUDENTY LÉKAŘSKÉ FAKULTY .....</b>	<b>2</b>
1.1	DEFINICE A VÝZNAM FARMAKOEKONOMIKY .....	2
1.2	FARMAKOEKONOMICKÉ ANALÝZY .....	4
1.3	NÁKLADY VE FARMAKOEKONOMICKÉ ANALÝZE .....	7
1.4	DRUH VÝSLEDKŮ PRO FARMAKOEKONOMICKÉ ANALÝZY A ZPŮSOB JEJICH MĚŘENÍ.....	11
1.5	TYPY FARMAKOEKONOMICKÝCH ANALÝZ.....	12
1.5.1	<i>Analýza nákladů</i> .....	14
1.5.2	<i>Analýza minimalizace nákladů</i> .....	15
1.5.3	<i>Analýza dopadu na rozpočet</i> .....	15
1.5.4	<i>Analýza nákladové efektivity</i> .....	17
1.5.5	<i>Analýza nákladové užitečnosti</i> .....	18
1.5.6	<i>Další typy analýz</i> .....	19
1.6	VYUŽITÍ FARMAKOEKONOMIKY .....	20

# 1. Základy farmakoekonomiky pro studenty Lékařské fakulty

## 1.1 Definice a význam farmakoekonomiky

Farmakoekonomika je vědní obor vybudovaný na principech jiných disciplín (ekonomie, farmakologie, epidemiologie, statistika, aj.), jež stanovuje hodnotu léčivých přípravků nebo léčebných postupů porovnáním nákladů na léčbu s přínosy dané léčby. Je součástí ekonomie zdravotnictví, mikroekonomické disciplíny, která analyzuje chování jednotlivých ekonomických subjektů v souvislosti s poskytováním a užíváním zdravotnických služeb (zaměřuje se na charakteristiky trhu se zdravotní péčí a jeho případná selhání) a uplatňuje tradiční metody ekonomické analýzy na podmínky zdravotnických služeb. Odborné publikace věnované studiu farmakoekonomiky se poprvé objevily v polovině 80. let minulého století. Světová zdravotnická organizace (World Health Organization, WHO) považuje farmakoekonomiku za metodu, která podporuje racionální užívání léků - pacienti jsou léčeni na základě jejich klinického stavu a léky jsou jim podávány v dávkách, které odpovídají jejich individuálním potřebám, po dostatečně dlouhou dobu a za dodržení co nejnižších nákladů pro ně samé i společnost. Farmakoekonomika hodnotí léčebné intervence v různých zdravotních systémech pomocí popisných a analytických metod za účelem poskytnutí podkladů pro alokaci omezených zdrojů.

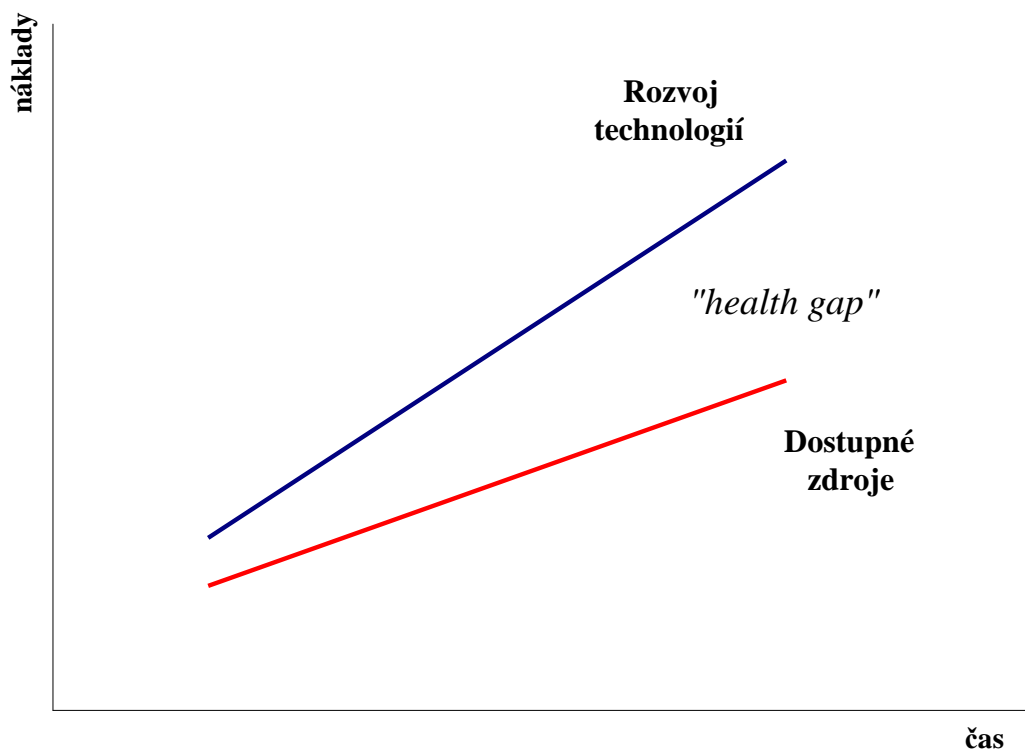
K nejčastěji používaným ekonomickým analytickým metodám, které slouží k hodnocení zdravotnických technologií, patří:

- minimalizace nákladů
- nákladová efektivita
- nákladová užitečnost
- prospěšnost nákladů
- náklady na onemocnění
- důsledky nákladů

Farmakoekonomika vznikla z důvodu prohlubování rozdílu mezi možnostmi moderní medicíny a omezenými finančními zdroji. Rozvoj technologií související se zvyšující se finanční zátěží a možnostmi financování zdravotnictví (dostupnými zdroji) lze zobrazit jako rozevřající se nůžky (Obr. 1). Náklady na zdravotní péči se každým rokem zvyšují rychleji než příjmy ze zdravotního pojištění a vzniká rozdíl, který lze označit jako tzv. *health gap*. Proto je nutné omezené zdroje využít účelněji a efektivněji.

Jedním z hlavních důvodů pro zvyšování nákladů na zdravotní péči je rozvoj nových vysoce nákladných technologií získaných díky výzkumu v oblasti medicíny a farmacie. Úzce s tím souvisí i další důvod, kterým je zvyšování nároků na bezpečnost léčivých přípravků, což nutí výrobce investovat do klinického zkoušení nových léčiv velké množství finančních prostředků. Rozvoj citlivějších diagnostických metod vede k tomu, že se zvyšuje počet pacientů indikovaných k léčbě. A v neposlední řadě se z důvodu stárnutí populace, která bývá polymorbidní, zvyšují náklady na poskytování zdravotní péče. Hlavním cílem farmakoekonomiky je najít z více možných variant to nejracionalnější řešení, které je maximálně prospěšné pro pacienta a současně je přijatelné z ekonomického hlediska.

Obr. 1: „Rozevírající se nůžky“ mezi rozvojem technologií a dostupnými zdroji, upraveno dle Doležal, T.; 2007.



Tab. 1: Základní veličiny sledované ve farmakoeconomice:

Sledované veličiny		Příklady	Angl. synonymum
Náklady / spotřebované zdroje		úhrada LP, služby, pracovní síla, ušlá mzda	Costs
Přínosy / výstupy terapie			Outcomes
	klinické	TK, glykémie, počet atak deprese, IM, mortalita	Effect, efficacy, effectiveness
	ekonomické	snížení invalidity -) pokles výdajů soc.syst.	Benefit
	zprostředkované pacientem	kvalita života (utilita)	Utility

## 1.2 Farmakoekonomické analýzy

Farmakoekonomická analýza se zaměřuje na odhalení efektivní léčebné technologie porovnáním spotřeb zdrojů (tj. nákladů) a jejich výsledků při použití různých terapeutických postupů. Základní používanou analytickou metodou je komparace, která navazuje na identifikaci, měření a zhodnocení nákladů a důsledků různých farmakoterapeutických a dalších postupů. Náklady na zdravotnické technologie jsou obvykle vyjadřovány ve finančních jednotkách, neboť výsledkem analýzy je podíl vynaložených nákladů na jednotku účinnosti. Přínos (výsledek) použité technologie je možné vyjádřit více způsoby, na základě nichž se rozlišují základní typy farmakoekonomických analýz.

### Sběr dat

Farmakoekonomická data mohou být sledována a shromažďována prospektivně i retrospektivně. K poměrně nákladným, i když přesným metodám patří plánování samostatných farmakoekonomických studií. Pokud má být farmakoekonomická analýza provedena za účelem stanovení výše a podmínek úhrady léčivého přípravku z prostředků veřejného zdravotního pojištění, je vhodné správné načasování sběru ekonomických dat, ideálně tedy již s klinickou studií. Často probíhá sběr dat v rámci III. fáze klinického hodnocení léčiv (někdy i v rámci II. fáze), kdy je ověřována bezpečnost a účinnost před registrací léčivého přípravku a jeho vstupem na trh. Další možností je sběr dat až ve IV. fázi klinického hodnocení, tj. po uvedení léčivého přípravku na trh, kdy je ověřováno postavení přípravku v běžné klinické praxi. Pokud probíhá sběr ekonomických dat společně s klinickou studií, pak terminologicky hovoříme o *piggy-back* studií.

Nejčastěji využívaným postupem farmakoekonomických analýz, který je dostupný všem a patří k časově nejméně náročným, je farmakoekonomické modelování. Farmakoekonomické modely využívají klinických dat z různých typů klinických studií (retrospektivních i prospektivních), metaanalýz, patientských databází nebo registrů, a propojují je s náklady na srovnávané zdravotnické technologie odpovídající spotřebě zdrojů v konkrétních podmínkách zdravotnictví.

### Perspektiva hodnocení

Stanovení perspektivy studie je klíčovým bodem každého ekonomického hodnocení zdravotnických technologií. Perspektiva je ekonomický termín, který určuje, z jakého úhlu pohledu je farmakoekonomická studie provedena a tedy jaký typ nákladů bude pro hodnocení relevantní. Nejobsáhlejší a nejvhodnější je perspektiva společnosti, která zahrnuje veškeré náklady spojené s hodnocenou zdravotnickou technologií bez ohledu na to, kdo je uhradí – náklady zdravotních pojišťoven, pacientů, jiných oblastí (např. sociální pojištění) a ztrátu produktivity. Ačkoliv je tato perspektiva považována za nejvhodnější, nepatří k nečastěji využívaným, neboť je obtížná z hlediska proveditelnosti. Farmakoekonomickou analýzou obvykle stanovujeme rozdíl mezi dvěma alternativními technologiemi a pokud například na straně vstupů není očekáván rozdíl v ničem jiném než v přímých zdravotnických nákladech (spotřeba zdrojů spojená s poskytováním zdravotní péče, např. náklady na pobyt v nemocnici a léčiva, viz kapitolu 1.3), provede se analýza z pohledu plátce zdravotní péče (obvykle zdravotní pojišťovna). Ostatní položky nákladů (nehrazené ze zdravotního pojištění) pak mohou být považovány za irelevantní a není nutné je stanovovat.

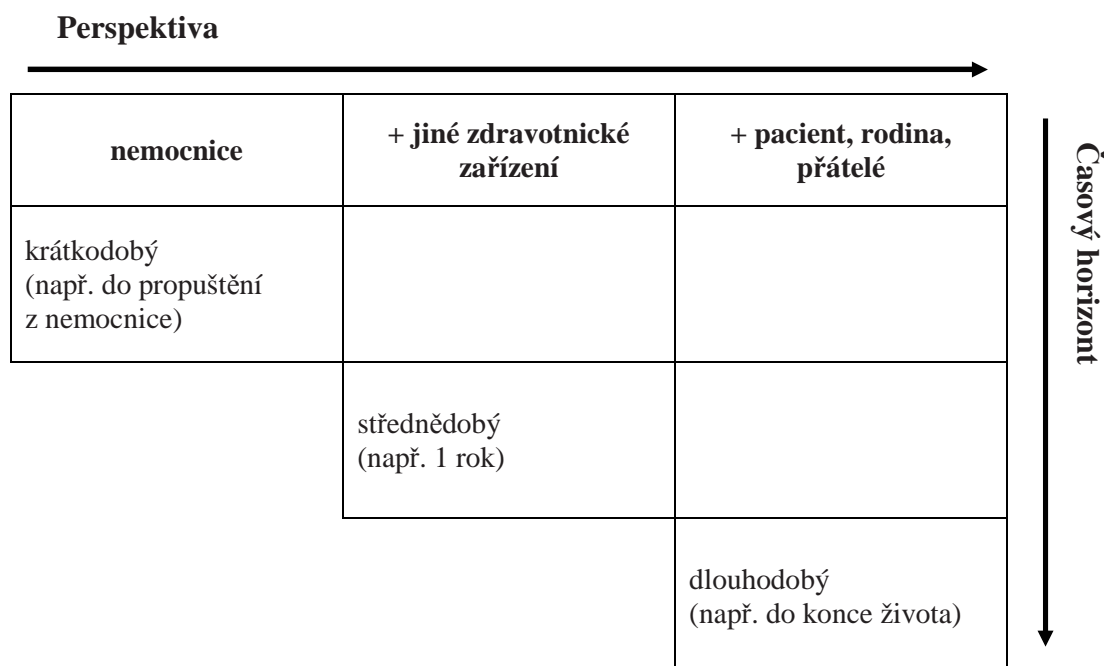
K nejčastěji používaným perspektivám ekonomického hodnocení patří kromě perspektivy plátce zdravotní péče i perspektiva poskytovatele zdravotní péče (zdravotnické zařízení). Možné je i hodnocení z pohledu pacienta, které zahrnuje náklady na doplatky na léčivé přípravky a prostředky zdravotnické techniky, spoluúčast, ztrátu výdělku, dopravu k lékaři apod.

### Časový horizont

Dalším důležitým rozhodnutím v rámci farmakoekonomického hodnocení je stanovení časového horizontu prováděné analýzy, který je třeba určit před zahájením sběru dat. Celková sledovaná doba by měla být dostatečně dlouhá na to, aby zahrnula veškeré relevantní rozdíly mezi náklady a přínosy srovnávaných technologií. Časový horizont vyjadřuje dobu nutnou k zachycení všech nákladů souvisejících pouze se sledovanou technologií (např. délka terapie konkrétním léčivým přípravkem, doba pobytu v nemocnici) či jejím krátkodobým nebo dlouhodobým dopadem (např. akutní příhody vzniklé jako komplikace sledovaného chronického onemocnění). Možné časové horizonty ve vztahu k perspektivě hodnocení jsou zobrazeny na obr. 2.

Častým problémem bývá časový horizont při prospektivním sběru dat, neboť sběr primárních dat je obvykle kratší než doba potřebná k zachycení vývoje onemocnění. Řešením bývá kombinace reálných dat s modely, tedy výsledky jsou hodnoceny pro dva různé časové horizonty. V rámci krátkodobého horizontu je ekonomické hodnocení provedeno na základě reálných dat účinnosti léčby v době ukončení sledování, v dlouhodobém horizontu (až po celý zbytek života pacienta) je využíváno modelování klinických a nákladových dat. Doba sledování však musí být shodná pro náklady i přínosy, aby byly vzájemně porovnatelné (např. poměr nákladů a přínosů = nákladová efektivita).

Obr. 2: Časový horizont ve vztahu k perspektivě hodnocení (podle Drummond *et al.*)



### Diskontace nákladů

Je-li časový horizont uvažovaných nákladů delší než jeden rok, je vhodné budoucí náklady upravit pomocí tzv. diskontní sazby. Diskontace je metoda založená na ohodnocení budoucích nákladů (i přínosů) jejich současnou hodnotou. Hlavním důvodem používání diskontace je to, že lidé mají tendenci budoucím nákladům i přínosům přisuzovat nižší hodnotu. Máme-li se rozhodnout, zda chceme 1 000 Kč nyní nebo za 5 let je zřejmé, že se rozhodneme pro okamžité vyplacení. Budoucí příjem se zdá být nejistý, proto mu přisuzujeme nižší hodnotu. Tato hodnota je snížena o tzv. diskontní sazbu, která se obvykle pohybuje kolem 3 - 6 % za rok.

Výpočet současné hodnoty budoucích nákladů pro určitý rok je následující:

$$\text{budoucí náklady nyní} = \frac{\text{budoucí náklady}}{(1 + \text{diskontní sazba})^{\text{poč. budoucích let}}}$$

Obecný vzorec výpočtu sumy diskontovaných nákladů pro více po sobě jdoucích let:

$$\sum_t \frac{C_t}{(1+r)^{t-1}}, \text{ kde: } t = \text{počet budoucích let}$$

$C_t = \text{náklady v roce } t$   
 $r = \text{diskontní sazba}$

### Analýza senzitivity

Míra přesnosti, kterou si v prováděné analýze zvolíme, závisí na podílu významnosti jednotlivých parametrů na celkovém výsledku analýzy. Dopad změny vstupních parametrů na výsledky analýzy se stanovuje pomocí analýzy citlivosti (senzitivity). Jsou-li například srovnávány dva obdobné farmakoterapeutické režimy, je zřejmé, že výsledky analýzy budou citlivé na úhradu konkrétních léčivých přípravků. Pak je nutné detailně zaznamenat a ocenit dávkování (množství a frekvenci dávek) i způsob aplikace léčivých přípravků. Naopak pokud se porovnávají přípravky liší ve frekvenci nežádoucích účinků, které vedou k hospitalizaci pacientů, pak postačí některá z méně přesných metod, které počítají s průměrnými náklady na hospitalizaci.

Analýzou citlivosti tedy zhodnotíme vlastní robustnost výsledků. Postupně měníme jeden nebo více vstupních parametrů výpočtu (jednocestná vs. vícecestné analýzy senzitivity) a zaznamenáváme změny výsledků. Pokud se změnou vstupních parametrů výsledek analýzy významně nemění, považujeme provedenou farmakoekonomickou analýzu za dostatečně robustní. V opačném případě je nutné počítat s tím, že výsledky základního scénáře farmakoekonomické analýzy nejsou příliš spolehlivé.

### 1.3 Náklady ve farmakoekonomické analýze

Náklady můžeme chápat z čistě finančního hlediska jako cenu zboží či služeb. Ekonomická teorie však zahrnuje širší koncepci spotřeby zdrojů a mezi náklady řadí i spotřebované zdroje, za něž nebyla provedena žádná finanční platba (např. čas pacienta strávený v čekárně u lékaře). Náklady obvykle dělíme dle různých kritérií na fixní a variabilní, průměrné, marginální, inkrementální, a další.

**Fixní náklady** jsou definovány jako neměnicí se v krátkodobém horizontu podle změny objemu výroby, tedy budou spotřebovány vždy při zvolení určité technologie (např. nájemné, platy zdravotníků apod.). Naproti tomu **variabilní náklady** se s výší produkce mění. Ve zdravotnictví je variabilita dána zejména heterogenitou léčených pacientů, což vede k tomu, že určité technologie jsou použity pouze v případě určitého výsledku léčby, resp. konkrétní odpovědi pacienta na léčbu.

**Průměrné náklady** jsou náklady na jednotku výstupu. **Marginální náklady** (tzv. okrajové, v ekonomii nazývány také jako mezní) vyjadřují výdaje navíc při produkci dodatečné jednotky výstupu. Hlavním rozdílem mezi průměrnými a marginálními náklady je to, že marginální náklady na rozdíl od průměrných nákladů nezahrnují fixní náklady.

**Inkrementální náklady** jsou rozdílem nákladů mezi dvěma srovnávanými technologiemi, které jsou vzájemně neslučitelné.

Náklady, s nimiž počítáme ve farmakoekonomické analýze, obvykle vyjadřují celkovou spotřebu zdrojů spojenou se sledovaným technologickým postupem. Jejich výše však závisí na časovém horizontu, který pokrývají, i na perspektivě hodnocení, kterou analytik používá. Po stanovení perspektivy ekonomické analýzy zdravotnických technologií (viz dále) lze náklady rozdělit na relevantní a irelevantní. **Relevantní náklady** jsou náklady důležité pro subjekt, z jehož pohledu se analýza provádí. Tedy buď je přímo hradí sám, nebo jiným způsobem ovlivní jeho spotřebu.

**Irelevantní náklady** jsou mimo zájem subjektu, z jehož pohledu je analýza prováděna (např. zdravotní pojišťovna nehradí transport pacienta k lékaři hromadnou dopravou).

Pro účely ekonomického hodnocení zdravotnických technologií jsou náklady děleny na přímé zdravotnické, přímé nezdravotnické, nepřímé a nevyčíslitelné (tab. 2). **Přímé zdravotnické náklady** vyjadřují spotřebu zdrojů ve zdravotnictví spojenou s poskytováním zdravotní péče (pobyt v nemocnici, medikace, návštěvy lékaře apod.). **Přímé nezdravotnické náklady** vykazují návaznost na poskytování zdravotní péče, avšak souvisí s dostupností služeb zdravotní péče pro konkrétního pacienta (nejedná se o spotřebu zdrojů v oblasti zdravotnictví, ale např. dopravu k lékaři). **Nepřímé náklady** zahrnují ztrátu produktivity pacienta i společnosti z důvodu morbidit či mortality (např. absence v zaměstnání, invalidita, předčasné úmrtí). **Nevyčíslitelné náklady** (anglicky *intangibile* – nehmotný, nehmaterelný, nepostižitelný) zahrnují bolest a strádání v důsledku onemocnění a jeho léčby. Zatímco přímé i nepřímé náklady jsou vyjadřovány ve finančních jednotkách, nevyčíslitelné náklady nelze ohodnotit cenou, neboť se nejedná o přímou spotřebu zdrojů. Nelze je však ani striktně řadit mezi neměřitelné parametry, neboť ve farmakoekonomických analýzách mohou být hodnoceny v rámci přínosů/výsledků terapie pomocí jednotek vyjadřujících změny kvality života pacienta (tzv. *utility*).

Tab. 2: Typy nákladů a příklady

Typy nákladů	Příklady
Přímé zdravotnické náklady	léčivé přípravky aplikace léčivých přípravků monitoring léčby léčebné konzultace diagnostické testy hospitalizace ambulantní výkony výkony specialistů pohotovostní služby návštěvy lékaře u pacienta ošetřovatelství
Přímé nezdravotnické náklady	doprava k lékaři pomoc při práci v domácnosti ubytování při léčbě v jiném městě (pacient, rodina) služba hlídání dětí pacientů
Nepřímé náklady	ztráta produktivity pacienta ztráta produktivity pečovatele pacienta (člen rodiny, známý) ztráta produktivity z důvodu předčasného úmrtí pacienta
Nevyčíslitelné náklady	bolest a strádání únava úzkost

Náklady jsou nedílnou důležitou součástí každého ekonomického hodnocení zdravotnických technologií. Bez nich by nebylo možné jednotlivé způsoby léčby farmakoekonomicky hodnotit či porovnat. Nebudou-li náklady spojené s hodnocenou technologií správně určeny, dojde ke zkreslení výsledku farmakoekonomické analýzy, což může vést ve svém důsledku i k mylným rozhodnutím. Metodologie stanovení nákladů by měla být vždy dobře popsána, aby při interpretaci výsledků analýzy nedocházelo k chybám.

Pro oceňování nákladů, tzv. *costing*, nejsou stanovena striktní doporučení; oceňování nákladů tak může být provedeno více způsoby. Oceňování spotřeby zdrojů v oblasti zdravotnictví (zahrnuje přímé zdravotnické náklady - léčivé přípravky, prostředky zdravotnické techniky, hospitalizace, návštěvy lékaře apod.) patří k nejčastěji stanovovaným a relativně metodologicky nejjednodušším. Jejich změření lze dosáhnout několika způsoby, které se vzájemně liší v přesnosti. Na příkladu hospitalizačních nákladů je v následujícím schématu znázorněna úroveň přesnosti pro jednotlivé způsoby ocenění a jejich definice.



Obr. 3: Stupeň přesnosti pro jednotlivé způsoby oceňování nákladů

**nejpřesnější***Micro-costing*

Každé zaznamenané položce (např. laboratorní vyšetření, dny pobytu na lůžku, léčivé přípravky) je přiřazena jednotková cena.

*Case-mix group*

Stanovuje náklady za jednotlivé případy hospitalizovaných pacientů, uvažována je i délka hospitalizace (např. DRG\*). Přesnost závisí na dostupnosti podrobných informací charakterizujících jednotlivé případy.

*Disease-specific per diem*

Poskytuje průměrné denní náklady na léčbu jednotlivých onemocnění (což může být poměrně široká kategorie, např. ortopedická operace).

*Average per diem*

Jedná se o průměrné denní náklady všech pacientů bez vztahu k onemocnění. Obvykle dostupné ve všech zdravotnických systémech.

**nejméně přesný**

\* DRG – *diagnosis-related group*

Hlavní výhodou různých klasifikačních systémů (např. DRG = *diagnosis-related group* ve Spojených státech, Austrálii, částečně i v ČR; HRG = *health resource group* ve Velké Británii) je snadné použití a rychlý přístup k potřebným datům. Jako poměrně přesné se jeví v analýzách z pohledu plátce zdravotní péče, neboť vyjadřují, jaké má plátce výdaje za daný případ. Určitým omezením či nevýhodou je však jejich nepřesnost z pohledu poskytovatele zdravotní péče, který má uhrazen za pacienta paušál bez ohledu na skutečně vydané finanční prostředky. Porovnáním výše výdajů plátce na základě národních tarifů se skutečnými náklady zjištěnými v konkrétním zdravotnickém zařízení byly zjištěny značné rozdíly<sup>1</sup>.

<sup>1</sup> Například Beck *et al.* porovnával britské národní tarify s reálnými cenami za roční spotřebu zdrojů v londýnské nemocnici u dětí s detekovanými HIV protilátkami. V rámci porovnávaných skupin zjistil významné rozdíly, které dále vzrůstaly se zvyšující se potřebou péče a využíváním služeb.

Podobně Heerey *et al.* porovnávala DRG s metodou *micro-costing* a zjistila rozdíly v ceně v rozmezí od -9 % do 66 % v závislosti na sledované diagnóze. Procentuální rozdíl v nákladech mezi uvedenými metodami byl 66 % u akutního infarktu myokardu léčeného perkutánní koronární intervencí (pomocí DRG vykázány nižší náklady než reálné) a pouze -3 % u pacientů se srdečním selháním (metodou DRG vykázány nepatrně vyšší náklady). Výsledky porovnání jednotlivých metod oceňování nákladů jsou tedy poměrně různorodé. Rozhodujícím faktorem zůstává, nakolik různé metody oceňování nákladů mohou ovlivnit výsledek farmakoekonomického hodnocení.

Reed *et al.* hodnotil vliv způsobu ocenění hospitalizačních nákladů na statistické hodnocení výsledků ekonomických analýz v mezinárodních klinických studiích. Porovnávanými metodami bylo ocenění nákladů systémem DRG s průměrem, respektive mediánem nákladů na den vynásobeným počtem dní hospitalizace. Bylo zjištěno, že při oceňování hospitalizačních nákladů ve vztahu k délce hospitalizace je nutné do hodnocení zařadit větší počet pacientů k dostatečné statistické síle testu než při ocenění nákladů metodou DRG.

Na nezanedbatelný význam použitého způsobu ocenění nákladů upozorňuje ve své práci i Rittenhouse *et al.*, který zároveň zdůrazňuje, jak důležité je provést na závěr každého ekonomického hodnocení analýzu citlivosti (tj. vliv použitých vstupních parametrů na výsledky analýzy).

Ocenění nepřímých nákladů je ve srovnání s přímými zdravotnickými poměrně náročné a nepřesné. Zavedeny a v praxi využívány jsou tři metody. Ke starším způsobům patří metoda lidského kapitálu (*human capital*) a metoda výše ochoty platit (*willingness to pay*). V 90. letech k nim přibyla metoda *friction cost*.

Při použití **metody lidského kapitálu** jsou nepřímé náklady vyjádřeny jako ztráta produktivity zaměstnance. Výpočet se provádí součinem dní pracovní neschopnosti a průměrné mzdy zaměstnance. V případě předčasného úmrtí, jsou ztracené dny v zaměstnání odvozeny z pohlaví a věku pacienta, průměrné délky života, předpokládaného odchodu do důchodu apod. Tento postup má řadu omezení, zejména nezohledňuje náklady u ekonomicky neaktivních (studenti, důchodci) ani fakt, že invalidizace či předčasné úmrtí neznamená do budoucna neobsazení stejného místa, tedy ztráta produktivity pro společnost není trvalá.

S tímto problémem se vypořádala metoda ***friction cost***, která počítá s nahrazením indisponovaného jedince jiným pracovníkem. Pokles produktivity je počítán do doby, než je na stejné pracovní místo najat jiný pracovník (součin průměrné mzdy na den a dní, kdy není pracovní místo obsazeno). Nepřímé náklady stanovené metodou *friction cost* jsou ve srovnání se stanovením pomocí hodnoty lidského kapitálu nižší. I tato metoda je však kritizována řadou odborníků a to zejména ve smyslu nezohlednění erudice určitého pracovníka a jeho prostým nahrazením v průběhu několika měsíců. Stejně jako u metody lidského kapitálu nejsou ani zde zohledněny individuální preference jedince či dobrovolnická činnost (v podstatě cokoliv, co není součástí výdělku a souvisí s omezením pacienta v důsledku nemoci). Navíc výpočtům budoucích příjmů, které se v čase přirozeně mění, je potřeba věnovat velkou pozornost, neboť se ve skutečnosti mohou od použitého odhadu významně lišit.

Na individuální preference jedince je zaměřena **metoda založená na výši ochoty platit** (*willingness to pay*; WTP). Vyjadřuje, kolik by jedinec nebo společnost byli ochotni zaplatit za snížení pravděpodobnosti rozvoje onemocnění, zranění či úmrtí. Hodnota WTP odráží, nakolik si hodnocení jedinci cení svého zdravotního stavu či života. Jako jediná zahrnuje bolest a strádání vzniklé v souvislosti s chorobou. Výsledky jsou však vždy ovlivněny finančními možnostmi dotazovaných jedinců a s tím související schopností platit různě vysoké částky – vznikají rozdíly mezi chudými a bohatými ve společnosti. Nastává tak i etický problém, kdy je narušena rovnost (spravedlnost) mezi jedinci společnosti, tzv. ekvita. Někteří autoři navíc varují před možným dvojitým započítáním změny produktivity či bolesti a utrpení. Oba tyto parametry lze ve farmakoeconomických analýzách prospěšnosti nákladů (*cost benefit analysis*) a užitečnosti nákladů (*cost utility analysis*) vyjádřit i jako přínosy hodnocené technologie. Přínosem technologie může být jak zvýšení produktivity (návrat pacienta do zaměstnání vyjádřen ve finančních jednotkách), tak i snížení bolesti a utrpení (zvýšení kvality života vyjádřeno jako utilita).

### 1.4 Druh výsledků pro farmakoekonomické analýzy a způsob jejich měření

Jak bylo uvedeno výše, ekonomické hodnocení zdravotnických technologií porovnává spotřebu zdrojů (náklady) a jejich výsledky (přínosy) za účelem identifikace efektivních léčebných technologií. Měření výsledků léčby přibližuje ekonomické analýzy hodnocením zdravotnickým. Vždy je potřeba nahlížet na oba zmíněné parametry, neboť levnější technologie nemusí být přínosem pro pacienta, což ve svém důsledku vede k vyšší finanční zátěži pro zdravotnictví. Informace o výsledcích dosažených díky použité zdravotnické technologii může pocházet z klinických studií nebo z reálné klinické praxe. Hodnocením přínosů/účinnosti zdravotnických technologií v podmínkách reálné klinické praxe se zabývá obor nazývaný v zahraniční literatuře jako *outcomes research*, výzkum výsledků.

Zatímco hodnocení účinnosti v ideálních podmínkách klinického výzkumu (*efficacy*) probíhá nejčastěji ve srovnání s placebem a slouží jako důkaz pro registraci léčivého přípravku, terapeutická účinnost (*effectiveness*) je vlastností přípravku vyvolat žádoucí účinek v běžné klinické praxi ve srovnání s vhodným farmakologicky účinným komparátorem. Nákladová efektivita (*efficiency*) prokazuje schopnost dosažení žádoucího účinku s využitím přijatelných nákladů na terapii. Obory zabývající se stanovením klinické účinnosti, terapeutické účinnosti a nákladové efektivity včetně jejich porovnání uvádí následující tab. 3.

Tab. 3: Porovnání klinické účinnosti, terapeutické účinnosti a nákladové efektivity

	<b>Klinický výzkum</b>	<b>Výzkum výsledků</b>	<b>Farmakoekonomika</b>
<b>Hlavní cíl stanovení</b>	klinická účinnost ( <i>efficacy</i> )	terapeutická účinnost ( <i>effectiveness</i> )	nákladová efektivita ( <i>efficiency</i> )
<b>Design studie</b>	randomizované klinické studie	observační a randomizované studie	farmakoekonomické analýzy
<b>Sledované parametry</b>	klinická účinnost a bezpečnost	výsledky spojené s pacienty	vztah nákladů a výsledků
<b>Časový horizont</b>	krátkodobý	dlouhodobý	dlouhodobý
<b>Podmínky</b>	ideální klinické podmínky	běžná klinická praxe	běžná klinická praxe

Druh výsledku určité technologie je možné vyjádřit více způsoby, na základě nichž se rozlišují základní typy ekonomických analýz. Hlavními kategoriemi jsou změny zdravotního stavu pacienta, uspořené zdroje a tzv. jiné hodnoty.

Změnou zdravotního stavu jsou myšleny změny jedince v oblasti fyzické, sociální nebo emoční, jež nazýváme účinností hodnocené technologie (např. získané roky života, snížení počtu akutních příhod apod.). Lze je objektivně posoudit a změřit, avšak nezohledňují významnost, preference ani hodnoty, které jedinci či společnost přisuzují danému stavu a konkrétní dimenzi. Pro posouzení priorit souvisejících se změnou zdravotního stavu slouží postupy souhrnně označované jako výsledky sdělované pacientem (v zahraniční literatuře tzv. *patient-reported outcomes*; PRO), kam řadíme hodnotící skóre preferencí zdravotních stavů (*utility*) nebo ochotu platit (WTP = *willingness-to-pay*).

Druhou kategorií přínosů použité zdravotnické technologie je úspora zdrojů. Tato úspora zdrojů je stejně jako vynaložené náklady stanovena ve finančních jednotkách a vyjadřuje náklady, které nebyly vydány za alternativní technologii. Úspory dosáhneme například očkovaním, které po vložení nákladů na provedení vakcinace přináší úsporu v podobě nižšího počtu pacientů zasažených onemocněním a tím v nákladech s terapií spojených.

Kategorie tzv. jiných hodnot nesouvisí přímo se změnou zdravotního stavu pacienta, ale zahrnuje hodnotu informací nebo ujistění o individuálním zdravotním stavu. Je však otázkou, zda tyto informace souvisí spíše s poskytováním péče nebo rovněž s výsledky technologií jako v předchozích skupinách. Tyto jiné hodnoty jsou obvykle posuzovány společně se stanovením preferencí jedince či společnosti (*utility*, WTP).

## 1.5 Typy farmakoekonomických analýz

Základem každého farmakoekonomického hodnocení by mělo být vytvoření vztahu mezi náklady a přínosy sledované zdravotnické technologie a ty vzájemně porovnat s alternativní technologií. K používaným ekonomickým metodám hodnocení zdravotnických technologií jsou však řazeny i analýzy, které výše uvedené podmínky nesplňují. Mohou sloužit buď jako pomocné metody nebo vytvořením určitých předpokladů analýzu zjednodušit.

Mezi analýzy, které nezahrnují přínosy zdravotnické technologie či mezi srovnávanými technologiemi předpokládají stejnou účinnost, patří:

- analýza nákladů (*cost analysis*);
- analýza minimalizace nákladů (*cost minimization analysis*);
- analýza dopadu na rozpočet (*budget impact analysis*).

Mezi analýzy, které neumožňují vzájemné porovnání více technologií, se řadí:

- analýza důsledků nákladů (*cost consequence analysis*).

Všechny ostatní analýzy již umožňují porovnání s alternativami ve smyslu nákladů i přínosů, a to buď pouze po stránce ekonomické:

- analýza prospěšnosti nákladů (*cost benefit analysis*)

nebo po stránce ekonomicko-medicínské:

- analýza nákladové efektivity (*cost effectiveness analysis*)
- analýza užitečnosti nákladů (*cost utility analysis*)

Na základě výše uvedeného se také vžilo rozdělení typu analýzy podle způsobu měření a vyjádření jednotek přínosu. Ekonomické analýzy včetně způsobů vyjádření nákladů a přínosů jsou uvedeny v tab. 4.

Tab. 4: Typy ekonomických analýz dle uvažovaných nákladů, přínosů a sledování alternativ

<b>Typ analýzy</b>	<b>Způsob měření / ohodnocení nákladů</b>	<b>Identifikace přínosů sledované technologie i alternativ</b>	<b>Způsob měření / ohodnocení přínosů</b>
Analýza nákladů ( <i>cost analysis</i> )	finanční jednotky	nesledují se	nesledují se
Analýza minimalizace nákladů ( <i>cost minimization analysis</i> )	finanční jednotky	účinnost shodná pro sledované alternativy	nesledují se
Analýza dopadu na rozpočet ( <i>budget impact analysis</i> )	finanční jednotky	rozdíl nákladů mezi alternativami pro všechny léčené pacienty	finanční jednotky
Analýza důsledků nákladů ( <i>cost consequence analysis</i> )	finanční jednotky	komplexní účinnost konkrétní technologie bez porovnání s alternativou	kombinace více relevantních jednotek
Analýza prospěšnosti nákladů ( <i>cost benefit analysis</i> )	finanční jednotky	jednotná či komplexní účinnost složená z více sledovaných parametrů (nemusí být stanovena shodně)	finanční jednotky
Analýza nákladové efektivity ( <i>cost effectiveness analysis</i> )	finanční jednotky	jednotná účinnost společná oběma alternativám, dosažená v různém rozsahu	přirozené jednotky (získané roky života, snížení tlaku krve apod.)
Analýza užitečnosti nákladů ( <i>cost utility analysis</i> )	finanční jednotky	jednotná či komplexní účinnost složená z více sledovaných parametrů (nemusí být stanovena shodně)	roky života obvykle vztahované ke kvalitě (QALY)

### 1.5.1 Analýza nákladů

Identifikace a následné ohodnocení nákladů na zdravotnické technologie je součástí všech používaných farmakoekonomických analýz. Zároveň se jedná o samostatný typ analýzy, která porovnává náklady na různé technologie bez vztahu k jejich přínosům. Z důvodu vysokých nároků na správné a přesné stanovení nákladů na technologie pro využití v kompletních ekonomických hodnoceních je analýze nákladů potřeba věnovat velkou pozornost. Její provedení obvykle předchází kompletnímu farmakoekonomickému hodnocení. Zvláštním typem analýzy nákladů je analýza nákladů na onemocnění, která měří veškeré náklady spojené s daným onemocněním na určitém území. **Studie nákladů na onemocnění** (*cost of illness study*) stanovuje celkový ekonomický dopad onemocnění či zdravotního stavu na společnost pomocí identifikace, měření a hodnocení přímých a nepřímých nákladů bez ohledu na účinnost podávané léčby. Tato analýza obsáhne tedy nejen výdaje společnosti související s diagnostikou a léčbou, ale i budoucí výdaje, které nastanou v důsledku onemocnění, jako například ztráta produktivity z důvodu nemoci, zranění či předčasného úmrtí. Množství publikovaných analýz nákladů na onemocnění vzrůstá, metodologicky se však mezi sebou často liší. Mezi pět nejčastěji sledovaných parametrů z patří náklady na hospitalizaci, ambulantní návštěvy, léčivé přípravky, ztráta produktivity a laboratorní vyšetření.

Analýza nákladů na onemocnění se dělí dle uvažovaného časového horizontu na typ založený na prevalenci, respektive incidenci.

**Analýza nákladů na onemocnění založená na prevalenci** (*prevalence-based model*) měří celkovou roční spotřebu zdrojů související se sledovanou diagnózou po definované časové období (obvykle 1 rok) na určitém území bez ohledu na počátek a vývoj onemocnění (např. celkové náklady na pacienty s diabetes mellitus typu I v České republice v roce 2010).

**Analýza nákladů na onemocnění založená na incidenci** (*incidence-based model*) měří náklady na diagnózu od jejího počátku do konce života u všech nově diagnostikovaných pacientů za předem definované období (obvykle 1 rok) na určitém území. Je vhodná zejména pro chronická či život ohrožující onemocnění.

Analýza nákladů založená na prevalenci onemocnění je používána častěji z důvodu snazšího provedení. Může být použita za účelem kontroly výdajů za zdravotní péči či plánování budoucích výdajů; pokud jsou analýzy dostupné pro více po sobě jdoucích let, lze stanovit i prognózu vývoje nákladů v čase. Nákladové studie založené na incidenci jsou výhodné pro porovnání různých intervencí a s nimi souvisejícími budoucími náklady (např. vliv léčby nebo prevence na vývoj nákladů v čase). Jedná-li se o dlouhodobé chronické onemocnění, je provedení takové analýzy časově velice náročné a nákladné. Pak lze použít i metodu založenou na prevalenci, vyjádřit roční náklady pro různá stádia onemocnění a modelovat vývoj nákladů na onemocnění od propuknutí do úmrtí pacientů.

Hodnocení celkových nákladů na onemocnění analýzou *cost of illness* přináší cenné informace. Touto metodou lze spočítat, kolik prostředků vydává společnost na jednotlivá onemocnění a tím zjistit, kolik by se ušetřilo jejich eliminací. Zmapování struktury výdajů umožňuje směřovat výzkum a finance do nejvíce potřebných oblastí, v nichž je možné dosáhnout úspor (priority alokace zdrojů). Existují však i argumenty proti provádění a využívání analýz nákladů na onemocnění při stanovování priorit v rámci plánování výdajů. Podle některých autorů pouhá identifikace vysoce nákladné oblasti nedosvědčuje, že jsou tyto výdaje neefektivní. K neefektivním výdajům dochází tehdy, pokud by dostupné prostředky byly schopny generovat větší přínosy využitím v jiné oblasti. Navíc ne u všech onemocnění lze posílením prevence dosáhnout jejich úplné eliminace. Stanovení efektivity výdajů není bez hodnocení přínosů možné, proto by pro rozhodování o veřejných výdajích měly rozhodovat kompletní hodnocení nákladové efektivity, které zahrnují náklady i přínosy jednotlivých technologií.

### 1.5.2 Analýza minimalizace nákladů

Analýza minimalizace nákladů (*cost minimization analysis* - CMA) je nejjednodušším typem kompletní farmakoekonomické analýzy (zahrnuje náklady i výsledky léčby), avšak předpokladem jejího provedení je shodnost výsledků porovnávaných zdravotnických technologií. Mají-li tedy srovnatelné technologie podobný terapeutický účinek, porovnají se pouze náklady. Výhoda v podobě jednoduchosti samotného provedení je zároveň hlavním omezením využití analýzy minimalizace nákladů v praxi, neboť shodných výsledků dosahují různé technologie zcela výjimečně (nová léčba je většinou účinnější).

Příkladem použití CMA může být porovnání dvou generických léčiv nebo různých způsobů aplikace téhož léčiva (např. p.o. vs. i.v. aplikace), kdy odečteme náklady na léčbu komparátorem od hodnocené technologie (tab. 5).

Tab. 5: Příklad výpočtu analýzy minimalizace nákladů

	<b>komparátor</b>	<b>nová technologie</b>
mortalita / rok	pokles z 25% na 15%	pokles z 25% na 15%
náklady na léčbu	10.000 Kč	20.000 Kč
náklady na aplikaci léčby	i.v. (hospitalizace + monitoring) 12.000 Kč	p.o. (ambulantně + lab.1x rok) 500 Kč
<b>Celkem</b>	<b>22.000 Kč</b>	<b>20.500 Kč</b>

### 1.5.3 Analýza dopadu na rozpočet

**Analýza dopadu na rozpočet** (*budget impact analysis* - BIA) se nejčastěji využívá v rámci rozhodovacího procesu o zařazení nového léčiva do systému úhrad. Vyjadřuje inkrementální náklady vyplývající ze zavedení nové technologie, tedy změnu čerpání ze zdrojů zdravotního či lékového rozpočtu v daném časovém období (obvykle 3–5 let). Vypočítá se jako rozdíl v celkových výdajích na všechny relevantní pacienty za rok před a po zavedení nové technologie na trh, resp. stanovení úhrady z veřejného zdravotního pojištění. Velký význam zde hraje i dynamika vstupu nové technologie na trh, neboť správný odhad počtu léčených pacientů v jednotlivých letech je pro výsledek této analýzy klíčový.

Příklad výpočtu BIA uvádí následující tabulka.

Tab.6: Příklad výpočtu analýzy dopadu na rozpočet v 3-letém časovém horizontu

		<b>není zavedena nová technologie</b>	<b>nová technologie je hrazena z VeZP</b>	<b>dopad na rozpočet</b>
náklady na léčbu 1 pacienta / rok		100 000 Kč (stávající léčba A)	150 000 Kč (nová léčba B)	50 000 Kč
<b>2014</b>	počet léčených pacientů	50	40 A + 10 B	<b>500 000 Kč</b>
	celkové náklady VeZP	5 000 000 Kč	4 000 000 + 1 500 000 Kč	
<b>2015</b>	počet léčených pacientů	51	20 A + 31 B	<b>1 550 000 Kč</b>
	celkové náklady VeZP	5 100 000 Kč	2 000 000 + 4 650 000 Kč	
<b>2016</b>	počet léčených pacientů	52	10 A + 42 B	<b>2 100 000 Kč</b>
	celkové náklady VeZP	5 200 000 Kč	1 000 000 + 6 300 000 Kč	

VeZP – veřejné zdravotní pojištění

Tab. 7: převzato dle T. Doležala

<b>Tabulka 2: Požadavky na analýzu dopadu na rozpočet pro Českou republiku (dle žádosti pro SÚKL)</b>	
<b>Požadovaný údaj</b>	<b>Komentář</b>
Definice cílové populace s danou diagnózou	Prevalence onemocnění založena na ověřitelných zdrojích
Kvalifikovaný odhad počtu pacientů, kteří budou skutečně léčeni	Pacienti, kteří odpovídají indikačním a preskripčním omezením a jsou reálně dostupní v daném čase. Údaj by měl být doložen zdrojem a být ověřitelný.
Náklady na jednoho pacienta při definované délce terapie – nová léčba	Náklady na léky a přidružené náklady (podání, příprava léčiv, diagnostické testy, spojené ambulantní nebo nemocniční náklady)
Náklady na jednoho pacienta při definované délce terapie - stávající terapie	Náklady na léky a přidružené náklady (podání, příprava léčiv, diagnostické testy, spojené ambulantní nebo nemocniční náklady)
Popis stávající terapie	Definice léčebné intervence, preskripční a indikační kritéria.
Předpokládaný dopad na rozpočet v 1. až 5. roce po uvedení na trh	Tento údaj vychází z rozdílu nákladů na novou a stávající terapii a jeho vynásobením kvalifikovaným a doložitelným odhadem počtu pacientů, kteří odpovídají indikačním omezením



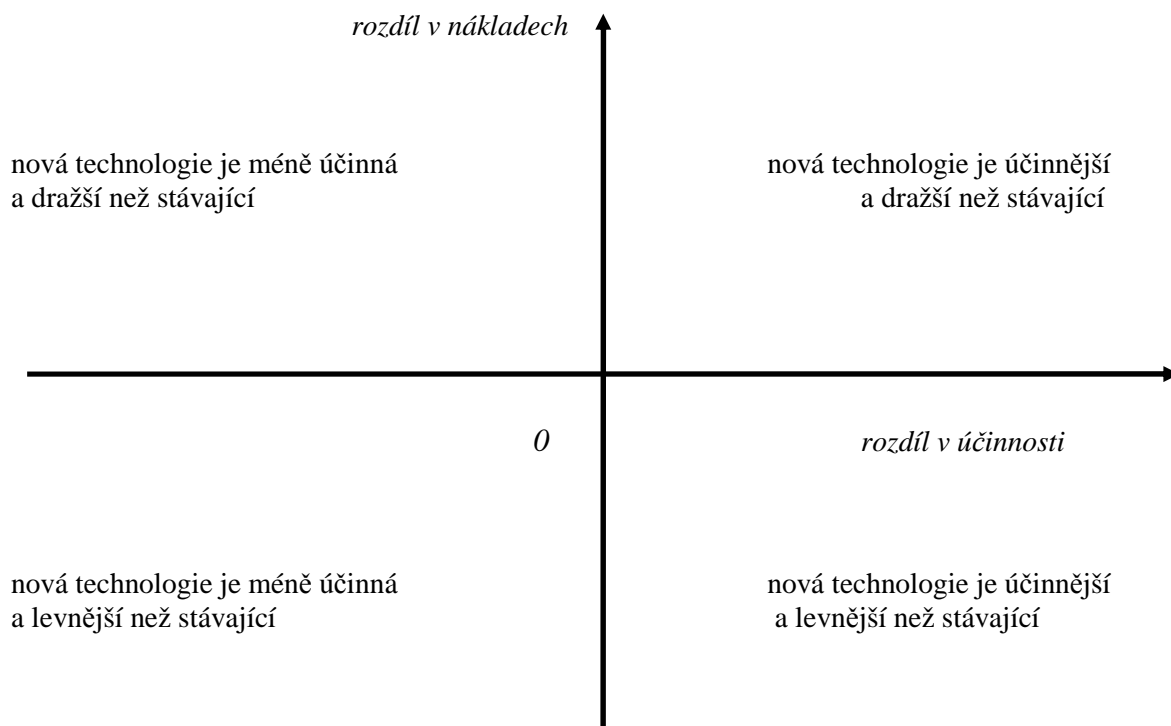
### 1.5.4 Analýza nákladové efektivity

S **analýzou nákladové efektivity** (*cost-effectiveness analysis* - CEA) se v praxi setkáváme nejčastěji. Jedná se o porovnání finančních nákladů s klinickou účinností, tedy hledání technologie, která za optimální náklady nejlépe ovlivní průběh nemoci. Mezi parametry klinické účinnosti řadíme buď dílčí změny zdravotního stavu (např. výskyt akutních epizod či symptomů onemocnění, změny krevního tlaku, plazmatických hladin cholesterolu apod.) nebo komplexní změny (délka života, doba do progresu onemocnění apod.). Vždy se jedná o biologické parametry, jejichž změny lze vyjádřit číselnou hodnotou (kvantifikace účinnosti).

Výsledkem CEA je cena za klinickou jednotku, resp. častěji při vzájemném porovnání vyjádříme výsledek jako náklady na přidanou jednotku účinnosti oproti komparátoru (cena za získaný rok života: *life-year gained* - LYG).

Pro ilustraci možných výsledků porovnání nové technologie se stávající (tj. komparátor) prostřednictvím jejich nákladů a účinnosti se využívá tzv. *cost-effectiveness plane*. Celkem můžeme dospět ke 4 možným výsledkům, jež jsou znázorněny na obr. 4. Pokud je nová technologie oproti stávající účinnější při nižších nákladech (pravý dolní kvadrant – jihovýchod), pak ji nazýváme dominantní a měla by být v praxi upřednostňována. Naopak nová dražší technologie generující menší přínos než komparátor (levý horní kvadrant – severozápad) by měla být zamítnuta; je takzvaně dominována. Výsledky, s nimiž se v praxi díky rozvíjejícímu se výzkum a vývoji setkáváme nejčastěji, spadají do pravého horního kvadrantu (severovýchod), což jsou nákladnější technologie přinášející vyšší účinnost. U nich je třeba posoudit, kolik nás stojí každá další jednotka přínosu. Naopak spíše výjimečně je hodnocena nová technologie, jež při nižších nákladech má nižší účinnost (levý dolní kvadrant – jihozápad).

Obr. 4: Ilustrace porovnání nové technologie se stávající zahrnující náklady i účinnost (tzv. *cost-effectiveness plane*)



Rozhodnutí o nákladové efektivitě konkrétní nové technologie tedy závisí na poměru v rozdílech nákladů a účinností dvou alternativ, tzv. inkrementálním poměru nákladové efektivity (*incremental cost-effectiveness ratio* – ICER), jehož výsledkem je cena na jednotku účinnosti nové technologie oproti stávající.

$$ICER = \frac{C_1 - C_0}{E_1 - E_0}, \text{ kde}$$

$C_1$  – náklady na novou technologii

$C_0$  – náklady na stávající technologii - komparátora

$E_1$  – účinnost nové technologie

$E_0$  – účinnost stávající technologie – komparátor

Tab. 8: Příklad výpočtu ICER analýzy nákladové efektivity

	komparátor	hodnocená technologie
náklady na léčbu	1 500 000Kč	3 000 000Kč
účinnost – délka života	1,5 roku	2 roky
náklady / účinnost	1 000 000 Kč / 1 rok života	1 500 000 Kč / 1 rok života
<b>ICER:</b> technologie B vs. komparátor A	$(3\,000\,000 - 1\,500\,000) / (2 - 1,5) =$ <b>= 2 000 000 Kč / 1 získaný rok života (LYG)</b>	

Za hlavní výhodu analýzy nákladové efektivity je považována snadnost provedení díky výsledkům léčby v jednotkách, jež jsou dostupné z běžné klinické praxe nebo klinických studií. Určitou nevýhodou je, zejména u dílčích parametrů účinnosti, nemožnost porovnání výsledků analýz mezi léčbou v různých indikacích. Rovněž výsledek v podobě nákladů na jediný z více klinických parametrů měřených u daného onemocnění nemusí být vždy úplně vypovídající.

### 1.5.5 Analýza nákladové užitečnosti

**Analýza nákladové užitečnosti** (*cost-utility analysis* - CUA) hodnotí náklady na získané roky života přepočítané na roky se standardní kvalitou života, tedy výsledek léčby je komplexním parametrem, jenž zahrnuje preference pacienta, lékaře či společnosti. Kvalitou života rozumíme subjektivní hodnocení změn somatických a psychických pocitů a změn postavení pacienta ve společnosti. Veličina vyjadřující v CUA kvalitu života se nazývá *utility* (= užitečnost) a stanovuje se v rozmezí 0 (úmrtí) až 1 (plné zdraví). Touto hodnotou pak vynásobíme dobu, po níž je dané kvality života dosahováno a získáme parametr QALY (*Quality Adjusted Life Year* = *utility* x roky života; tab. 10).

Tab. 10: Způsob výpočtu parametru QALY

	délka života	utility	QALY
1 rok plného zdraví	1	1	1
2 roky plného zdraví	2	1	2
2 roky 50% kvality života	2	0,5	1
4 roky 25% kvality života	4	0,25	1

Díky měření morbidit (kvalita života) i mortality (délka života), jež vyjádříme jedním souhrnným parametrem (QALY), jsme schopni vzájemně porovnat výsledky analýz pro různé terapeutické intervence bez ohledu na druh onemocnění, což usnadňuje rozhodovací procesy o alokaci prostředků ve zdravotnictví. Úskalím však zůstává způsob stanovení hodnoty *utility*, neboť existují velké rozdíly

při použití různých nástrojů pro jejich měření (např. dotazníky kvality života, preferenční techniky, stupnice, škály apod.).

Stejně jako v případě analýzy nákladové efektivity jsou výsledky obvykle vyjadřovány jako náklady na získané QALY oproti komparátoru, tedy inkrementálním poměrem. Příklad výpočtu analýzy nákladové užitečnosti pro hodnocenou technologii oproti komparátoru uvádí tab. 11.

Tab. 11: Příklad výpočtu ICUR (*incremental cost-utility ratio*) analýzy nákladové užitečnosti

	<b>komparátor</b>	<b>hodnocená technologie</b>
náklady na léčbu	150 000Kč	200 000Kč
délka života	3,5 roku	4,5 roku
<i>utility</i>	0,60	0,72
QALY	2,1	3,24
<b>ICUR:</b> hodnocená technologie vs. komparátor	$(200\ 000 - 150\ 000) / (3,24 - 2,1) =$ <b>= 43 860 Kč / 1 QALY</b>	

### 1.5.6 Další typy analýz

**Analýza nákladové prospěšnosti** (*cost-benefit analysis - CBA*) je zvláštním typem analýzy, v níž jsou náklady i výsledky terapie vyjádřeny ve finančních jednotkách. Obvykle s ní stanovujeme finanční přínos nové intervence pro jednotlivce, eventuelně společnost. Aby bylo možné tuto analýzu v praxi použít, musí mít terapeutické výsledky komplexní charakter. Výhodou CBA je možnost vzájemného porovnání výsledků analýz různorodých technologií, neboť výsledek je vždy finanční. Zároveň nám analýza stanoví, zda vložené finance (náklady) převyšují nebo naopak jsou nižší než zjištěná náklady na straně výsledků léčby. Samotné provedení v podobě finančního ohodnocení výsledku léčby je však značně komplikované a je považováno za hlavní překážku širšího využití tohoto typu analýz v praxi.

Typickým příkladem analýzy nákladové prospěšnosti jsou různé preventivní programy (očkování, screening apod.), neboť náklady stanovíme běžným způsobem a výsledky (účinnost) léčby finančně ohodnotíme jako náklady na léčbu onemocnění, jemuž jsme díky včasnému zásahu předešli. Vzhledem k dlouhodobému časovému horizontu těchto analýz je třeba nezapomenout na diskontaci.

**Analýza důsledků nákladů** (*cost-consequence analysis*) je jednoduchou farmakoekonomickou analýzou, jež nám však neumožní jednotlivé zdravotnické technologie přímo srovnat. Jedná se o přehled nákladů a výsledků léčby při použití hodnocené intervence či programu bez dalších výpočtů či přímých porovnání.

## 1.6 Využití farmakoekonomiky

Praktické využití výsledků ekonomických hodnocení zdravotnických technologií je značné, liší se však míra uplatnění mezi jednotlivými zeměmi. Hlavními místy aplikace výsledků analýz v praxi jsou rozhodování o alokaci zdrojů – příprava rozpočtů; dále stanovení úhrad za poskytování zdravotní péče a zejména stanovení výše a podmínek úhrady léčivých přípravků. Výsledky ekonomických analýz by měly být i jedním ze zvažovaných faktorů při tvorbě doporučených terapeutických postupů odborných společností. To vše však vyžaduje jednotnou metodologii pro provádění farmakoekonomických analýz za účelem možného porovnání výsledků analýz.

První závazná doporučení (*guidelines*) pro farmakoekonomické hodnocení léčivých přípravků vznikla v Austrálii v roce 1992 (platí po provedení několika aktualizací od roku 1993). Podle nich jsou žadatelé o úhradu léčivého přípravku povinni doložit jeho nákladovou efektivitu a analýzu dopadu na rozpočet po vstupu přípravku na trh. Jako poradní orgán vlády slouží zvláštní komise (*Pharmaceutical Benefits Advisory Committee* – PBAC), která nezávisle hodnotí farmakoekonomické analýzy dodané výrobcem. Jednou z prvních evropských zemí se zavedeným systémem ekonomického hodnocení zdravotnických technologií (včetně léčivých přípravků) byla Velká Británie, kde jako poradní orgán pro Anglii a Wales slouží od roku 1999 tzv. NICE (*National Institute for Health and Clinical Excellence*). Podobně jako PBAC se zabývá hodnocením dodaných analýz, navíc vytváří i analýzy z vlastních dat a následně vydává směrnice, které mají funkci doporučení a jsou volně dostupné na internetových stránkách NICE. Uvedení doporučení do praxe je dalším krokem, který vyžaduje úzkou spolupráci specialistů z NICE s poskytovateli zdravotní péče, kteří jsou ve Velké Británii financováni z daní a spadají pod „Národní zdravotní systém“ (*National Health System* – NHS; samostatné pro Anglii, Wales, Skotsko a Severní Irsko). Vzhledem k tomu, že NICE byl zřízen jako nezávislá agentura NHS, jsou směrnice jednotlivými poskytovateli zdravotní péče akceptovány. NICE však není regulačním orgánem, o hrazení léčivých přípravků rozhoduje výkonný orgán ministerstva zdravotnictví - *Medicines and Healthcare products Regulatory Agency*. Doporučené postupy pro žadatele dokládající důkazy o klinické a nákladové efektivitě nově zaváděné technologie jsou rovněž vydány v podobě směrnice NICE. Dalším zahraničním příkladem s vyspělou farmakoekonomikou včetně propracovaných doporučení je Německo, kde se hodnocením kvality, účinnosti a nákladové efektivitě zdravotnických technologií zabývá od roku 2004 nezávislý institut, tzv. IQWiG (*Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen*). Podobně jako v případě NICE, je celý proces vysoce transparentní a jeho účelem je poskytovat nezávislé informace založené na důkazech, které budou dostupné nejen odborníkům, ale i široké veřejnosti. Přehled dostupných doporučení z celého světa je k dispozici na internetových stránkách mezinárodní farmakoekonomické společnosti ISPOR (*International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research*) a to včetně možnosti porovnání mezi jednotlivými zeměmi ISPOR zformovalo i několik výzkumných skupin, jež poskytují praktické výstupy v podobě mezinárodně uznávaných doporučení správné praxe při provádění jednotlivých typů farmakoekonomických analýz a hodnocení výsledků terapie. Obvykle jsou tato doporučení publikována v impaktovaném časopise *Value in Health*, dostupná jsou i on-line ze stránek společnosti.

Požadavek na hodnocení nákladové efektivitě se v české legislativě poprvé objevil v roce 2008 ve vyhlášce číslo 92/2008 Sb., o stanovení seznamu zemí referenčního koše, způsobu hodnocení výše, podmínek a formy úhrady léčivých přípravků a potravin pro zvláštní lékařské účely a náležitostech žádosti o stanovení výše úhrady, ve znění pozdějších předpisů, což je prováděcí předpis zákona číslo 48/1997 Sb., o veřejném zdravotním pojištění a o změně a doplnění některých souvisejících zákonů, ve znění pozdějších předpisů. Podle těchto předpisů mohou žadatelé o úhradu (obvykle držitelé rozhodnutí o registraci) předložit Státnímu ústavu pro kontrolu léčiv (SÚKL) hodnocení nákladové efektivitě a dopadu na rozpočet. Za nákladově efektivní postup je pak v ČR považován takový postup, který při srovnatelných nákladech přináší stejný nebo vyšší terapeutický účinek spočívající v prodloužení života, zlepšení kvality života nebo zlepšení podstatného měřitelného kritéria příslušného onemocnění. Dále takový postup, který při alespoň srovnatelném terapeutickém účinku znamená nižší celkové náklady pro systém zdravotního pojištění. A také postup, jehož poměr mezi náklady a přínosy je při vyšších nákladech a vyšším terapeutickém účinku srovnatelný s jinými terapeutickými postupy hrazenými z prostředků zdravotního pojištění.

V České republice jsou k dispozici doporučené postupy pro farmakoekonomické analýzy vydané Českou farmakoekonomickou společností (ČFES; založena v roce 2005) a postupy pro hodnocení nákladové efektivity a dopadu do rozpočtu publikované SÚKL začátkem roku 2013, jež slouží hodnotitelům sekce Cen a úhrad SÚKL při stanovování a změně výše a podmínek úhrady léčivých přípravků a potravin pro zvláštní lékařské účely.

Kvalitu a validitu žadatelem dodané farmakoekonomické analýzy hodnotí SÚKL, který má zároveň moc výkonnou, tedy rozhoduje o výši a podmínkách úhrady. Procesy hodnocení analýz (případně vytvoření vlastních nezávislých analýz) a rozhodování o úhradách by měly být od sebe odděleny, jak je zvykem v zahraničí (viz výše). Navíc rozhodnutí o nákladově efektivní léčbě není prakticky možné bez stanovení maximální hranice, kterou je společnost ochotna platit za přidané jednotky účinnosti (např. roky života, QALY apod.). Koncepce „horní hranice“ (*threshold*) byla navržena již v roce 1973 a vyjadřuje hodnotu nákladů a užitků, jež musí hodnocená technologie maximálně dosahovat, aby byla přijata v konkrétním zdravotnickém systému. V ČR však dosud nebyla oficiálně stanovena, nejčastěji se zmiňuje WHO doporučená hodnota odpovídající trojnásobku hrubého domácího produktu (HDP) na osobu.

## Použitá literatura

- AKOBUNDU, E., JU, J., BLATT, L. & MULLINS, C. D. 2006. Cost-of-illness studies : a review of current methods. *Pharmacoeconomics*, 24, 869-90.
- BARTÁŠKOVÁ, D. 2006. Farmakoekonomika v klinické praxi. *Farmakoekonomika*, 1, 4.
- BECK, E. J., BEECHAM, J., MANDALIA, S., GRIFFITH, R., WALTERS, M. D., BOULTON, M. & MILLER, D. L. 1999. What is the cost of getting the price wrong? *J Public Health Med*, 21, 311-7.
- BERGER, M., BINGEFORS, K., HEDBLUM, E. & PASHOS, C. 2003. Health care cost, quality, and outcomes, Lawrenceville.
- BROUWER, W., RUTTEN, F. & KOOPMANSCHAP, M. 2001. Costing in economic evaluations. In: DRUMMOND, M. & MCGUIRE, A. (eds.) *Economic evaluation in health care: merging theory with practice*. New York: Oxford University Press.
- BROUWER, W. B., KOOPMANSCHAP, M. A. & RUTTEN, F. F. 1997. Productivity costs measurement through quality of life? A response to the recommendation of the Washington Panel. *Health Econ*, 6, 253-9.
- BYFORD, S. & RAFTERY, J. 1998. Perspectives in economic evaluation. (Clinical research ed. 1998 May 16;316(7143):1529-1530. *BMJ* [Online], 16.
- BYFORD, S., TORGERSON, D. J. & RAFTERY, J. 2000. Economic note: cost of illness studies. *Bmj*, 320, 1335.
- DOLEŽAL, T. 2007a. Analýza nákladové efektivity - Cost-effectiveness analysis (CEA). In: KOLAUTORŮ (ed.) *Základy farmakoekonomiky pro lékaře, lékárníky a další pracovníky ve zdravotnictví*. Praha: ČFES.
- DOLEŽAL, T. 2007b. Význam farmakoekonomického hodnocení. *Základy farmakoekonomiky pro lékaře, lékárníky a další pracovníky ve zdravotnictví*. Praha: ČFES.
- DONALDSON, C. & SHACKLEY, P. 1997. Does "process utility" exist? A case study of willingness to pay for laparoscopic cholecystectomy. *Soc Sci Med*, 44, 699-707.
- DRUMMOND, M., SCULPHER, M., TORRANCE, G., O'BRIEN, B. & AL., E. 2005a. *Methods for the economic evaluation of health care programmes*, third ed., New York, Oxford University Press.
- DRUMMOND, M. F., SCULPHER, M. J., TORRANCE, G. W., O'BRIEN, B. J. & STODDART, G. L. 2005b. *Methods for the economic evaluation of health care programmes*, New York, Oxford University Press.
- FILIP, K. & SECHSER, T. 2006. Základní terminologie ve farmakoekonomice a farmakoterapii - 9.část. *Remedia*, 16, 5.
- GLICK, H., DOSHI, J., SONNAD, S. & POLSKY, D. 2007. *Economic evaluation in clinical trials.*, New York, Oxford University Press.
- GLIED, S. 1996. Estimating the indirect cost of illness: an assessment of the forgone earnings approach. *Am J Public Health*, 86, 1723-8.
- GOEREE, R., O'BRIEN, B. J., BLACKHOUSE, G., AGRO, K. & GOERING, P. 1999. The valuation of productivity costs due to premature mortality: a comparison of the human-capital and friction-cost methods for schizophrenia. *Can J Psychiatry*, 44, 455-63.
- HEEREY, A., MCGOWAN, B., RYAN, M. & BARRY, M. 2002. Microcosting versus DRGs in the provision of cost estimates for use in pharmacoeconomic evaluation. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*, 2, 29-33.
- HODGSON, T. A. & MEINERS, M. R. 1982. Cost-of-illness methodology: a guide to current practices and procedures. *Milbank Mem Fund Q Health Soc*, 60, 429-62.
- HOLOMÁŇ, J., FOLTÁN, V. & BIELIK, J. 2004. *Základy farmakoekonomiky*, Nové Mesto nad Váhom, TISING.
- CHOI, B. K. & PAK, A. W. 2002. A method for comparing and combining cost-of-illness studies: an example from cardiovascular disease. *Chronic Dis Can*, 23, 47-57.
- IQWIG 2009. Working Paper on Cost Estimation. *Methods for health economic evaluation*. Version 1.0. 19-11-2009. Institute for Quality and Efficiency in Health Care.
- JACOBS, P., OHINMAA, A. & BRADY, B. 2005. Providing systematic guidance in pharmacoeconomic guidelines for analysing costs. *Pharmacoeconomics*, 23, 143-53.

- JOHANNESSON, M., JONSSON, B. & KARLSSON, G. 1996. Outcome measurement in economic evaluation. *Health Econ*, 5, 279-96.
- KIRCH, W. 2008. *Encyclopedia of Public Health*, New York, Springer.
- KOOPMANSCHAP, M. A. & RUTTEN, F. F. 1993. Indirect costs in economic studies: confronting the confusion. *Pharmacoeconomics*, 4, 446-54.
- KOOPMANSCHAP, M. A. & RUTTEN, F. F. 1996. A practical guide for calculating indirect costs of disease. *Pharmacoeconomics*, 10, 460-6.
- KOOPMANSCHAP, M. A., RUTTEN, F. F., VAN INEVELD, B. M. & VAN ROIJEN, L. 1995. The friction cost method for measuring indirect costs of disease. *J Health Econ*, 14, 171-89.
- MALÝ, I. 1996. *Vybrané otázky z ekonomie zdravotní péče*. Ekonomicko-správní fakulta Masarykovy univerzity v Brně.
- MUENNING, P. 2008. *Cost-effectiveness analysis in health*, San Francisco, Jossey-Bass.
- OLSEN, J. A. & RICHARDSON, J. 1999. Production gains from health care: what should be included in cost-effectiveness analyses? *Soc Sci Med*, 49, 17-26.
- OOSTENBRINK, J. B., KOOPMANSCHAP, M. A. & RUTTEN, F. F. 2002. Standardisation of costs: the Dutch Manual for Costing in economic evaluations. *Pharmacoeconomics*, 20, 443-54.
- RASCATI, K. 2009. *Essentials of pharmacoeconomics*, Baltimore, Lippincott Williams Wilkins.
- REED, S. D., FRIEDMAN, J. Y., GNANASAKTHY, A. & SCHULMAN, K. A. 2003. Comparison of hospital costing methods in an economic evaluation of a multinational clinical trial. *Int J Technol Assess Health Care*, 19, 396-406.
- RICE, D. P. 1994. Cost-of-illness studies: fact or fiction? *Lancet*, 344, 1519-20.
- RICE, D. P., HODGSON, T. A. & KOPSTEIN, A. N. 1985. The economic costs of illness: a replication and update. *Health Care Financ Rev*, 7, 61-80.
- RITTENHOUSE, B. E., DULISSE, B. & STINNETT, A. A. 1999. At what price significance? The effect of price estimates on statistical inference in economic evaluation. *Health Econ*, 8, 213-9.
- ROBERTSON, J., LANG, D. & HILL, S. 2003. Use of pharmacoeconomics in prescribing research. Part 1: costs--moving beyond the acquisition price for drugs. *J Clin Pharm Ther*, 28, 73-9.
- ROBINSON, R. 1993. Cost-effectiveness analysis. *Bmj*, 307, 793-5.
- RYCHLIK, R. 2002. *Strategies in pharmacoeconomics and outcomes research*, Binghamton, The Haworth Press, Inc.
- SCITOVSKY, A. A. & RICE, D. P. 1987. Estimates of the direct and indirect costs of acquired immunodeficiency syndrome in the United States, 1985, 1986, and 1991. *Public Health Rep*, 102, 5-17.
- SHAYA, F. T., MULLINS, C. D. & WONG, W. 2002. Incidence versus prevalence modeling in pharmacoeconomics. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*, 2, 435-42.
- SYNEK, M. 2007. *Manažerská ekonomika*, Praha, Grada Publishing a.s.
- TORRANCE, G., SIEGEL, J., LUCE, B., GOLD, M. & AL., E. 1996. Framin g and designing the cost-effectiveness analysis. In: GOLD, M., SIEGEL, J., RUSSELL, L. & WEINSTEIN, M. (eds.) *Cost-effectiveness in health and medicine*. New York: Oxford University Press.
- VLČEK, J. & DALECKÁ, R. 2005. *Základy farmakoepidemiologie, farmakoekonomiky a farmakoinformatiky.*, Praha, Remedia.
- WALLEY, T., HAYCOX, A. & BOLAND, A. 2004. *Pharmacoeconomics*, Elsevier Health Sciences.
- WEINSTEIN, M. C., SIEGEL, J. E., GARBER, A. M., LIPSCOMB, J., LUCE, B. R., MANNING, W. G., JR. & TORRANCE, G. W. 1997. Productivity costs, time costs and health-related quality of life: a response to the Erasmus Group. *Health Econ*, 6, 505-10.
- WILLIAMS, A. 1999. Calculating the global burden of disease: time for a strategic reappraisal? *Health Econ*, 8, 1-8.