



Je QALY opravdu tak špatný koncept aneb Vadí nám QALY nebo objektivní ekonomické zhodnocení?

Tomáš Mlčoch, Tomáš Doležal

Souhrn

Kvalita života a specifický parametr roku života v plné kvalitě (quality-adjusted life-year, QALY) jsou od svého vzniku čas od času kritizovány a přinášejí rozporuplné názory a vášnivé debaty napříč farmakoekonomickou obcí. Poslední kritikou z českého prostředí je článek Michala Burgera: Farmakoekonomika jako kargokultická věda? publikovaný v tomto časopise, následující článek je reakcí na něj.

QALY je nejpoužívanějším parametrem při tvorbě analýz nákladové efektivity, které jsou podkladem pro získání úhrady nových zdravotnických technologií (v ČR především nových léčivých přípravků). Převážná část vyspělých zdravotních systémů používá právě QALY, a to z celé řady důvodů: např. kombinace délky i kvality života, zanesení preferencí pacientů (např. mezi kvalitou a délkou života), porovnání terapií a jejich nákladové efektivity napříč zdravotním systémem, racionální alokace vzácných zdrojů v porovnání se současně hrazenými terapiemi, transparence aj. Použití parametru QALY s sebou přirozeně přináší i úskalí, jako například odlišné hodnoty utilit při použití odlišných metod, nemožnost ocenění pomocí QALY a necitlivost QALY u určitých stavů/diagnóz.

Článek se snaží vyzdvihnout a doplnit pro celistvost obrazu pozitivního používání QALY a zasazuje farmakoekonomické analýzy do mezinárodního kontextu, což dle našeho názoru nemuselo být v původním článku zcela zřejmé. V neposlední řadě je třeba zdůraznit, že QALY není mantrou, ale spíše nejlepší z existujících alternativ, kdy nastavuje jasná a transparentní pravidla v systému. Při nemožnosti použití/získání QALY může být alternativou použití multikriteriální analýzy, která má však celou řadu úskalí, a proto by neměla mít ambici nahradit současný systém. Ten lze na druhou stranu obohatit použitím metody tzv. value-based pricing, která využívá flexibilní hranici ochoty platit při zvážení dalších faktorů, např. závažnosti a vzácnosti onemocnění nebo neexistence léčebných alternativ.

Klíčová slova

výhody QALY, nevýhody QALY, analýza nákladové efektivity, farmakoekonomická analýza, racionální užití zdrojů ve zdravotnictví, zdravotní ekonomie



Summary

Quality of life and a parameter quality-adjusted life-year (QALY) in particular has been since its inception occasionally criticized and it also brings contradictory opinions and passionate debates among pharmacoeconomists. The last critique from the Czech environment was mentioned in an article published in this journal by Michal Burger and our article is a reaction on it.

QALY is the single and the most used outcome parameter in cost-effectiveness analyses which are necessary in obtaining reimbursement of new health technologies from public health insurance (in the Czech Republic especially medicinal products). The majority of developed health systems use QALY due to many practical reasons: a combination of length and quality of life, inclusion of patients' preferences (e.g. between quality and length of life), a comparison of therapies and their cost-effectiveness across the whole health system, rational allocation of scarce resources in comparison with currently reimbursed therapies, transparency etc. QALY has, indeed, its weaknesses such as different utility values with different methods used, inability and insensitiveness of QALY in certain states or diagnosis.

Our article tries to highlight and add positives of using QALY and discusses pharmacoeconomic analyses in the international context, which, in our opinion, did not have to be obvious in the original article by Michal Burger. Lastly, it is necessary to emphasize that QALY is not "mantra" but rather the best from existing options when it determines clear and transparent rules within the system. If it is not possible to obtain or use QALY, multi-criteria analysis may be an alternative but it has a vast array of deficits and thus it should not have an ambition to replace the existing system. The current system may be, however, enriched using so-called value based pricing which applies flexible willingness-to-pay thresholds when taking into account other factors such as disease severity or non-existence of treatment alternatives.

Keywords

QALY positives, QALY negatives, cost-effectiveness analyses, pharmacoeconomic analysis, rational resource use in healthcare, health economics

Je pravdou, že metody farmakoekonomiky, HTA, a tedy i nákladové efektivity jsou na vzestupu a Česká republika není výjimkou. Prostým důvodem je fakt, že veřejné rozpočty jsou zejména v časech ekonomické stagnace omezeny a financování zdravotní péče naráží na své limity. Právě proto vyspělé země zavádějí do procesu hodnocení a rozhodování objektivní metody, které dávají plátcům zdravotní péče vodítka, do kterých technologií se vyplatí investovat, jinými slovy, které mají nejvýhodnější poměr cena/výkon (náklady/přínosy).

Jsm rádi, že probíhá veřejná diskuse o nejvhodnějších a neobjektivnějších metodách využívaných ve zdravotně-ekonomických analýzách (primárně farmakoekonomických) a dovolujeme si připomenout, že tato diskuse se již

v České republice vede od roku 2008, kdy vstoupila v platnost nová legislativa podporující farmakoekonomiku. Na druhou stranu jsme přesvědčeni, že tato diskuse musí mít úroveň a být založena na faktech, jinak sklouzává k pomluvám a demagogii.

Článek *Farmakoekonomika jako karkokultická věda?* v časopise *Ekonomie* ve zdravotnictví zevrubně kritizuje koncept a používání roků života v plném zdraví (quality-adjusted life years, QALY) ve farmakoekonomických analýzách.⁽¹⁾ Autor svá tvrzení podporuje obecnými příklady, které jsou však velmi dobře známé a byly mnohokrát diskutovány na mezinárodních i národních odborných fórech. Jsou součástí prezentovaných farmakoekonomických analýz typu s použitím QALY (cost-utility analýzy), nebo

o nich regulátoři a HTA agentury vědí, zevrubně je diskutují a následně testují v analýzách senzitivity.

Bohužel je v článku řada zavádějících, nepřesných či zastaralých tvrzení. Hned prvním je vyjádření, že západ a vyspělý svět opouští systém s použitím QALY. Nic není vzdálenější pravdě. Ba právě naopak, vyspělé systémy (jako např. Francie) přístup QALY do svého HTA zařadily v nedávných letech. Dalšími vyspělými zeměmi, které QALY rutinně používají, jsou Dánsko, Švédsko, Irsko, Skotsko, Kanada, Austrálie, Itálie, nebo Španělsko. Velmi ilustrativně je to uvedeno v publikaci *Value in Health* z roku 2014, jejímiž autory jsou Barnieh a spol.⁽²⁾ Zde je patrné, že QALY je naopak dominujícím přístupem hodnocení v zemích OECD. Jak bylo řečeno, Francie



na systém QALY přešla od roku 2014, v Itálii a Španělsku se používá na regionální úrovni. Jedině bohaté německy mluvící země (Německo, Rakousko a Švýcarsko) si zatím dovolují ten luxus objektivní metody v podobě hodnocení nákladové efektivity v rozhodovacím procesu neuplatňovat. To ale neznamená, že se ekonomické hodnocení neprovádí – v Německu se používají například analýzy typu cost-benefit. Na „systém QALY“ přešla po vzoru vyspělých zemí kompletně bývalá východní Evropa (vedle České republiky Slovensko, Polsko, Maďarsko, pobaltské země a nově také Slovinsko nebo Chorvatsko).

Netvrdíme, že systém používající QALY nemá své slabiny, a rádi o nich budeme diskutovat, avšak bez vytváření zavádějících závěrů. Stejným dechem je ale nutné konstatovat,

že pokud chceme používat zdravotně-ekonomické hodnocení v rámci rozhodovacích procesů ve zdravotnictví, lepší a objektivnější systém zatím nebyl vynalezen.

Každý model, farmakoekonomický (FE) s použitím QALY nevyjímaje, je vždy založen na předpokladech a je modelovou situací, ve zdravotnictví modelovou situací daného onemocnění. V případě analýzy nákladové efektivity se tyto modely snaží postihnout onemocnění co nejkomplexněji a zachytit veškeré zdravotní přínosy a náklady. S předpoklady FE modelu nemusíme souhlasit, nicméně při použití odlišného modelu pro hodnocení přípravku o úhradě nikdo nezaručuje, že tento model nebude nepřesnosti obsahovat také. Nadto je zřejmé, že zdravotní

systémy nebudou nikdy moci hradit všechny intervence vzhledem k omezenosti svých rozpočtů a někdo bude muset chtít nechtě udělat pomyslnou čáru mezi tím, co je a co již není ve finančních možnostech zdravotního systému.

Dále je zmiňován Value based pricing jako alternativní řešení. S tímto tvrzením se ztotožňujeme a podobný systém je velmi dobře etablován například ve Švédsku nebo Nizozemí.^(3,4) Na druhou stranu, podobný systém se snažili a stále snaží adaptovat i ve Velké Británii, kde však zatím nebyla nalezena shoda v metodice. Nebylo možné dospět k jednoznačným závěrům, kdy každá zúčastněná strana (lékaři, plátcí, politici, pacienti, plátce zdravotní péče) měla odlišné preference, což znemožňovalo nalezení konsenzu.⁽⁵⁾



Pokud bychom interpretovali implicitně naznačená doporučení autora přejít od uplatňovaného FE hodnocení k hodnocení za využití tzv. multikriteriální analýzy pro rozhodování (MCDA), pak je důležité zdůraznit několik specifíků této analýzy. MCDA může být chápána jako rozšíření

či doplnění klasické FE analýzy, kdy se vezmou v potaz i jiná kritéria, jako například závažnost daného onemocnění, dopad na rodinu, terapie na konci života, vzácnost onemocnění a jiné. V tomto bodě je přesto nutné se zastavit a zeptat se, opravdu zdravotní systémy nepraktikují podobnou analýzu, když berou v potaz tyto aspekty? Není mnoho z navrhovaných aspektů MCDA již obsaženo v samotné analýze nákladové efektivity? Příkladem může být skotská agentura

SMC (Scottish Medicines Consortium), která hodnotí nákladovou efektivitu striktně s použitím QALY. Přesto, pokud v prvním kole intervence není nákladově efektivní pod hranici ochoty platit s použitím QALY, hodnotí se ostatní kritéria jako například výše zmíněná závažnost nebo vzácnost onemocnění, nahraditelnost v léčbě, dopad na rodinu a pečovatele o pacienta nebo možnost úplného vyléčení. Podobně i anglický NICE hodnotí ostatní kritéria, viz například speciální hodnocení onkologických léčiv v principu „end-of-life treatment“ nebo „orphan medicine“ a jiné.⁽⁶⁻⁸⁾ Je nutné zmínit, že v České republice po vzoru těchto vyspělých zdravotních systémů koná i Státní ústav pro kontrolu léčiv, který ve svých hodnoceních zohledňuje nad rámec analýzy nákladové efektivity i tyto ostatní aspekty. Dle našeho názoru je toto ta správná cesta, cestou není zatracení QALY, vytvoření jakéhosi vzduchoprázdna a následné vytváření od základu nových a neprobádaných metod.

Druhou a možná ještě závažnější ranou pro MCDA je fakt, že jednotlivá kritéria jsou již započítána v samotné farmakoekonomické analýze s použitím QALY.⁽⁶⁾ Považme například možnost úplného vyléčení. Takováto intervence získá vlivem uzdravení vyšší celkové QALY, a bude tedy nutně nákladově efektivnější a bude následně s vyšší šancí přijata do systému hrazené péče než intervence bez této schopnosti. Podobně, pokud je onemocnění závažné, existuje vyšší možnost zvýšení kvality života nebo prodloužení života, což se opět projeví ve vyšším zisku QALY. V neposlední řadě, a toto autor diskutuje v sekci týkající se nákladů, pokud bychom v analýzách uvažovali celospolečenskou perspektivu nákladů (tedy i ztráty produktivity pacientů, pečovatelů, náklady sociální péče aj.), budou analýzy obsahovat i dopad



na ostatní členy rodiny a na celou společnost. Není tedy uvažování některých kritérií pouze dvojnásobným započtením a dvojnásobným zvýhodněním daných zdravotních intervencí?

Dle našeho názoru mají analýzy typu MCDA své místo na slunci, zejména v případech, kdy nelze provést farmakoekonomické hodnocení, nebo toto hodnocení nemůže postihnout všechny aspekty onemocnění. FE hodnocení s použitím QALY však uvedené ve velké většině případů dokáže. MCDA rovněž neodpovídá na otázku, kolik zdraví získáme, když vložíme jednu dodatečnou korunu do zdravotního systému? To naopak lze s použitím současných metod, při implicitní hranici ochoty platit 1,2 milionu Kč za získané QALY znamená, že dodatečných 1 000 Kč přinese nejméně 0,0008 QALY, tedy například prodloužení života při plné kvalitě o sedm hodin. Snaha MCDA nahradit stávající FE hodnocení přinese pouze onu pověstnou mlhu, která umožní netransparentní dohody, které si budou brát za rukojmí pacienty. Druhotný aspekt, a to, že se budou hradit neúčinné terapie a v systému budou „někde“ peníze chybět, již přece nikoho pálit nebude. Až na ostatní pacienty, samozřejmě.

Na několika místech je diskutováno, že FE analýza obsahuje pouze ekonomický pohled, nikoliv sociální, právní a politický. Pokud jde o sociální dopad, tak ten může být mírně upozaděn tím, že v České republice není uvažována celospolečenská perspektiva nákladů zmíněná výše. Přesto lze analýzy vyžadovat s touto perspektivou, čímž se problém elegantně vyřeší. Sociální dopad v podobě psychosociálního vlivu na rodinu a okolí lze uvažovat při konečném hodnocení léku mimo FE analýzu a toto je v dnešní době SÚKLEM i plátcí hojně ve správních řízeních diskutováno (viz například

mifamurtid (osteosarkom), canakinumab (kryopyrin asociovaný periodický syndrom), sapropterin (maligní fenylketonurie).⁽⁹⁾

Je otázkou, jak a proč do FE analýz zahrnovat právní a politický dopad. FE analýza a rozhodování o úhradě daného léčivého přípravku v sobě nicméně implicitně obsahuje právní aspekt, kdy dle zákona o veřejném zdravotním pojištění č. 48/1997 Sb. §15 odst. 8, odst. 3 lze považovat za nákladově efektivní terapii takovou terapii, která při vyšších nákladech a vyšším terapeutickém účinku přináší takový poměr nákladů a přínosů, který je srovnatelný s jinými terapeutickými postupy hrazenými z prostředků veřejného zdravotního pojištění. V posledních letech jsou účinnější a nákladnější terapeutické postupy hodnoceny na základě zmíněného trojnásobku HDP na hlavu, a tedy nové intervence by měly být obdobně nákladově efektivní. Pokud by jejich poměr nákladů a přínosů byl vyšší, nedalo by se v České republice hovořit o účelném vynakládání zdrojů veřejného zdravotního pojištění.

Pokud jde o tvrzení, že měření kvality života je subjektivní, což z medicínského pohledu jako vědy není validní, tak bychom rádi upozornili na fakt, že zdraví a jeho chápání pacientem je v celé své šíři subjektivní. Každý pacient jinak a subjektivně vnímá bolest při odebírání krve, kolonoskopii nebo u zubaře. Objektívni zhodnocení krevního tlaku, rakovinového markeru nebo hladiny cukru v krvi nic neříká o tom, jakou má pacient kvalitu života a jaký mají tyto parametry vliv na jeho

každodenní aktivity. Naopak právě dotazníky kvality života, např. EQ-5D, toto pacientovo subjektivní hledisko obsahují nebo obsahují i to, zda je pacient schopný se sám o sebe postarat, což žádný klinický marker neumožňuje. Nebo se mýlíme a doktoři jsou schopni okultisticky a šamansky předpovídat pocity a kvalitu života pacientů? Nebyly to právě lékové agentury a sami pacienti, kteří volali po tom, aby se používaly klinické parametry či outcomes, které jsou orientované na pacienty (tzv. patient-reported outcomes (PRO))?^(10,11) A není opakováno posluchačům prvního ročníku lékařských fakult, že každý pacient je odlišný, individuální a jedinečný?



Autorům jakékoliv FE analýzy je jasné, že každý odlišný dotazník kvality života přináší z definice mírně, někdy i více, odlišné výsledky. Proto je autoritami jako NICE, SMC, HAS, nebo i SÚKL vyžadováno,⁽¹²⁾ aby autoři FE analýz používali konzistent-

ně jeden typ měření kvality života, především EQ-5D, který je nejpoužívanější.⁽¹³⁾ Odlišné typy dotazníků by měly být ukazovány jako alternativní scénáře v analýzách citlivosti (senzitivity) dané analýzy.

Závěrem bychom rádi zmínili, že jsme se v České republice posunuli na míle daleko od dob kategorizační komise, kdy nebyla známa kritéria, za kterých k rozhodování docházelo, a proces byl značně netransparentní. Nesnažme se jít za každou cenu zpět a proti proudu světového trendu v ekonomicky vyspělých zemích, byť jsme si vědomi, že by to nebylo v případě České republiky poprvé ani naposled.



Systémy založené na podkladě QALY přinášejí jasná pravidla pro všechny hráče, což nemusí být po chuti některým aktérům. Nadto umožňují i srovnání napříč celým spektrem diagnóz, a nikoliv protěžování jedné z nich. Bohužel, či spíše bohudík, se již dnes

nerozhoduje zaklepáním na ty správné dveře, ale na základě skutečného přínosu daného léku ve vztahu k jeho ceně. Na závěr by bylo trefné parafrázovat citát Winstona Churchilla: koncept QALY není zdaleka nejideálnější, ale nikdo dosud neukázal žádný lepší.

Ing. Tomáš Mlčoch,
MUDr. Tomáš Doležal, Ph.D.
Institut pro zdravotní ekonomiku
a technology assessment (iHETA)
a Value Outcomes s.r.o., Praha
e-mail: mlcoch@iheta.org



Ekonomie zdravotnictví



konference

Ekonomie ve zdravotnictví a health technology assessment

1. ročník

datum a čas

13. 10. 2016
od 13:00 do 18:00 hodin

místo

IKEM, kongresový sál
Videňská 1958/9
140 21 Praha 4

PROGRAM:

13:00 - 15:00 BLOK 1

Health technology assessment v ČR – jsme připraveni?

15:30 - 16:30 BLOK 2

Kvalita života a jiné přínosy pro hodnocení nových léčivých přípravků aneb Proč musí být všechna rozhodnutí v procesu úhrad špatná

17:00 - 18:00 BLOK 3

Využitelnost administrativních dat pro sledování health performance, měření kvality zdravotní péče

Občerstvení v průběhu přestávek zajištěno. Informace budou průběžně zveřejňovány na www.ezcr.cz.