

Az Emberi Erőforrások Minisztériuma szakmai irányelve az egészségügyi technológia értékelés módszertanáról és ennek keretében költséghatékonysági elemzések készítéséről

hatályos: 2017.02.20 –

2017. EüK. 3. szám közlemény 10

Típusa: klinikai egészségügyi szakmai irányelv

Azonosító: 002017

Érvényesség időtartama: 2020. 12. 31.

I. IRÁNYELVFEJLESZTÉSBEN RÉSZTVEVŐK

Társszerző Egészségügyi Szakmai Kollégiumi Tagozat(ok):

1. Menedzsment és egészséggazdaságtan és egészségügyi informatika és minőségügyi tagozat delegáltjai

Dóczy Veronika, gyógyszerész, vezető szakmai tanácsadó, Országos Gyógyszerészeti és Élelmezés-egészségügyi Intézet, társszerző

Dr. Dózsa Csaba, egészségügyi közgazdász, Magyar Egészség-gazdaságtani Társaság elnöke, társszerző

Dr. Dudás Dorottya, általános orvos, orvosszakértő, Országos Gyógyszerészeti és Élelmezés-egészségügyi Intézet, társszerző

Dr. Huszti Zoltán, általános orvos, orvosszakértő, társszerző

Dr. Juhász Jácinta, általános orvos, vezető szakmai tanácsadó, Országos Gyógyszerészeti és Élelmezés-egészségügyi Intézet, társszerző

Dr. Kövi Rita, radiológus, egészségügyi közgazdász, Magyar Egészség-gazdaságtani Társaság főtitkára, társszerző, kapcsolattartó

Nagyjánosi László, egészségügyi közgazdász, vezető szakmai tanácsadó, Országos Gyógyszerészeti és Élelmezés-egészségügyi Intézet, társszerző

Németh Bertalan, egészségügyi közgazdász, a Magyar Egészség-gazdaságtani Társaság jelölt elnöke, társszerző

Véleményező Egészségügyi Szakmai Kollégiumi Tagozat(ok): –

„Az egészségügyi szakmai irányelv készítése során a szerzői függetlenség nem sérült.”

„Az egészségügyi szakmai irányelvben foglaltakkal a fent felsorolt egészségügyi szakmai kollégiumi tagozatok vezetői dokumentáltan egyetértenek.”

Az irányelvfejlesztés egyéb szereplői

Betegszervezet(ek) tanácskozási joggal: –

Egyéb szervezet(ek) tanácskozási joggal: –

Szakmai társaság(ok) tanácskozási joggal: –

Független szakértő(k):

Veres Imre, egészségügyi közgazdász, szakértő, tanácskozási joggal

Dr. Nagy Bence, orvos-közgazdász szakértő, tanácskozási joggal

Dr. Molnár Márk Péter, általános orvos, szakértő, tanácskozási joggal

Dr. Rózsa Péter, egészségügyi közgazdász, szakértő, tanácskozási joggal

Bundschu Anna, egészségügyi közgazdász, szakértő, tanácskozási joggal

Váradi Balázs, közgazdász, közpolitikai elemző, szakértő, tanácskozási joggal

II. ELŐSZÓ

A bizonyítékokon alapuló egészségügyi szakmai irányelvek az egészségügyi szakemberek és egyéb felhasználók döntéseit segítik meghatározott egészségügyi környezetben. A szisztematikus módszertannal kifejlesztett és alkalmazott egészségügyi szakmai irányelvek, tudományos vizsgálatok által igazoltan, javítják az ellátás minőségét. Az egészségügyi szakmai irányelvben megfogalmazott ajánlások sorozata az elérhető legmagasabb szintű tudományos eredmények, a klinikai tapasztalatok, az ellátottak szempontjai, valamint a magyar egészségügyi ellátórendszer sajátosságainak együttes figyelembevételével kerülnek kialakításra. Az irányelv szektorsemleges módon fogalmazza meg az ajánlásokat. Bár az egészségügyi szakmai irányelvek ajánlásai a legjobb gyakorlatot képviselik, amelyek az egészségügyi szakmai irányelv megjelenésekor a legfrissebb bizonyítékokon alapulnak, nem pótolhatják minden esetben az egészségügyi szakember döntését, ezért attól indokolt esetben dokumentáltan el lehet térni.

Jelen irányelv módszertani jellegű, a vizsgálati és terápiás eljárásrendektől számos tekintetben eltér. Feltételezi a vizsgálatba bevont egészségügyi technológiák hatásosságára, valamint eredményességére vonatkozó tudományos bizonyítékok rendelkezésre állását, de kiegészíti azt az egészségügyi technológiák költségeivel, valamint a költségek és az eredmények összevetésével, és a vizsgálatba bevont technológiák egymással való összehasonlításával. Ebben a tekintetben fontos összekötő kapocs a vizsgálati és terápiás eljárásrendek és a finanszírozási eljárásrendek között, ugyanakkor erre az irányelvre vonatkozóan a vizsgálati és terápiás eljárásrendek bemutatására kidolgozott keret nem minden szempontja értelmezhető, illetve releváns.

III. HATÓKÖR

Egészségügyi kérdéskör:

az egészségügyi technológiaértékelések során alkalmazott egészség-gazdaságtani elemzések, valamint az irányelv egyes elemei esetében a finanszírozási eljárásrend készítés, egészség-gazdaságtani elemzéseken alapuló döntéshozatal

Ellátási folyamat szakasza(i): nem releváns

Érintett ellátottak köre: nem releváns

Érintett ellátók köre:

egészségügyi technológiát gyártók és forgalmazók, egészségügyi szolgáltatásvásárlók, egészségügyi technológiákat alkalmazók

Szakterület: egészség-gazdaságtan

Egyéb specifikáció:

az ellátási folyamat bármely szakaszára vonatkozóan készíthető bármely szakterületen, eredménye az elemzés tárgyát képező egészségügyi témakörben releváns valamennyi ellátottat és ellátót közvetve érinthet

IV. MEGHATÁROZÁSOK

1. Fogalmak

Az egészségügyi szakmai irányelv az Egészség-gazdaságtani fogalomtár [1] és a vonatkozó jogszabályok elnevezéseit és meghatározásait veszi alapul. Az irányelv értelmezéséhez szükséges legfontosabb fogalmak az alábbiak:

Alcsoportelemzés (subgroup analysis)

A klinikai vizsgálatok eredményének további elemzése az amikor egyes megadott tulajdonságok alapján az eredetileg kiválasztott csoportokat tovább bontják és statisztikailag elemzik a képzett alcsoportok közötti különbségeket.

Egészségügyi technológia (health technology)

Mindazon eljárások, amelyeket a gyógyítás, a megelőzés valamint az egészségfejlesztés során alkalmazunk. Így például a gyógyszerek, a gyógyászati segédeszközök, az oltások, a vizsgáló módszerek (kémiai laboratóriumi eljárások vagy szövetten), a műtéti beavatkozások vagy a pszichoterápia.

Egészségnyereség (health gain)

Egy adott egyén, vagy a lakosság egészségi állapotának a javulása, vagyis a várható élettartam meghosszabbodása, a rokkantság mértékének, vagy a tünetek súlyosságának mérséklődése és/vagy az életminőség javulása.

Hatásosság (efficacy)

Egy adott egészségügyi technológia alkalmazásával ideális, kontrollált körülmények között (pl. klinikai vizsgálat) elérhető egészségnyereség.

Eredményesség (effectiveness)

Egy adott egészségügyi technológia egészségügyi szolgáltatók által történő alkalmazásával a mindennapi gyakorlatban, nem kontrollált körülmények között elérhető egészségnyereség.

Hatékonyság (efficiency)

Meghatározott cél elérése a lehető legkisebb ráfordítással vagy adott ráfordítással a lehető legnagyobb eredmény megvalósítása.

Költséghatékonyság (cost-effectiveness)

A költség-minimalizáció, költség-hatásossági és költség-eredményességi, költség-hasznosság, költség-haszon, illetve költség-következmény elemzés keretében használt gyűjtőfogalom a hatékonyság leírására. A költséghatékonyság elemzés a költség-minimalizáció, költség-hatásossági, költség-eredményességi, költség-hasznosság, költség-haszon, illetve költség-következmény elemzés összefoglaló megnevezése. Költséghatékonynak azt az egészségügyi technológiát nevezzük, amely az említett hat elemzési módszer valamelyikének alkalmazása során hatásosabbnak/eredményesebbnek és olcsóbbnak, vagy ugyanolyan hatásosságúnak/eredményességűnek és olcsóbbnak, vagy ugyanolyan költségűnek, de hatásosabbnak/eredményesebbnek, vagy hatásosabbnak/eredményesebbnek és drágábbnak mutatkozik, de a mindenkor befogadáspolitikában meghatározott befogadási küszöbérték alatt helyezkedik el.

Egészségügyi technológiák értékelése (Health Technology Assessment)

A gyógyító-megelőző eljárások (egészségügyi technológiák) értékelése az egyes eljárások alkalmazásának, illetve támogatásának a rövid és hosszú távú következményeit elemzi. Az eljárás-értékelés egy rendszerezett módszertan szerint készül, és kiterjed az adott eljárás hatásosságára, eredményességére, költségeire, hatékonyságára, alkalmazásának, illetve finanszírozásának etikai, gazdasági és politikai vetületére is. Alapvető célja az egészségügyi döntéshozók (pl. szolgáltatásvásárlók) döntéseinek a segítése.

Életminőség (quality of life (QoL))

A beteg jólétének azon fizikai, szociális és emocionális aspektusai, amelyek az egyén számára fontosak, vagy relevánsak.

Inkrementális költséghatékonysági ráta (ICER)

Az inkrementális költséghatékonysági ráta megmutatja, hogy egy egységnyi egészségnyereség elérésének mekkora a határköltsége.

2. Rövidítések

BNO: betegségek nemzetközi osztályozása

CBA: cost-benefit analysis (költség-haszon elemzés)

CCA: cost-consequences analysis (költség-következmény elemzés)

CEA: cost-effectiveness analysis, cost-efficacy analysis (költség-eredményességi elemzés, költség-hatásossági elemzés) (a jelenlegi gyakorlatban költség-hatékonysági elemzésként is használatos)

CEAC: cost-effectiveness acceptability curve (költséghatékonysági elfogadási görbe)

CMA: cost-minimization analysis (költségminimalizációs elemzés)

CUA: cost-utility analysis (költséghasznossági elemzés)

DALY: disability-adjusted life year (egészségkárosodással korrigált életév)

DSA: deterministic sensitivity analysis (determinisztikus érzékenységi vizsgálat)

EQ-5D: EuroQol five dimensions questionnaire (életminőséget mérő 5 dimenzióból álló kérdőív)

EUnetHTA: European Network for Health Technology Assessment (Egészségügyi Technológiaelemzés Európai Hálózata)

GDP: gross domestic product (bruttó hazai termék)

HBCs: homogén betegcsoport

HYE: healthy years equivalent (egészséges életév ekvivalens)

HTA: health technology assessment (egészségügyi technológiák értékelése)

ICER: incremental cost-effectiveness ratio (inkrementális költséghatékonysági ráta)

KSH: Központi Statisztikai Hivatal

NNT: number needed to treat (kezelendő betegek száma: pozitív változás bekövetkeztéhez minimálisan kezelni szükséges betegek száma)

NNH: number needed to harm (ártalmi minimum: nem kívánt esemény bekövetkeztéhez minimálisan kezelni szükséges betegek száma)

OENO: orvosi eljárások nemzetközi osztályozása

PICO: population, intervention, comparison, outcome (PIKK: populáció, beavatkozás, kontroll csoport, kimenet)

PRISMA: preferred reporting items for systematic reviews and meta-analyses (bemutatandó adatok szisztematikus irodalmi áttekintések és metaanalízisek során)

PSA: probabilistic sensitivity analysis (probabilisztikus érzékenység vizsgálat)

REA: relative effectiveness assessment (relatív hatásosság (eredményesség) értékelése)

QALY: quality-adjusted life year (életminőséggel korrigált életév)

SAVE: saved young life equivalents (megmentett fiatal életév ekvivalens)

SF-36: Short Form (36) Health Survey (egészségügyi állapotot felmérő kérdőív)

3. Bizonyítékok szintje

Jelen módszertani egészségügyi szakmai irányelv háttérében nem le lehetők fel hagyományos szakmai evidenciák, azaz olyan tanulmányok, értekezések, melyek fókuszpontjában az egyes egészség-gazdaságtani elemzések szakmai megfelelőségének vizsgálata állna. Az irányelv szakmai tartalma a

hazai és a nemzetközi gyakorlatba beépült, a tapasztalatok alapján helyénvaló illetve kívánt eljárások, releváns módszerek feltérképezésével került összeállításra.

4. Ajánlások rangsorolása

Jelen egészségügyi szakmai irányelvben az ajánlások rangsorolását az ajánlások megfogalmazásában alkalmazott nyelvi jellemzők tükrözik. Az ajánlások erősségét sorrendben a „kell”, „szükséges”, „elvárt”, „javasolt” és „célszerű” szavak fejezik ki oly módon, hogy a „kell” szó a legerősebb, míg a „célszerű” szó a leggyengébb ajánlásnak felel meg. Az ajánlások tartalmának irodalmi forrásai mögött valamennyi esetben az V.3. fejezetben megadott két külföldi irányelv áll, az ajánlások tartalma a fejlesztőcsoport adaptációja által került végleges megfogalmazásra.

V. BEVEZETÉS

1. A témakör hazai helyzete, a témaválasztás indoklása

Ahhoz, hogy az egészség-gazdaságtani elemzések egységesen vizsgálhatóak legyenek, megfelelő módszertannal, jó minőségben, szakmai igényességgel készüljenek, az egészség-gazdaságtani elemzések szakmai irányelveire van szükség.

Magyarországon az első egészségügyi technológiáértékelési szakmai irányelv 2002-ben került kihirdetésre. Ezzel a közép-kelet európai régió első olyan országa voltunk, ahol az egészségügyi technológiák finanszírozási döntéseinél alkalmazták a költséghatékonyság elvét. A szakmai irányelv 2013-ban került először frissítésre.

Magyarországon számos jogszabály rendelkezik arról, hogy az egészségügyi ellátás során a hatásosság, a gazdaságosság és a költséghatékonyság szempontjait figyelembe kell venni. A társadalombiztosítás pénzügyi alapjairól és azok 1993. évi költségvetéséről szóló 1992. évi LXXXIV. törvény 11. §-ának (9) bekezdése szerint „a társadalombiztosítási alapok kezelői kötelesek gazdaságos, hatékony és költségtakarékos, a járulékfizetők érdekeit szolgáló gazdálkodást folytatni a társadalombiztosítási alapok kezelése során.”

Az 1997. évi LXXXIII. törvény az egészségügyi kapacitások befogadásához szükséges pénzügyi terv kötelező elemeként, költséghatékonysági elemzés készítését írja elő. Az utóbbi években megjelentek jogszabályok, amik az egészségügyi technológiák befogadásáról rendelkeznek, ezekhez is elengedhetetlen az egészségügyi technológiaértékelés, költséghatékonysági tanulmányok készítése. Ilyen rendelet például a 180/2010. (V. 13.) Korm. rendelet az egészségügyi technológiák egészségbiztosítási finanszírozásba történő befogadásának alapelveiről, feltételrendszeréről és részletes szabályairól, valamint a már befogadott technológiák körének felülvizsgálatáról és módosításáról és a 28/2010. (V. 12.) EüM rendelet a gyógyító-megelőző eljárások során alkalmazott egészségügyi technológiák egészségbiztosítási finanszírozásba történő befogadásához kapcsolódó eljárás során alkalmazandó szakmai szempontrendszeréről és szakmapolitikai prioritásokról, valamint a befogadásához kapcsolódó egyes eljárásokért fizetendő igazgatási szolgáltatási díjakról, továbbá a 32/2004. (IV. 26.) ESzCsM rendelet a törzskönyvezett gyógyszerek és a különleges táplálkozási igényt kielégítő tápszerek társadalombiztosítási támogatásba való befogadásának szempontjairól és a befogadás vagy a támogatás megváltoztatásáról.

Az irányelv célja annak elősegítése, hogy egészségügyi technológia értékelések és ezen belül az egészség-gazdaságtani elemzések egységes, megfelelő minőségű módszertannal és szakmai igényességgel készüljenek el, támogatva a racionális és átlátható döntéshozatalt, és a rendelkezésre álló források hatékony felhasználását.

2. Felhasználói célcsoport

Az irányelv általánosságban az egészség-gazdaságtani elemzéseket készítőket, valamint az elemzések eredményeit felhasználók számára módszertani eszközt, segédletet nyújt.

Kiemelt felhasználói célcsoport az egészségügyi technológiaértékelés folyamatának résztvevői, akik számára az irányelv a mindennapi munkavégzésükhöz nyújt egészség-gazdaságtani szakmai értelemben vett gyakorlati iránymutatást. Ezen túl az irányelvben foglaltak a különböző egészség-gazdaságtani tudományos munkák készítéséhez is útmutatást adnak.

Az irányelvben foglaltak figyelembe vételével készített elemzések az azokat felhasználó döntéshozók számára lehetővé teszik, hogy racionális és a rendelkezésre álló erőforrások hatékony felhasználását eredményező döntések szülessenek. Ennek megfelelően különös jelentőséggel bír az irányelvben foglaltak finanszírozási eljárásrendek kialakításában történő alkalmazása.

3. Kapcsolat a hivatalos hazai és külföldi szakmai irányelvekkel

Egészségügyi szakmai irányelv előzménye:

Jelen fejlesztés az alábbi, lejárt érvényességi idejű szakmai irányelv témáját dolgozza fel.

Cím:

Az Emberi Erőforrások Minisztériuma szakmai irányelve az egészség-gazdaságtani elemzések készítéséhez

Nyomtatott verzió: Egészségügyi Közlöny, LXIII. évf., 3. szám.

Elektronikus elérhetőség: <https://www.ijsz.hu>

Kapcsolat külföldi szakmai irányelv(ek)kel:

Jelen irányelv az alábbi külföldi irányelv(ek) ajánlásainak adaptációjával készült.

Tudományos szervezet: European Network for Health Technology Assessment

Cím:

Methods for health economic evaluations – A guideline based on current practices in Europe

Megjelenés adatai: 2015. 05.

Elérhetőség: [http://www.eunetha.eu/sites/5026.fedimbo.belgium.be/files/Methods%](http://www.eunetha.eu/sites/5026.fedimbo.belgium.be/files/Methods%20for%20health%20economic%20evaluations%20A%20guideline%20based%20on%20current%20practices%20in%20Europe_Guideline_Final%20May%202015.pdf)

[20for%20health%20economic%20evaluations%20A%20guideline%](http://www.eunetha.eu/sites/5026.fedimbo.belgium.be/files/Methods%20for%20health%20economic%20evaluations%20A%20guideline%20based%20on%20current%20practices%20in%20Europe_Guideline_Final%20May%202015.pdf)

[20based%20on%20current%20practices%20in%20Europe_Guideline_Final%](http://www.eunetha.eu/sites/5026.fedimbo.belgium.be/files/Methods%20for%20health%20economic%20evaluations%20A%20guideline%20based%20on%20current%20practices%20in%20Europe_Guideline_Final%20May%202015.pdf)

[20May%202015.pdf](http://www.eunetha.eu/sites/5026.fedimbo.belgium.be/files/Methods%20for%20health%20economic%20evaluations%20A%20guideline%20based%20on%20current%20practices%20in%20Europe_Guideline_Final%20May%202015.pdf)

Tudományos szervezet: Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health

Cím:

Guidelines for the economic evaluation of health technologies: Canada [3rd Edition]

Megjelenés adatai: 2006.

Elérhetőség: <http://www.ispor.org/PEguidelines/source/HTAGuidelinesfortheEconomicEvaluationofHealthTechnologies-Canada.pdf>

Kapcsolat hazai egészségügyi szakmai irányelv(ek)kel:

Jelen irányelv nem áll kapcsolatban más hazai egészségügyi szakmai irányelvvvel.

VI. AJÁNLÁSOK SZAKMAI RÉSZLETEZÉSE

1. A kérelmezett technológia bemutatása, epidemiológia, indikáció, a betegség, betegellátás, terápiák általános ismertetése

Ajánlás 1

Szükséges az egészségügyi szolgáltatás-szükséglet részletes bemutatása, az elemezni kívánt gyógyító-megelőző eljárás indikációjának megfelelő betegcsoport demográfiai, epidemiológiai, esetleg társadalmi és gazdasági helyzetének ismertetése. Elvárt a betegség lefolyásának, kimenetelének és epidemiológiai adatainak ismertetése nemzetközi és hazai vonatkozásban egyaránt, valamint az elemzett egészségügyi technológia, az adott elemzés szempontjából releváns indikációjában jelenleg rutinszerűen alkalmazott kezelések összefoglalása. A hazai terápiás gyakorlat bemutatása visszakövethető módon, lehetőség szerint az illetékes orvosszakma, vagy az illetékes szakmai kollégium által alátámasztva történjen. Szükséges továbbá a hazai finanszírozási, illetve jogszabályi viszonyok bemutatása, valamint a kérelmezett technológia pontos meghatározása.

A gyógyító-megelőző eljárások jellemzőit, indikációját a korábban már elvégzett (vagy folyamatban lévő) klinikai vizsgálat, vizsgálatok, illetve az ezekre épülő forgalomba hozatali engedély és az alkalmazási előírás definiálják. Amennyiben az indikáció ettől eltér (pl. off-label alkalmazás), akkor azt indokolni szükséges. A bemutatásban szerepeljen a technológia kérelmezett meglévő vagy létrehozni kívánt indikációnak megfelelő betegcsoport legfontosabb demográfiai és epidemiológiai jellemzőit leíró mutatók alapos ismertetése, a technológia környezetének bemutatása (pl. az érintett korosztály és annak társadalmi, gazdasági helyzete, a betegség incidenciája és prevalenciája, a nemi megoszlások, a kezelendő betegek száma, a jelenleg kezelt – gondozott – betegek száma, az enyhe, a közepesen súlyos és a súlyos betegek aránya stb.). Fontos az elmúlt 5–10 évre vonatkozó betegséggel és betegpopulációval összefüggő trendek ismertetése is.

Amennyiben hazai adatok nem állnak rendelkezésre, a nemzetközi szakirodalom alapján – lehetőség szerint európai adatokra támaszkodva – javasolt becsülni, modellezni az adott betegség előfordulási gyakoriságát, kimenetelét stb. Magyarországon. A nemzetközi szakirodalmi adatok azonban nem minden esetben alkalmasak adaptáció nélküli helyi alkalmazásra, ugyanis eltérések mutatkozhatnak a

technológia által lefedett populációban, a szolgáltatói környezetben, valamint a jogi- és kulturális jellemzőkben.

Szakértői becslésre történő hivatkozás esetén a megkérdezett szakértők számának, szakképzettségének, munkahelyének és beosztásának pontos ismertetése szükséges.

Emellett fontos bemutatni a betegség kórlefolyásának, kimenetelének alapvető adatait [a betegség kezdetének időpontja (életkor), lefolyásának átlagos ideje, prognózisa alcsoportonként, nemi különbségek, relapsusok gyakorisága, spontán gyógyultak aránya, mortalitás, átlagos túlélési idő, gyakrabban társuló betegségek (co-morbiditas) stb.] a releváns klinikai vizsgálat(ok) tükrében. Szükséges továbbá a betegség jelenleg alkalmazott terápiájának, az ellátás szintjének (pl. alapellátás, kórház, otthonápolás) és a jelenlegi terápia melletti releváns szolgáltatási adatok (pl. járóbeteg forgalom, kórházi felvételek száma stb.), valamint a trendek ismertetése. Ezen belül fontos kitérni arra, hogy mi az a szükséglet, ami a jelenlegi rutin diagnosztikus és terápiás eljárásokkal nem, vagy csak részben volt kielégített (pl. korai felismerés, alacsony gyógyulási ráta, terápiarezisztencia, adherencia, súlyos mellékhatás stb.) és mely technológia/technológiák kiváltása, kiegészítése valósítható meg.

2. Az összehasonlításra kerülő gyógyító-megelőző technológiák ismertetése, és kiválasztásuk indoklása

Ajánlás 2

Alapesetben az összehasonlítás alapjául az adott indikációban rutinszerűen alkalmazott, és már támogatott technológiá(ka)t kell kiválasztani, amelye(ke)t felválthat az elemzésben vizsgált egészségügyi technológia.

Amennyiben az alapesetben definiált elsődleges komparátoron kívül egyéb technológiákkal is indokolt az összehasonlítás, annak bemutatására kiegészítő elemzés keretében van lehetőség.

Ha az alapesetben definiált elsődleges komparátor közfinanszírozott ellátásként nem áll rendelkezésre, egyéb technológiával/technológiákkal is történhet összehasonlítás, amennyiben az szakmailag indokolt és tényekkel alátámasztott.

2.1. Általános szempontok

Az egészség-gazdaságtani elemzések mindig kettő, vagy több, egymással összevethető gyógyító-megelőző technológiát hasonlítanak össze a technológiák alkalmazása során felmerülő költségek és következmények tekintetében. Az elemzés érthetősége és szakmai megalapozottsága érdekében világosan ismertetni kell az összehasonlításra kerülő gyógyító-megelőző technológiákat.

Az eredmények használhatósága, általánosíthatósága érdekében szükséges az elemzett gyógyító-megelőző technológiák engedélyezett és vizsgált indikációit pontosan leírni, valamint azok relatív és abszolút kontraindikációit ismertetni.

Az eredmények csak azon a betegcsoportokra (alcsoportokra) vonatkoztathatóak, amelyek esetében a terápiás javallat és ellenjavallatok együttesen megengedik azt.

Ajánlás 3

Ideális körülmények között a komparátort az a referencia technológia jelenti, amelyik

- hazai rutinszerű alkalmazása adatokkal/bizonyítékokkal alátámasztott és
- a korszerű, hatályos, jó minőségű európai és nemzetközi klinikai gyakorlatra vonatkozó irányelvek alapján meghatározott és
- a hatásosságra, eredményességre és biztonságosságra vonatkozó jó minőségű, nemzetközi orvosi szakirodalomban publikált evidenciákkal alátámasztott és
- az elemzés tárgyát képező indikációban és kezelési vonalban engedélyezett és támogatott.

Amennyiben ezek a feltételek nem teljesülnek, és más komparátor kerül kiválasztásra, azt indokolni kell.

2.2. A komparátor meghatározásának időpontja

A megfelelő komparátort célszerű már az elemzés előkészítési szakaszában, a betegpopuláció, az egészségügyi technológia és a végpontok kérdésköreinek meghatározása során kiválasztani.

2.3. A komparátor meghatározásához használt források, résztvevők

A megfelelő komparátor meghatározásakor a klinikai irányelveket és a (nemzetközi) módszertani irányelveket figyelembe kell venni.

A megfelelő komparátor meghatározásában résztvevő szereplők lehetnek: a technológia gyártója, illetve forgalomba hozatali engedélyének tulajdonosa, az értékelő szervezet, a klinikai szakértők, a finanszírozó és a betegszervezetek.

2.4. A megfelelő komparátor kiválasztásának szempontjai

Az összehasonlítás alapjául az adott betegcsoportnál azon rutinszerűen alkalmazott technológiát/technológiákat kell kiválasztani, amelyet/amelyeket felválthat az egészség-gazdaságtani elemzésben vizsgált egészségügyi technológia.

A rutinszerű alkalmazás alátámasztása szükséges. A bizonyítékok preferált sorrendje a következő lehet:

- társadalombiztosítási támogatási lista; vényforgalmi és egyéb ellátási adatok statisztikája,
- piackutatás,
- klinikus szakértőkkel, betegszervezetekkel történő konzultáció,
- regiszterek,
- hatályos, lokális klinikai protokollok,
- amennyiben a felsorolt adatok nem elérhetőek: internetes keresési eredmények különösen a szakmai oldalakról.

Javasolt a vizsgált indikációban lehetséges összes komparátor bemutatása az alábbi táblázat szempontja szerint.

1. táblázat: A terápiás területen alkalmazott egészségügyi technológiák (lehetséges komparátorok) bemutatása

A komparátor technológia megnevezése	A technológia piaci részesedése a terápiás területen	A vizsgált technológia és a Forrás komparátor összehasonlítására rendelkezésre álló evidenciák típusa	Forrás
---	---	--	---------------

Amennyiben több, bizonyítottan azonos hatásosságú, gyakran használt technológia létezik, akkor a leggyakrabban alkalmazott technológia mellett a legolcsóbb technológiát is ki kell választani a számítás alapjául.

Amennyiben nem a legelterjedtebb, vagy nem a legolcsóbb technológia az összehasonlítás alapja, azt bizonyítékokkal alátámasztva, részletesen indokolni kell.

A komparátor kiválasztásának az elemzés nézőpontjával összhangban kell történnie. Finanszírozói nézőpontból, finanszírozásba fogadáshoz készített elemzés esetén elsődleges komparátornak csak a már finanszírozott technológia tekinthető, amennyiben az rendelkezésre áll.

2.4.1. Gyógyszer vagy egyéb technológia

Egymástól eltérő típusú technológiák összehasonlítása (pl. gyógyszer, sebészi beavatkozás, pszichoterápia) szükséges, amennyiben az új gyógyító-megelőző technológia megfelelő komparátora egy másik típusú technológia.

2.4.2. Dózis és adherencia

Gyógyszerek esetében a komparátor alkalmazási előírásban engedélyezett dózisékat és hatásösszegét szükséges az elemzés során figyelembe venni.

Egyes esetekben előfordulhat, hogy az alkalmazási előírásban megjelölt dozírozástól eltérő a klinikai gyakorlatban alkalmazott adagolás. Ezen esetekben az elemzést mind az alkalmazási előírásban megadott, mind pedig a való életből származó adagolással be kell mutatni. A klinikai gyakorlatra vonatkozó irányelvek és való életből származó adatok (pl. vényforgalom) segíthetik a komparátor megfelelő dózisékat meghatározását.

Alapesetben feltételezzük, hogy az összehasonlításra kerülő technológiák adherenciája megegyezik. Abban az esetben, ha releváns klinikai vizsgálat igazolja az adherenciák közötti statisztikailag szignifikáns különbséget, kiegészítő elemzés készíthető a különbség hatásának bemutatására.

Egyéb, nem gyógyszer típusú technológiák esetében bizonyítékokon alapuló módszertan alapján, a használati utasítás előírásainak megfelelően kell meghatározni a dózisra/alkalmazásra vonatkozó kérdéseket.

2.4.3. A technológiák engedélyezési státusza

Gyógyszerek és gyógyászati segédeszközök esetében a hatályos alkalmazási előírásban feltüntetett, jóváhagyott indikációra, vagy azon belül szűkített indikációra vonatkozhat a technológia elemzése.

Más technológiák esetében a hazai, illetve nemzetközi diagnosztikus és terápiás útmutatók, illetve ennek hiányában a Szakmai Kollégium vagy az Egészségügyi Tudományos Tanács által javasolt indikációkra vonatkozhat az elemzés.

A komparátor technológia alapesetben csak engedélyezett technológia lehet: gyógyszerek esetében forgalomba hozatali engedély, nem gyógyszeres egészségügyi technológiák (gyógyászati segédeszköz, valamint orvostechikai eszköz) esetében CE jelzés szükséges.

Előfordulhat, hogy a rutinszerűen alkalmazott technológia nem rendelkezik engedéllyel. Ilyenkor a rutinszerű alkalmazás adatokkal/bizonyítékokkal történő alátámasztása mellett megfelelő komparátornak tekinthető az engedéllyel nem rendelkező technológia is.

Az egészség-gazdaságtani elemzés végeredménye csak az előzetesen megjelölt indikáció(k)ban és betegcsoport(ok)ra érvényes.

2.4.4. Az új és a komparátor technológiákra vonatkozó, szükséges evidenciák szintje

Ideális körülmények között a vak, randomizált, kontrollált, direkt összehasonlító (ha nem áll rendelkezésre, akkor indirekt) vizsgálatok szükségesek a komparátor és az új technológia összehasonlítására.

Ugyanakkor megjegyzendő, hogy ez nem minden esetben kivitelezhető (például az alkalmazás módja, a mellékhatások befolyásolhatják a vizsgálat vak elrendezését, a mellékhatás profil láthatóan kedvezőbb lehet a betegek egy alcsoportja számára). A komparátor tekintetében gyakorlati, pragmatikus vizsgálatok, megfigyeléses vizsgálatok vagy regiszterek is jelenthetik a megfelelő evidenciát, amennyiben ezek is jó minőségűek és statisztikailag megalapozottak.

Az evidenciák megbízhatósági szintjét az evidenciák piramisa írja le.

1. ábra:

Az evidenciák piramisa

* Critically-Appraised Topics [Evidence Syntheses and Guidelines]

** Critically-Appraised Individual Articles [Articles Synopses]

Forrás: Sackett 2000 és EBM Pyramid and EBM Page Generator alapján [5, 6]

2.4.5. A komparátorok száma

Amennyiben nincs egyetlen, jól meghatározható komparátor, több komparátorhoz együttesen viszonyítva javasolt az elemzés elkészítése.

Kiemelendő az ún. hozzáadott (add-on) terápiák esete, amikor a rutinszerűen alkalmazott és az új technológia egyidejű használata eredményesebb a technológiák külön-külön való használatánál. Ilyenkor javasolt az összes engedélyezett alternatíva összevetése (például pszichoterápia önmagában, gyógyszeres terápia önmagában, illetve pszichoterápia és gyógyszeres terápia együtt).

2.4.6. Az új és a komparátor technológiák terápiás indikációja a betegek alcsoportjait tekintve

Ideális esetben az új és a komparátor technológia terápiás indikációja a kezelendő betegeket tekintve azonos.

Előfordulhat ugyanakkor, hogy az új technológia szélesebb terápiás indikációval rendelkezik: különböző kezelési vonalakat is lefed, a betegség több súlyossági fokában, stádiumában is alkalmazható. Ilyenkor egynél több komparátor alkalmazására lehet szükség, az egyes alpopulációk kezelésének megfelelően.

3. Nézőpont

Ajánlás 4

Az egészség-gazdaságtani elemzés nézőpontját egyértelműen ismertetni kell. Az elemzés nézőpontját a célcsoportnak megfelelően célszerű megválasztani, elsősorban a finanszírozói nézőpont ajánlott. Emellett lehetőség szerint törekedni kell az átfogó, társadalmi nézőpont alkalmazására is az adott technológiától függően.

Általános alapelv, hogy az elemzés nézőpontjának az elemzés céljához kell igazodnia. Amennyiben a cél a vizsgált technológia közpénzekből való finanszírozásának befolyásolása, akkor az elemzést alapesetben a finanszírozói nézőpontjából kell elkészíteni. Emellett azonban ajánlott feltüntetni a társadalmi nézőpont alapján számított eredményeket is, az adott technológiától függően. Egyéb esetekben az elemzés más (pl. szolgáltatói, társadalmi) nézőpontokból is készülhet. Fontos, hogy az egészség-gazdaságtani elemzés elkészítéséhez választott nézőpont meghatározza az elemzés során felmerülő és bevonásra kerülő költségek körét (pl. direkt és/vagy indirekt), valamint az elemzés végeredményének típusát.

Ajánlás 5

A különböző nézőpontokból számított eredményeket egyértelműen elkülönítve, külön-külön szükséges bemutatni.

A finanszírozói nézőpontból készült tanulmányokban – a döntéshozó ésszerű mérlegelése érdekében – javasolt (de nem kötelező) feltüntetni a társadalmi nézőpontból számított eredményeket is. Ennek az az oka, hogy az össztársadalmi szinten való optimális forrásallokáció elérése a kívánatos „felsőbb” cél, és ehhez úgy tud információt szolgáltatni a költséghatékonysági elemzés, ha a társadalmi nézőpont szerinti eredményeket is ismerteti. Fontos felhívni a figyelmet arra, hogy a rendelkezésre álló források hatékony felhasználását támogató tanulmányokban a finanszírozói nézőponton kívül bemutatott egyéb nézőpontok (pl. szolgáltatói, társadalmi stb.) nem helyettesíthetik, hanem csak kiegészíthetik az adott egészség-gazdaságtani elemzést.

Társadalmi nézőpontú elemzés esetében mindazon hasznokat és költségeket (egészségügyön belül és azon kívül jelentkező direkt és indirekt költségek) figyelembe kell venni, amelyek a vizsgált terápiákhoz kapcsolódóan jelentkeznek a teljes társadalomban. Különösen fontos ez olyan technológiák esetében, amelyeknél a társadalmi nézőpont jobban leírja a hasznokat és a költségeket (pl. vakcinák).

A fent ajánlott két nézőponton túl lehetséges más nézőpont alapján is elkészíteni az elemzést (pl. szolgáltató nézőpontjából), de azt az alaptanulmánytól elkülönítve, kiegészítő elemzésben lehet megtenni.

4. Az egészség-gazdaságtani elemzés típusa

Ajánlás 6

Az egészség-gazdaságtani elemzések nemzetközi gyakorlatban is alkalmazott hat alaptípusa közül – költség-eredményességi (cost-effectiveness analysis – CEA), költség-hatásossági (cost-efficacy analysis – CEA), költség-hasznossági (cost-utility analysis – CUA), költség-haszon (cost-benefit analysis – CBA), költség-minimalizációs (cost-minimisation analysis – CMA) és költség-következmény (cost-consequences analysis – CCA) elemzés – azt kell kiválasztani, amelyik az elemezni kívánt egészségügyi problémának a leginkább megfelel. Az egészség-gazdaságtani elemzések alaptípusai az összehasonlításba vont technológiák egymáshoz mért eredményességében és összemérhetőségében különböznek. Alapesetben az elemzés eredményeinek bemutatásához választandó, preferált módszertan a költség-hasznossági elemzés költség-eredményesség/hatásosság elemzéssel kiegészítve. Minden más esetben az elemzés típusának kiválasztását indokolni szükséges.

Az egészség-gazdaságtani elemzéseket alapvetően az egészségnyereség mérési módja szerint különböztetjük meg.

A költség-minimalizációs (cost-minimisation analysis – CMA) elemzés a választandó módszer akkor, ha a rendelkezésre álló, megbízható tudományos eredmények (pl. megfelelő vizsgálati egyszámmal rendelkező randomizált klinikai vizsgálatok, vagy rendszerezett irodalmi áttekintésen alapuló metaanalízis) alapján az összehasonlításra kerülő eljárások által nyújtott egészségnyereség (pl. a megmentett életévek száma, vagy az életminőség-javulás) kontrollált, illetve rutin gyógyító tevékenység során azonos, vagy lényeges különbség nincs. Más szavakkal az általuk okozott hasznok (egészségnyereség), illetve károk (pl. mellékhatások) megegyeznek (statisztikailag szignifikáns különbség nincs). A tanulmánynak ilyen esetekben a költségek összevetésére kell fókuszálnia.

A költség-eredményességi (cost-effectiveness analysis – CEA) és költség-hatásossági (cost-efficacy analysis – CEA) elemzés a ráfordításokat költségekben, az eredményeket ún. természetes egységekben méri (pl. fiziológiai paraméterek, mellékhatások megjelenése, tünetmentes napok száma, megmentett életek száma, megmentett életévek száma, betegek elégedettségét mutató indexek stb.). Költség-eredményességi/hatásossági elemzésnek számítanak továbbá azok a tanulmányok is, amelyek az egészségnyereséget betegség-specifikus, vagy olyan generikus (általános) életminőség kérdőívekkel mérik, amelyek hasznosságértékektől függetlenül kialakított pontszámokon, valamint klinikailag számszerűsíthető változás bekövetkezésének mérésén alapulnak. A kétféle elemzés közül elsőként a költség-eredményességi elemzés választandó, de ha nincs

eredményességi adat, akkor költség-hatásossági elemzés is elfogadható azzal a megkötéssel, hogy a felülvizsgálatra idővel sort kell keríteni, melyre a technológiaértékelésért felelős szerv ad javaslatot.

A költség-hasznossági elemzések (cost-utility analyses – CUA) hasznosságban kifejezett, egészségi állapottal súlyozott életévekben mérik az egészségnyereséget. A költség-hasznossági elemzés alkalmazása esetén az egészségnyereséget QALY mértékegységben ajánlott mérni. Javasolt a hasznossági értékeket hasznosságon alapuló, egészségre vonatkozó életminőség kérdőívek segítségével kialakítani. A költség-eredményességi/hatásossági elemzéseket ajánlott a költség-hasznossági elemzések kiegészítéseként (azzal párhuzamosan) elvégezni, amennyiben rendelkezésre állnak, vagy megteremthetők az ehhez szükséges adatok.

A költség-haszon elemzések (cost-benefit analyses – CBA) pénzben fejezik ki az egészségnyereség értékét. A nemzetközi irányelvek egy része elfogadja a költség-haszon elemzés alkalmazását a közpénzek felhasználására irányuló döntések előkészítésében, mint a gazdasági elemzések egy lehetséges fajtáját, a másik része viszont nem ajánlja használatát az egészségügy területén. Hazánkban a költség-haszon elemzés készítése társadalombiztosítási támogatásba történő befogadási kérelmek esetén nem javasolt.

A költség-következmény (cost-consequences analysis – CCA) elemzések a költségeket és következményeket ismertetik, és csak abban az esetben használhatóak, ha nem áll rendelkezésre megfelelő információ az egészségnyereségről.

Amennyiben az elemzés módszertana eltér a fent ismertetett irodalmi módszerektől, úgy az elemzés módszertanának részletes bemutatása és a választott módszertan indoklása, valamint a fenti módszertanok kizárási kritériumainak alátámasztása szükséges.

5. Egészségnyereség – Az alkalmazott gyógyító-megelőző eljárásokhoz kapcsolódó egészségnyereség mérése: a költséghatékonysági arányszám nevezőjének számítása

5.1. Hatásosság és eredményesség

Ajánlás 7

Az egészség-gazdaságtani elemzés lehetőség szerint a rutin gyakorlatban elért (hosszú távú) klinikai eredmények mérésére törekedjen, a kontrollált körülmények közötti hatásosság (szigorúan meghatározott, illetve ellenőrzött klinikai vizsgálatok során elért egészségnyereség) helyett.

Az egészségügyi technológiák (pl. gyógyszerek) klinikai vizsgálatokban, „optimális” körülmények között elért hatásossága nem minden esetben egyezik meg a valós terápiás gyakorlat körülményei között alkalmazott terápiák hatásosságával (eredményességével). A döntéshozókat mindenekelőtt az adott egészségügyi szolgáltatás valós körülmények közötti hatása érdekli, ezért az elemzőknek arra kell törekedniük, hogy a való életben elérhető (hosszú távú) klinikai eredményekre (eredményesség), nem pedig kontrollált klinikai vizsgálatok során megállapított hatásosságra alapozzák az elemzést.

Azonban, különösen az új gyógyító-megelőző eljárások (pl. gyógyszerek) esetében, gyakran csak a hatásosságra vonatkozó klinikai vizsgálatok eredményei állnak rendelkezésre, amelyek alul/felülbecsülhetik a vizsgált gyógyító-megelőző eljárás által a rutin körülmények között elérhető egészségnyereséget. Ilyen esetekben modellezéssel és azt kiegészítve érzékenységi elemzéssel

célszerű megvizsgálni, hogy hogyan változik a költséghatékonysági elemzés végeredménye, ha a hatásosságra vonatkozó eredményeket mind a vizsgált technológia, mind a komparátor esetében – különböző feltételezések mellett – kivetítjük a rutin gyakorlatra. Ezekben az esetekben javasolt a vizsgált technológiák eredményességi adatok alapján történő felülvizsgálata azzal, hogy az egészségügyi technológia forgalomba hozatali engedélyével rendelkező jogosult szolgáltatson eredményességi adatokat, a gyűjtött adatok validálásához szükséges információk rendelkezésre bocsátásával együtt.

Jelentős bizonytalanságot hordozhatnak magukban a korai fázisú (fázis III előtti) vizsgálati eredményeken alapuló egészség-gazdaságtani elemzések. A bizonytalanságok kezelése érdekében javasolt az adott technológia újraértékelése a legfrissebb evidenciák felhasználásával.

5.2. Irodalomkutatás, releváns klinikai vizsgálatok kiválasztásának szempontjai

Az egészség-gazdaságtani elemzés minősége igen jelentősen függ attól, hogy milyen klinikai adatokon nyugszik.

Ajánlás 8

Az egészség-gazdaságtani elemzésekben az elérhető egészségnyereségre vonatkozó klinikai eredményeket a bizonyítékokon alapuló orvoslás, illetve a rendszerezett irodalmi áttekintések nemzetközileg elfogadott módszertani ajánlásai szerint kell felkutatni, értékelni és bemutatni.

Az elemzésben felhasznált tanulmányok kiválasztását indokolni kell. Az elemzésben ismertetni kell az irodalmazás módszertanát, ideértve az irodalomkeresés stratégiáját. Ajánlott a PubMed, a Cochrane Library és a ClinicalTrials.gov használata.

Szükséges az adott technológiával végzett klinikai vizsgálatok táblázatos bemutatása a ClinicalTrials.gov adatai alapján. Amennyiben az adott technológiát több terápiás területen is vizsgálják/vizsgálták, a vizsgálatokat először terápiás területek szerint kell összesíteni (ld. 2. táblázat).

2. táblázat:

A Kérelemben szereplő terápiás terület klinikai vizsgálatai

Egészségügyi technológia (pl. hatóanyag)	Vizsgálatok száma (db)
---	-------------------------------

Az elemzésben szereplő terápiás területre vonatkozó minden fellelt tanulmányt fel kell sorolni, függetlenül a kérelmezett kezelési vonaltól, betegségstádiumtól stb. Az elemzéshez fel nem használt közleményeknél a kizárás indokát (pl. módszertani hibák, vagy klinikailag nem releváns végpontok stb.) pontosan fel kell tüntetni (ld. 3. táblázat).

3. táblázat:

Az elemzett egészségügyi technológia klinikai vizsgálatai (minden indikációban)

Vizsgálat neve/	Indikáció	Vizsgálat kezdő	Vizsgálat befejezésének	A vizsgálat
------------------------	------------------	------------------------	--------------------------------	--------------------

száma	időpontja	(várható) időpontja	aktuális fázisa
-------	-----------	---------------------	-----------------

Az adott technológiával a releváns indikációban (kérelmezett kezelési vonal, betegségstádium stb.) végzett vizsgálatok alapvető információit részletesen is be kell mutatni (ld. 4. táblázat).

4. táblázat:

A vizsgált technológiával a releváns (kérelmezett) indikációban végzett vizsgálatok

Vizsgálat neve/ száma	Vizsgálat kezdete	Vizsgálat befejezése	Metodika	Populáció	Beavatkozás	Komparátor/ komparátorok	Végpont/ végpontok
--------------------------	-------------------	----------------------	----------	-----------	-------------	-----------------------------	-----------------------

5.3. Tudományos bizonyítékok hierarchiája

A tudományos evidenciák megbízhatósági szintjét a 2.4.4. fejezetben bemutatott evidenciapiramis írja le. Az egészségnyereségre vonatkozó legmegbízhatóbb eredmények nagyméretű, rutin gyakorlatnak megfelelő körülmények között végzett, direkt összehasonlító (head to head) randomizált klinikai vizsgálatokból, illetve ezek metaanalíziséből, rendszerezett irodalmi áttekintéséből származnak.

Abban az esetben, ha randomizált klinikai vizsgálat nem áll rendelkezésre, azt egyértelműen fel kell tüntetni. Ebben az esetben ajánlott a nem randomizált vizsgálatok (esetleg megfigyeléses vizsgálatok) bemutatása, és a tanulmányhoz felhasznált vizsgálat kiválasztásának a részletes indoklása.

A szakértői véleménynek is fontos szerepe lehet az egészség-gazdaságtani elemzésben, így például a gazdasági elemzésben használt döntési fa kialakításkor, a felhasznált erőforrások esetleges becsülésében, vagy a klinikai eredmények értelmezésében, kritikus értékelésében, de semmiképpen sem helyettesítheti a tudományos eredményeket.

Ha több vizsgálat eredményének összesítéséből adódnak az egészségnyereségre vonatkozó eredmények, akkor a statisztikai összesítés módszertanát részletesen ismertetni kell.

Az elemzések készítői az egészségnyereség mérésekor vagy maguk gyűjthetnek bizonyítékot saját vizsgálatokkal, vagy a már mások által elvégzett vizsgálatok eredményeit építhetik be saját elemzésükbe. Mindkét megközelítés elfogadható, de a választást indokolni kell, az alkalmazott módszertant részletesen be kell mutatni, és fel kell tüntetni a választott megközelítés korlátait.

5.4. Indirekt összehasonlítás

Abban az esetben, ha nem áll rendelkezésre direkt összehasonlító, randomizált klinikai vizsgálat, illetve ezekből készült szisztematikus irodalmi áttekintés, metaanalízis, akkor indirekt összehasonlítás készítése szükséges.

Indirekt összehasonlítás során törekedni kell olyan vizsgálatok használatára, amelyek ugyanahhoz az eljáráshoz viszonyították az összehasonlításra kerülő eljárásokat. Amennyiben csak olyan vizsgálatok érhetőek el, amelyekben az összehasonlításra kerülő eljárásokat nem ugyanahhoz az eljáráshoz hasonlították, akkor a hálózatos metaanalízis módszere, vagy egyéb, nemzetközileg elfogadott módszertan alkalmazható az indirekt összehasonlítás elvégzésére.

Számos esetben nem alkalmazható közvetlen összehasonlító klinikai vizsgálat komparátora az egészség-gazdaságtani elemzés komparátoraként. Például az adott technológiának nem létezik megfelelő minőségű és végpontú randomizált kontrollcsoportos vizsgálata, amennyiben az adott technológia rutinszerű alkalmazhatóságának ez nem kötelező érvényű feltétele (bizonyos műtéti eljárások, orvostechnológiai eszközök, diagnosztikai eljárások, orvosi tápszerek esetében). Más esetben a regisztrációs klinikai vizsgálat során alkalmazott komparátort már nem alkalmazzák a napi gyakorlatban, mert azt a vizsgálat befejezése óta felváltotta egy modernebb eljárás, vagy ellenkezőleg, a klinikai vizsgálatban komparátorként alkalmazott technológia még nem rendelkezik hazai támogatással az adott indikációban vagy terápiás lépcsőben.

Ilyen esetekben a hatásosság értékelése a releváns komparátorral szembeni indirekt összehasonlításon alapulhat. Amennyiben az egészség-gazdaságtani elemzés komparátorával az elemzés tárgyául szolgáló technológiát közvetlenül, megfelelő minőségű klinikai vizsgálat(ok)ban is összehasonlították, úgy elsődlegesen az ilyen vizsgálat(ok) eredményét kell az egészség-gazdaságtani elemzésben figyelembe venni. Ezért az indirekt összehasonlítás esetében be kell mutatni, hogy miért nincs lehetőség direkt összehasonlító klinikai vizsgálatok eredményeinek alkalmazására. Az indirekt összehasonlítás esetén a figyelembe vett klinikai vizsgálatok kiválasztásának szempontjait indokolni kell.

Törekedni kell olyan vizsgálatok használatára, amelyek ugyanahhoz az eljáráshoz viszonyították az összehasonlításra kerülő eljárásokat (pl. placebohoz). Az elemzés során korrigált indirekt összehasonlítást kell alkalmazni, nemzetközileg elfogadott módszertani ajánlások szerint kell elvégezni (pl. Cochrane-ajánlás, EUnetHTA-guideline, ISPOR Good Research Practice).

A felhasznált metaanalízist részletesen be kell mutatni, nem elegendő az ebből nyert következtetések ismertetése.

Különösen fontos, hogy nemzetközileg elismert módszertani ajánlások szerint történjen az indirekt összehasonlítás, ha annak elvégzésére csak egykarú, nem kontrollált vizsgálatok állnak rendelkezésre.

5.5. A klinikai vizsgálatok és eredményeik bemutatása

A klinikai vizsgálatok eredményeinek minősége a külső és belső validitásuktól függ, ezért azokat értékelni és táblázat formájában bemutatni szükséges publikált módszertani ajánlások szerint (pl. Cochrane-ajánlás, EUnetHTA-checklist stb).

5.5.1. Értékelt végpontok

Az egészségnyereségre vonatkozó adatoknak a gyógyító-megelőző eljárás hosszú távú klinikailag számottevő hatására (mortalitás, morbiditás és a betegség egyes stádiumaiban a betegek által értékelt életminőségre) kell vonatkozniuk a köztes eredmények kizárólagos használata helyett.

A klinikai végpontok három doménje a mortalitás, morbiditás és az egészséggel kapcsolatos életminőség. A klinikai végpontnak klinikailag relevánsnak, szenzitívnek, validnak és reprodukálhatónak kell lennie.

A relatív hatásosság értékelése (relative effectiveness assessment, REA) során meghatározandó a végpontok hierarchiája (például az elsődleges, másodlagos végpontok). A választás függ a célcsoporttól, adott betegség/állapot főbb jellemzőitől (nem életveszélyes versus életveszélyes) és a kezelés céljától. Egy életveszélyes betegség esetén a mortalitási vagy túlélési végpont az elsődleges végpont, míg a morbiditás és/vagy életminőség másodlagos végpontok. A nem életveszélyes betegségek esetén morbiditás és életminőség végpont előnyben részesítendő.

– Köztes végpont alkalmazása elfogadható abban az esetben, ha kemény végpont nem áll rendelkezésre, és a köztes és klinikai végpontok közötti összefüggés evidenciákkal alátámasztott (surrogate outcome).

– Nem validált köztes végpont alkalmazása abban az esetben válhat szükségessé, ha nem áll rendelkezésre sem klinikai végpont, sem validált köztes végpont. A nem validált köztes végpont alkalmazását indokolni kell.

– Összetett végpontok (composite outcome) esetén feltétel, hogy az összes komponens végpont megfeleljen a validitás, reprodukálhatóság és klinikai relevancia kritériumainak.

5.5.2. A klinikai vizsgálatok eredményeinek bemutatása

A felhasznált klinikai vizsgálatok eredményét külön – külön, táblázatos formában kell bemutatni, ami tartalmazza a vizsgálat főbb jellemzőit (pl. elvégzésének idejét, metodikáját, betegszámát, betegpopuláció jellemzőit, a mért klinikai változót, a változás nagyságát, a statisztikai szignifikancia szintet és a 95%-os konfidencia-intervallumot). Ha több klinikai változóról van szó, akkor ezeket külön táblázatokban célszerű szerepeltetni. Ha nem a kezelési szándék szerint készült a statisztikai elemzés, akkor azt jelezni kell. Az eredmények prezentálása során a mért változás(ok) klinikai jelentőségét is be kell mutatni.

Az eredmények általánosíthatósága, a tanulmányok követhetősége és reprodukálhatósága miatt fontos, hogy a klinikai vizsgálatok eredményei egyértelműen és jól követhetően legyenek feltüntetve.

Az eredményeket célszerű táblázatos formában összesíteni, amelyben javasolt feltüntetni a vizsgálatok elvégzésének idejét, hivatkozását, a vizsgált betegpopuláció főbb jellemzőit, a betegszámot, a mért klinikai változót, a változás nagyságát (relatív és abszolút kockázatcsökkenés), a 95%-os konfidencia intervallumot, az NNT-t, az NNH-t és a statisztikai szignifikanciaszintet.

Ha több klinikai változóról van szó, akkor ezeket külön táblázatokban célszerű szerepeltetni. Jelezni kell, ha nem a kezelési szándéknak megfelelően történtek a statisztikai elemzések.

Ráták esetében a nevező és a számláló értékeit is meg kell adni.

Ha egy tanulmány több paraméter segítségével is mérte az egészségnyereséget, akkor indokolni kell, hogy az egészség-gazdaságtani elemzés miért az éppen kiválasztott paraméteren nyugszik.

5.5.3. Életminőséggel korrigált életév (Quality-Adjusted Life Year, QALY)

A költség-hasznossági elemzés alkalmazása esetén az egészségnyereséget QALY mértékegységben ajánlott mérni.

A QALY olyan mértékegység, amely kombinálja a várható élettartamban és a (hasznosságon alapuló) életminőségben testet öltő egészségnyereséget. Javasolt a hasznossági értékeket hasznosságon alapuló, egészségre vonatkozó életminőség kérdőívek segítségével kialakítani.

Magyarországon megfelelő adaptációt kell alkalmazni. Amíg nem állnak rendelkezésre olyan lakossági felmérések, amelyek a magyar lakosságnak az egyes egészségi állapotokról alkotott értékítéletét fednék fel, addig a nemzetközi (preferáltan a más európai országokból származó) adatokat ajánlott felhasználni.

Az egyes egészségi állapotok hasznossági értékeinek meghatározásához felhasználhatóak mind általános, mind betegség-specifikus életminőség kérdőívek. Lehetőség szerint törekedni kell a preferencia alapú életminőség adatok felhasználására, amely történhet az általános életminőség kérdőívek (pl. EQ-5D, SF-36) lehetséges egészségi állapotainak hazai lakosság preferenciája alapján meghatározott hasznossági súlyok felhasználásával, vagy a betegség-specifikus kérdőívek eredményeinek mapping módszerrel történő hasznossági súlyokra való átkonvertálásával. Ezzel megvalósítható, hogy az adott egészségügyi technológiával elérhető QALY értéke a hazai lakosság preferenciáját tükrözze.

Az egyes egészségi állapotok hasznossági értékeinek számítási módszere részletesen kerüljön kifejtésre a felhasznált adatok forrásának pontos megjelölésével (felhasznált életminőség kérdőív, hasznossági mérés módszere – ország, földrajzi régió megjelölésével). Származtatott adatokból való kalkuláció esetén a mapping algoritmust is ismertetni kell.

Amennyiben az egészségügyi beavatkozások olyan betegségekre vonatkoznak, amelyeknél az életminőség kérdőívek dimenziói (pl. fájdalom, fizikai funkciók) nem követik megfelelően a betegek egészségi állapotának változásait (pl. pszichiátriai betegségek), közvetlen hasznossági mérési módszerek (vizuális analog skála módszer, időalku módszer, standard játszma) is alkalmazhatóak a betegek hasznossági értékeinek megállapítására. Mivel az így nyert értékek nem társadalmi preferenciákon alapulnak, és módszertanilag sem teljesen megalapozottak, minden más esetben az életminőség kérdőíveken alapuló, lehetőség szerint kor- és nem-specifikus QALY értékeket kell alkalmazni.

Külföldi tanulmányok magyar körülményekre való adaptálása esetében is részletesen ismertetni kell a QALY meghatározás (mérés, illetve számítás) módszertanát. Amennyiben az életminőség eredményeket magyarországi adatokkal adaptálják, akkor az eredményeket az eredeti QALY számokkal is be kell mutatni.

A költség-hasznossági elemzésekben használt alternatív mérőegységek, a DALY (disability-adjusted life years), a HYE (healthy years equivalents) vagy a SAVE (saved young life equivalents) alkalmazása alapesetben nem javasolt, de bizonyos esetekben hasznos lehet a másodlagos elemzések során.

6. Költség – A beavatkozásokhoz kapcsolódó költségek mérése: a költséghatékonysági arányszám számlálója

Ajánlás 9

A költségszámítás és az elemzés nézőpontjának összhangban kell lennie. Az elemzés nézőpontja definiálja az elemzésbe vonható költségek körét. Az elemzésben szereplő egészségügyi technológia árának a teljes árnak kell lennie.

Alapvető szabály, hogy a költségszámítás nézőpontjának összhangban kell lennie az elemzés készítésének nézőpontjával és az egyes költségelemeket részletesen be kell mutatni. A felhasznált adatforrásokat minden esetben fel kell tüntetni.

Amennyiben a cél az adott egészségügyi technológia társadalombiztosítási támogatásba történő felvétele, úgy finanszírozói nézőpont alapján szükséges a beadványt elkészíteni. A költségadatok meghatározása során törekedni kell arra, hogy az adatok lehetőség szerint a legfrissebb adatbázis(ok)ból származzanak.

Finanszírozói nézőpont esetében az egészségügyi ellátások költségét az érvényben lévő listaár (OENO, HBCs) alapján, a gyógyszerek, nem gyógyszeres technológiák és gyógyfürdő szolgáltatások esetében a társadalombiztosítási támogatás alapjául elfogadott teljes árral (vagyis a finanszírozói támogatás és a beteg által fizetett térítési díj együttes értékével, a bruttó fogyasztói árral) szükséges bemutatni. A közbeszerzés keretén belül beszerzett gyógyszerek esetében bruttó nagykereskedelmi ár, műszerek, segédeszközök, illetve egyéb segédanyagok esetében a közbeszerzés során érvényesített árak használata a javasolt. A finanszírozói adatbázis alkalmazásának fő indoka, hogy a finanszírozó szempontjából ezek a releváns költségek. Finanszírozói adatbázisból származó adatok felhasználása esetén az adatlekérés részletes módszertanát is ismertetni kell.

Amennyiben a támogatási kérelemben feltüntetett termelői ártól eltérő árral történik a kalkuláció, azt egyértelműen jelezni és indokolni kell. Abban az esetben, ha a kérelem benyújtását követően módosul a kérelmezett termelői ár, az eredményeket az új árral is ismertetni kell.

A költségek számításánál a hatályos árat kell az egyes orvosi erőforrásokhoz rendelni és a forgalommal súlyozott átlagos áron kell a felhasznált erőforrás árát figyelembe venni. A beteg által fizetett költségekből a beteg szolgáltatás hozzáférésehez szükséges térítési díjat kell figyelembe venni. Bármilyen más választást indokolni kell.

Társadalmi nézőpont esetében a számítások során valamennyi társadalmi költségtényező figyelembevétele lehetséges.

Amennyiben a szolgáltató vagy a gyártó úgy tapasztalja, hogy az elemzésben szereplő technológia és/vagy komparátorának alkalmazása során felmerült költségek lényegesen eltérnek a finanszírozási jogszabályokban szereplő díjtételektől (pl. különbözik a technológia publikus és tényleges ára), úgy

lehetőség van arra, hogy az alapesettől elkülönítetten ezen költségekkel számolva is elvégezze a gazdasági elemzést kiegészítő elemzés keretében. Minden egyes költség esetében pontosan meg kell jelölni annak forrását. Figyelemmel kell lenni azonban arra, hogy ezen kiegészítő elemzésben vizsgált valamennyi egészségügyi technológia „reális” áron kerüljön összehasonlításra. (Az árak realitását a Finanszírozó bevonásával az egészségügyi technológiát értékelő hatóság vizsgálja.)

Ajánlás 10

Az egészségügyi technológiák egészség-gazdaságtani elemzése során az ellátással szorosan összefüggő és az új technológia által elérhető elkerült költségeket lehet figyelembe venni.

Finanszírozói nézőpont esetében az egészség-gazdaságtani számítások során megjelenő költségek közül az ellátással szorosan összefüggő (direkt) költségeket és az új technológia által elkerült közvetlen (direkt) egészségügyi költségeket lehet figyelembe venni. Az ellátással nem összefüggő betegségek következtében vagy a terápia által meghosszabbított élet során, de nem az elemzés tárgyát képező betegséggel összefüggésben felmerülő, vagy egyéb indirekt költségeket nem, vagy indokolt esetben kiegészítő elemzésben lehet bemutatni. Figyelmen kívül kell hagyni a meghosszabbított életévek során felmerülő nem egészségügyi (pl. megélhetési költségek, hálapénz, termelési költségek stb.) költségeket is.

Ajánlás 11

A költségek számítása során ajánlott figyelembe venni a közvetlen egészségügyi költségeket és a közvetlen nem egészségügyi költségeket.

Közvetlen egészségügyi költségnek nevezzük a technológiák alkalmazásával kapcsolatos egészségügyi költségeket. Ilyen költségek az otthonápolás, háziorvosi, szakorvosi ellátás, pszichoterápia, járóbeteg szakrendelés, kórházi kezelés, elmeszociális otthoni kezelés, védőnői ellátás, fizioterápia, gyógyszer, gyógyfürdő, mentés, diagnosztikus tesztek, műtét, egyszer használatos eszközök, transzfúzió, oxigén, a szövődmények kezelési költsége, védőoltás, gyógyászati segédeszköz, betegek által fizetett önrész stb. Közvetlen nem egészségügyi költségnek nevezzük a technológia alkalmazása során felmerülő nem egészségügyi költségeket (pl. utazási költség). Ezeket külön kell bemutatni.

Ajánlás 12

A költségszámítás során az adókat, beleértve az ÁFA-t is, figyelembe kell venni.

Az elemzés során az egészségügyben jelentkező teljes költséget kell figyelembe venni, így szükséges és indokolt esetben a humán erőforrás esetében ebbe beletartozhatnak az adók és járulékok, pótlékok, béren kívüli rendszeres juttatások, a felhasznált termékek esetében pedig a kifizetett általános forgalmi adó.

Ajánlás 13

A technológiák alkalmazása során felhasznált erőforrásokat és azok árát külön-külön kell feltüntetni. Továbbá az egyes betegutakhoz/egészségi állapotokhoz tartozó, a finanszírozó által elszámolt költségtételek részletesen, azok egységeiben (pl. HBCs, BNO, OENO) és pénznemben kifejezett értékei felsorolásszerűen kerüljenek bemutatásra. A költségek ismertetése során törekedni kell a táblázatos formátum alkalmazására (ld. 5. táblázat).

5. táblázat:

Költségtételek

Költségek (Ft/ciklus)

Az elemzésben szereplő egyes egészségi állapotok

	Egészségi állapot vagy esemény megnevezése	Egészségi állapot vagy esemény megnevezése	Egészségi állapot vagy esemény megnevezése	Összesen (Ft)
Új technológia	Költségtétel 1			
	Költségtétel 2			
	Költségtétel ...			
Komparátor	Költségtétel 1			
technológia	Költségtétel 2			
	Költségtétel ...			

Az összehasonlított technológiákhoz kapcsolódó erőforrásokat (pl. orvosi vizitek száma, diagnosztikus eljárások száma) és azok egységárait külön, táblázatos formában kell feltüntetni. Ez elősegíti az eredmények ellenőrizhetőségét és követhetőségét.

Ajánlás 14

Az elemzés során elkülöníthető módon kell feltüntetni a különböző egészségügyi költségvetési előirányzatoknál jelentkező költségeket és megtakarításokat.

A különböző egészségügyi előirányzatok (kasszák) nem teljesen átjárhatóak, és az egyes kasszák közötti allokáció nem feltétlenül lehetséges. Például egy antibiotikum gyorsteszt terheli a járóbeteg és/vagy kórházi kasszát, ugyanakkor a gyógyszerkassza antibiotikum kiadásait csökkentheti. Emiatt a gazdasági számítások során elkülöníthető módon kell feltüntetni a különböző kasszában jelentkező költségeket és megtakarításokat. Ez elősegíti a körültekintőbb döntéshozatalt, és az új, költséghatékony technológiák majdani befogadásával jelentkező többletkiadások vagy megtakarítások kasszánkénti figyelembe vételét.

Ajánlás 15

Amennyiben a költségek elemzése a valós intézményi költségeket veszi figyelembe, úgy részletesen be kell mutatni a tételes költségek gyűjtésének módját, mélységét, vetített közvetett költségek számításának módját (belső szabályzatok, egyéb előírások érvényesülését).

A kórházakban, klinikákon alkalmazott új technológiák esetében előfordul, hogy még nem került kialakításra önálló beavatkozáskód, ezért a vizsgált technológia ugyanabba a HBCs-be sorolódik, mint a választott komparátor. Ez azzal jár, hogy az elemzésben nem mutatkozik meg a technológiák alkalmazásának valós költségkülönbsége, ami torzíthatja a végkövetkeztetést. Ha az elemzés az aktuális biztosítói térítési díjból indul ki a költségek meghatározásakor, akkor tulajdonképpen bármilyen drága lehetne a technológia, annak költsége akkor is megegyezne a komparátoréval. A

probléma kezelése érdekében a kórházban alkalmazott, HBCs keretében finanszírozott technológiák értékelése során kívánatos, hogy az elemzés a valós intézményi önköltségből induljon ki, illetve mikroköltség-számítás módszerét alkalmazva mutassa be a vizsgált és a komparátor technológia költségét.

Ajánlás 16

Ha a felhasznált erőforrásokra vonatkozó adatok nemzetközi klinikai vizsgálatokból, vagy egészség-gazdaságtani elemzésekből származnak, akkor javasolt a külföldi klinikai gyakorlatot a magyar gyakorlattal összevetni, és eltérés esetén a magyar erőforrás felhasználásra vonatkozó értékeken túl a nemzetközi klinikai vizsgálatokból származó erőforrás felhasználással is elvégezni a számítást.

Ha a felhasznált erőforrásokra vonatkozó eredményeket klinikai vizsgálatokból kapjuk, akkor fontos különbséget tenni, hogy mi az, amit kizárólag a vizsgálati protokoll ír elő (meghatározott vizsgálatok, tesztek stb.), és mi az, amit a rutin praxis folytatása közben is felhasználnak. A nemzetközi (külföldi) és a hazai rutin gyakorlat mind felfelé, mind lefelé eltérhet az igénybe vett források tekintetében (pl. orvosi vizitek száma vagy kórházi ápolás hossza). Ezekben az esetekben az eltérést kiegészítő elemzés keretében kell megvitatni.

7. Elemzés időhorizontja, diszkontálás

Ajánlás 17

Az elemzés időtávjának meghatározásakor törekedni kell arra, hogy az elemzés időtartama elég hosszú legyen ahhoz, hogy a vizsgált technológiának az összes klinikai és költségbeli következményét felölelje, ugyanakkor igazodjon a magyar lakosság várható élettartamához, figyelembe véve a betegség-specifikus halálozást. Minden esetben be kell mutatni a modellezett és a klinikai vizsgálat időtávját, valamint a modellezett populáció átlagos életkorát. Amennyiben az elemzés által lefedett időintervallum több évtizedet ölel fel és/vagy élethosszig tart, érzékenységi vizsgálat keretében a költséghatékonysági eredményeket rövidebb, arányaiban releváns időtávon is be kell mutatni (pl. a betegség-specifikus várható élettartamnak megfelelő időtávon).

Az elemzésnek olyan hosszú időtartamot kell lefednie, amely során a technológiának közvetlenül betudható, az egészségi állapotra, illetve a költségekre gyakorolt összes (számottevő) rövid és hosszú távú hatás (pl. megmentett életévek, minőségi életév nyereség stb.) figyelembe van véve. Lehetséges, hogy ehhez a klinikai vizsgálatok eredményeit extrapolálni kell a klinikai vizsgálat idejét esetleg lényegesen meghaladó időtartamra. Ebben az esetben modellezés használata preferált. A modellezés módszerét egyértelműen ismertetni kell, és az extrapolálás módszeréből, illetve a megválasztott időhorizontból adódó bizonytalanságok eredményre gyakorolt hatását szenárióelemzés keretében (pl. a számításokat más extrapolációs módszerrel vagy rövidebb időtávokon is elvégezve) ellenőrizni kell. A számításokhoz használt modell, modellek az elemzés részét képezik. A vizsgált időtáv elemzésben bemutatható maximuma az elemzés tárgyát képező populáció 100. életévéig tarthat. Szükséges figyelembe venni a hazai korszpecifikus és betegség-specifikus halálozási adatokat is. Csak a formai és tartalmi szempontok alapján hiánytalanul és ellenőrizhető módon benyújtott egészség-gazdaságtani elemzések értékelhetőek.

Ajánlás 18

A költségszámításban használt árakat egy adott időpontra kell átszámítani inflálás vagy deflálás útján.

Előfordulhat, hogy a költséghatékonysági elemzésekben a költségszámítás során az erőforrások, illetve azok árainak számbavételekor más és más évekből származó adatok kerülnek felhasználásra. Ilyen esetekben egy időpontra (lehetőleg jelen időpontra) kell átszámítani az árakat és ezzel együtt a költségértékeket. A költséghatékonysági elemzésekben a Központi Statisztikai Hivatal (KSH) által megadott fogyasztói árindexet kell figyelembe venni függetlenül attól, hogy a költségek (illetve megtakarítások) az elemzésben vizsgált technológiához kapcsolódnak vagy az egészségügyön kívül jelentkeznek. Az átszámítás alapját a KSH által közzétett éves fogyasztói-árindex (infláció, összesen kategória) kell, hogy adja.

Ajánlás 19

Amennyiben az elemzés több mint 1 évre vonatkozó hatásokat vizsgál, az időpreferenciát, illetve az erőforrások használdozati költségét figyelembe kell venni diszkontálás segítségével. Alapesetben az elemzés során mind a költségeket, mind az egészségnyereséget 3,7%-kal kell diszkontálni. A diszkontráta esetében érzékenységi vizsgálatot a költségekre vonatkozóan 2–5%-os, az egészségnyereségre vonatkozóan 0–5%-os intervallumban ajánlott végezni, illetve indokolt esetben mozgó diszkontrátát is lehet alkalmazni.

Számos technológia költségekre és egészségnyereségre gyakorolt hatása egy évnél hosszabb. Ilyen esetekben érvényesíteni kell az általános gazdasági elemzésekben bevett módszert, a diszkontálást. A jövőbeni költségek jelenértékre történő diszkontálása mögött az a megfontolás áll, hogy ugyanannyi pénz ma többet ér, mint egy későbbi időpontban (mivel a jelenleg rendelkezésre álló pénz biztos, és a jövőre nézve gyarapítható). Ennek megfelelően a beruházásoknál, illetve jelen esetben a gyógyító eljárásoknál figyelembe kell venni, hogy a későbbi kiadások kisebb súllyal szerepeljenek. A diszkontálás során tehát a jövőbeni értékeket hozzuk jelenértékre. Az egészség-gazdaságtani szakirodalomban azonban vita van a diszkontráta nagyságáról. A diszkontráta nagysága értékválasztási kérdés, általában egy ország jellegzetességétől függ (pl. gazdasági fejlődés mértékétől vagy egy általános kincstári ajánlástól), és alapesetben 0 és 5% között, érzékenységi vizsgálatokban 0 és 10% között mozog a nemzetközi ajánlásokban. Az empirikus hazai adatokon alapuló számítások szerint a diszkontráta számított értéke 3,7% [7].

Vita van arról is, hogy a költségek mellett az egészségi állapotra vonatkozó (pl. QALY) értékeket is kell-e diszkontálni. Alapesetben javasolt a jövőbeni költségeket és az egészségnyereséget azonos mértékben diszkontálni. Ezen kívül javasolt érzékenységi vizsgálat elvégzése a diszkontrátára vonatkozóan is, a költségek esetében 2–5%-kal, az egészségnyereség esetébenben 0–5%-kal számolva. Ez lehetővé teszi az egyes országokban végzett elemzésekkel való összehasonlíthatóságot. A mozgó diszkontráta alkalmazása érzékenységi vizsgálatban indokolt lehet olyan preventív jellegű egészségügyi technológiák esetén, melyek egészségnyereségének időtávja több évtizedre nyúlik. Mozgó diszkontráta használata történhet a módosított diszkontráta alapján, ami a következőképp számítható:

n Várható élettartam

t A modellezett időszak hossza

r Társadalmi diszkontráta

8. Eredmények részletes bemutatása, eredmények hitelességének és általánosíthatóságának vizsgálata

Ajánlás 20

Ismertetni kell az inkrementális (növekményi) költséghatékonysági arányszámot az alábbi formában:

6. táblázat:

ICER értékének bemutatása

Technológia	Teljes		Inkrementális		ICER (Ft/QALY)
	Költség (Ft)	QALY	Költség (Ft)	QALY	
Komparátor			–	–	

Új technológia

Ez az arányszám az alternatív technológiák (diagnosztikus tesztek, prevenciók eljárások vagy terápiák) költség különbségének, valamint az általuk elért egészségnyereség különbségnek a hányadosa. Ennek az arányszámnak az a jelentősége, hogy megmutatja, a hatásosabb terápiára történő váltáskor egységnyi egészségnyereség milyen többletköltség árán érhető el („vehető meg”), vagy mennyi megtakarítással jár az egységnyi egészségnyereségről való lemondás.

Ajánlás 21

A költségekre és az egészségnyereségre vonatkozó eredményeket elkülönítve, részletezve, táblázatos formában is be kell mutatni. A teljes vizsgált időtáv alatt felmerülő költségeket részletesen ki kell bontani, amelyeket táblázatban bemutatni vagy diagramon ábrázolni szükséges, egészségi állapotoként.

A világos értelmezhetőség, a követhetőség és a jövőbeli használat megkönnyítésének érdekében külön kell feltüntetni, hogy a két (vagy több) összehasonlított alternatív technológia milyen teljes költséggel jár, illetve mekkora egészségnyereséget eredményez és a költségek valamint az egészségnyereség milyen forrásból fakad. Az átlagos vagy az inkrementális költséghatékonysági ráták bemutatása elengedhetetlen, azonban nem elegendő, egyéb, a technológia eredményességére, hatásosságára és költségeire közvetlenül vonatkozó eredmények bemutatása is szükséges.

Ajánlás 22

Domináns stratégia esetében is szükség van az inkrementális költséghatékonysági ráták ismertetésére.

2. ábra:

Költséghatékonysági térkép

Általános elvként megfogalmazható, hogy egyértelműen költséghatékony az a technológia, amely hatásosabb és kisebb költségvonzatú is (domináns alternatíva) (ld. 2. ábra). Amennyiben a két technológia kontrollált körülmények közötti hatásossága, illetve a rutin körülmények között elérhető klinikai eredménye (eredményesség) egyforma, akkor az az alternatíva a költséghatékony, amelyik olcsóbb. Amikor létezik domináns stratégia, akkor is szükség van a költséghatékonyági arányszámok ismertetésére. Amennyiben az érzékenységi vizsgálat azt mutatja, hogy az eljárás egyes esetekben elveszti dominanciáját, javasolt a legrosszabb esetre (worst case scenario) vonatkozó inkrementális költséghatékonyági arányszám bemutatása is.

Ajánlás 23

Abban az esetben, ha a vizsgált technológia a komparátor technológiákhoz képest magasabb áron nyújt plusz egészségnyereséget, a költséghatékonyág becsléséhez tájékoztató jellegű költséghatékonyági küszöbérték határozható meg.

Alapesetben az egy főre jutó bruttó hazai össztermék (GDP) legutolsó, Központi Statisztikai Hivatal adatbázisában elérhető hazai adatának háromszorosánál nagyobb inkrementális költséghatékonyági rátával (Ft/QALY) bíró technológiák nem tekinthetők költséghatékonyak (kizárási küszöb).

Az így meghatározott költséghatékonyági küszöb csupán tájékoztató jellegű, az egyéb bemutatott eredményekkel egyetemben szükséges figyelembe venni, szem előtt tartva a technológia gyógyító-megelőző folyamatban betöltött státuszát is. Egyes technológiák e küszöb mellett nem költséghatékonyak (pl. a ritka betegségek (orphan) kezelését célzó terápiák), ugyanakkor a befogadási döntések során a költséghatékonyág egy a befogadási szempontok közül (pl. hatásosság, eredményesség, méltányosság, költségvetési hatás) és azokkal együtt vizsgálandó.

Ajánlás 24

A bizonytalan tényezők hatását a költséghatékonyági elemzés végeredményére érzékenységi vizsgálattal kell tesztelni, a megváltoztatott paramétereket és a változtatás mértékét le kell írni, illetve az eredményeket részletesen, szöveges magyarázattal számszerűleg és grafikusán ábrázolva is be kell mutatni.

Ritka az olyan elemzés, amelyben minden paraméter értéke teljes bizonyossággal pontosan ismert. Az érzékenységi vizsgálat lényege az, hogy a bizonytalan paraméterek esetében vizsgálja, hogy ha a paraméter értékeiről különböző feltételezésekkel élünk, akkor hogyan változik a költséghatékonyági elemzés végeredménye, azaz milyen intervallumban mozog az elemzés végső eredménye. Ezáltal a döntéshozatal során a tévedés kockázatát csökkenthetjük. Ha modellezést használtak az elemzésben, akkor a modell robusztusságának ellenőrzéséhez egyaránt szükséges az ésszerű határok (pl. +/- 10%) közötti determinisztikus (deterministic sensitivity analysis – DSA), valamint probablisztikus érzékenységi vizsgálat (probabilistic sensitivity analysis – PSA) elvégzése. A többváltozós és a probablisztikus érzékenységi vizsgálat sokkal teljesebb elemzést tud nyújtani a modellben szereplő összes paraméter bizonytalanságával kapcsolatban. Az ilyen fajta érzékenységelemzések kezelni tudják a paraméterek közti korrelációt. Így sokkal valószínűbb, hogy torzítatlan eredményeket kapunk, amely megbízhatóbb, optimális döntéshozatalhoz vezethet.

A determinisztikus vizsgálat esetén, mely lehet egyváltozós és/vagy többváltozós, részletesen ismertetni kell a megváltoztatott paramétereket, valamint a változtatás értékét. Az eredményeket szöveges magyarázattal szükséges bemutatni, illetve tornádó diagramon ábrázolni.

A probablisztikus vizsgálat esetén részletesen ismertetni kell az elemzésbe bevont paramétereket és azok eloszlását. Az eloszlások megválasztása az alábbiak szerint javasolt (7. táblázat):

7. táblázat:

Probabilisztikus érzékenységi vizsgálat során javasolt eloszlások

Paraméter	Eloszlás
Valószínűség	Az adat jellegétől függően beta (binomiális), dirichlet (multinomiális), lognormális (túlélés)
Relative risk	Lognormális
Költségek	Gamma vagy lognormális
Hasznosságcsökkenés	Gamma vagy lognormális

Forrás: Briggs A, Claxton K, Sculpher M. Decision Modelling for Health Economic Evaluation. Oxford University Press, 2006. pp. 108. [8]

A hasznossági adatok 0-tól kisebb értéket is felvehetnek, maximális értékük definíciószerűen 1. Az érzékenységi vizsgálat kivitelezéséhez transzformáció (dekrement = $1 - \text{hasznosság}$) elvégzése javasolt, ahol a kapott dekrement a fenti táblázat alapján egyszerűbben vonható be a vizsgálatba [8].

A PSA eredményeinek szöveges magyarázata mellett fel kell tüntetni a költséghatékonysági elfogadási görbét (CEAC), valamint az eredményeket pontfelhő diagramon szükséges ábrázolni a költség/QALY síkon, amin meg kell jelölni a kérelmezett technológia alapesetre vonatkozó ICER értékét. A pontfelhő-diagramon továbbá az érvényes explicit költséghatékonysági kizárási küszöbértéket ($3 \times \text{GDP/fő}$) is fel kell tüntetni.

Ajánlás 25

Alcsoportelemzés indokolt lehet, ha a meghatározott betegalcsoporthoz (pl. magas kockázatú betegek) az elérhető egészségnyereség, illetve költséghatékonyság számottevően eltérő.

Egy adott összegből akkor lehet a legtöbb egészségnyereséget biztosítani, ha a technológiákat azok veszik igénybe, akik a legtöbbet profitálnak belőle. Az alcsoportelemzések segítik a szolgáltatásvásárlót abban, hogy hatékonyan használhassa fel a rendelkezésre álló véges forrásokat, illetve a hatékony felhasználásra ösztönző finanszírozási szabályokat alkothasson. Alcsoportelemzés alapján elvégzett költséghatékonysági elemzés csak akkor javasolt, ha az alcsoportok között mind statisztikailag, mind biológiailag/klinikailag számottevő különbség mutatható ki [8].

Ajánlás 26

Ajánlott az elemzés eredményét korábbi, nemzetközi/hazai elemzések eredményeivel összehasonlítani.

Az eredmények megbízhatóságát támasztja alá, ha más egészség-gazdaságtani elemzések – melyek ugyanazokat vagy hasonló technológiákat hasonlítottak össze – is hasonló eredményre jutottak. Amennyiben a korábbi tanulmányok eltérő eredményt hoztak ki, javasolt az ellentmondás lehetséges okainak részletes bemutatása. A korábbi hazai/nemzetközi tanulmányok eredményét a könnyebb összehasonlíthatóság érdekében ajánlott átszámítani az adott tanulmány által használt forint árfolyamon, illetve a KSH által közzétett fogyasztói árindex segítségével. Ha a tanulmányban a költségek számítására érvényes év nincs feltüntetve, akkor ajánlott a publikációt megelőző 3. évet mint vonatkoztatási évet figyelembe venni.

9. A vizsgált technológia bevezetésének és a támogatotti körbe vonásának hatásai az egészségügyi kiadásokra: költségvetés-átalás-elemzés (Budget Impact Analysis)

9.1. Hatás az egészségbiztosítási vagy központi költségvetésre

Ajánlás 27

Szükséges az elemzés készítését követő 3 évre vonatkozóan bemutatni az elemzésben vizsgált technológia támogatott körbe való bekerülésének hatását az egészségügyi közkiadásokra (bruttó és nettó költségvetési hatás). A költségvetés-átalás-elemzést diszkontálás nélkül szükséges elvégezni.

Fogalmak

– érintett betegcsoport – teljes betegpopuláció, akik az adott betegségben/egészségi állapotban érintettek;

– célcsoport – az érintett betegcsoportnak azon része, akik esetében az új technológiát alkalmazni kívánják.

Az érintett betegcsoportok ismeretében a célcsoport nagysága, valamint a technológia elterjedésének várható gyorsasága alapján szükséges megbecsülni, hogy a vizsgált technológia befogadása összességében mekkora támogatás-kiáramlást, általánosabban fogalmazva mekkora közkiadás-növekedést (csökkenést) eredményez.

Amennyiben az új technológia kivált más, eddig széles körben használt technológiá(ka)t, akkor a várható megtakarítást is be kell mutatni, és hogy mindez hogyan érinti az összes egészségügyi közkiadást.

Az új technológia támogatott körbe való befogadásának közkiadás növelő vagy csökkentő hatását az egyes egészségügyi kasszákra (pl. gyógyszerkasszában, járó-, illetve fekvőbeteg-ellátásban jelentkező költségek, gyógyító- megelőző kassa, egyéb) vonatkozóan külön-külön is be kell mutatni.

A költségvetési hatáselemzés javasolt időtávja 3–5 év. Mivel a költségvetési hatást adott évre lebontva kell bemutatni az adott kasszáért felelős döntéshozó nézőpontjából, ezért szükségtelen a várható kiadásokat jelenértékre számítani, azaz diszkontálás nélkül kell a költségvetés-átalás-elemzést

elvégezni. Szakértői becslés alkalmazása esetén szükséges a szakértő orvosok megnevezése, az interjú során feltett kérdések ismertetése és a kapott válaszok bemutatása.

Fentiek alapján a költségvetéshatás-elemzés javasolt felépítése az alábbi:

- a) célcsoport meghatározása (amennyiben eltér a költség-hatékonysági modell számításban bemutatott célcsoporttól);
- b) a kiadások változásával érintett ellátástípusok, kasszák felsorolása és a hatások irányának, jellegének vázlatos bemutatása;
- c) az időtáv ismertetése;
- d) a költségvetési hatászámítás modelljének bemutatása;
- e) a számítások, levezetések bemutatása, amennyiben szükséges többféle költségvetési hatás scenárió kiszámítása (például az új technológia elterjedésének és a támogatás mértékének a függvényében);
- f) az eredmények bemutatása és értelmezése.

Ajánlott a piaci részesedés alakulását az alábbi táblázatos formában (lehetőség szerint elektronikusan, Ms Excel programban) ismertetni, technológiánként külön-külön, illetve együttesen is bemutatni (8. táblázat).

8. táblázat:

A terápiás terület várható alakulása az új technológia bevezetését követő években

A technológia megnevezése	A technológia piaci részesedése a terápiás területen	Az új technológia bevezetésének hatása Forrás adott technológia piaci részesedésének változására	Forrás
--------------------------------------	---	---	---------------

9.2. Vizsgált populáció

A célcsoport nagyságának meghatározása az engedélyezett és vizsgált indikáció figyelembe vételével szükséges.

A célcsoport azon egyének összességét jelenti, akik esetében a vizsgált technológia alkalmazása előnyös lehet a meghatározott időtávon. Megjegyzendő, hogy a betegek ezen csoportja egy nyílt kohorsz, vagyis az idő előrehaladtával egyes betegek kieshetnek a csoportból, illetve új betegek csatlakozhatnak a csoporthoz, tükrözve a való élet jellemzőit. (Ez általában eltérő attól a zárt betegkohorsztól, amelyekkel az egészség-gazdaságtani elemzések modelljei dolgoznak). Szükség

esetén biológiailag ésszerű, klinikai és költséghatékonysági evidenciákkal alátámasztott alcsoportok meghatározása is javasolt.

Fontos kiemelni, hogy a célcsoport nagyságának meghatározása a beadvány orvosszakmai részeire kell, hogy épüljön.

9.2.1. Epidemiológia, demográfia

Az új technológia iránti kereslet meghatározásához szükséges a betegség/állapot pontos meghatározása és az epidemiológiai adatok alapján az adott betegséggel érintett teljes betegpopuláció nagyságának becslése.

Amennyiben lehetséges, magyar adatok használata szükséges. Amennyiben nem magyar adatokon alapul az elemzés, szükséges annak indoklása.

A betegség/állapot epidemiológiai jellemzőit a következők szerint szükséges bemutatni, melyek alapján pontosan becsülhető az érintett betegcsoport nagyságának változása: prevalencia, éves incidencia a vizsgált időtávon és mortalitás.

Az érintett betegcsoport nagyságának pontos becslése érdekében a populáció jellemzőit az elérhető legfrissebb adatok alapján szükséges meghatározni. Az érintett betegcsoport és a célcsoport demográfiai jellemzőit (kor, nem) megfelelő részletességgel szükséges ismertetni.

9.2.2. Az új technológia iránti kereslet meghatározása

A célcsoport meghatározása az engedélyezett és vizsgált indikációnak megfelelően történhet.

A rendelkezésre álló adatok függvényében alapvetően két módon határozható meg a kereslet nagysága:

– az epidemiológiai és a demográfiai adatok alapján becsült, az alkalmazásba vonható betegek számának éves becslése, ami a prevalens és incidens esetek összesítése, a gyógyult és halálesetek számának csökkentésével, figyelembe véve az éves felfutást,

– az új technológiára váltó betegek és a technológia alkalmazását újonnan megkezdő betegek éves számának összesítése (pl. komparátor technológia vényforgalmi adatai alapján).

A költségvetési hatás elemzése során szükséges figyelembe venni az új technológia alkalmazásának felfutását és a keresletben bekövetkező változásokat a vizsgált időtávon.

A piaci növekedés becslését megfelelően szükséges alátámasztani (pl. a populációra, betegségre/állapokra vonatkozó publikált előrejelzések). Ehhez szükség lehet nemzetközi adatokra olyan helyekről, ahol a vizsgált technológiát, vagy ahhoz hasonló technológiát már alkalmazzák. Megfelelő adatok hiányában szakértői véleményekre lehet támaszkodni.

A piac nagyságát a prevalens és incidensesetek alapján szükséges becsülni, figyelembe véve az új technológia bevezetésével bekövetkező, előre jelzett változásokat.

9.2.3. Alcsoportok

A kiválasztott alcsoportok meghatározása és azonosítása egyértelmű kritériumok alapján kell, hogy történjen, előre definiálható, biológiailag, illetve klinikailag megalapozott feltételek alapján.

Az alcsoportok definiálási szempontjai lehetnek például a kezelés vonalbelisége, vagy a betegség súlyossága.

A költséghatékonysági- és a költségvetéshatás-elemzésben ugyanazon beteg alcsoportok alkalmazása szükséges.

10. Egyéb szempontok

A technológiaértékelés során a költséghatékonyság mellett további szempontokat is figyelembe kell venni. Vizsgálandó az adott technológia illeszkedése az egészségügyi prioritásokhoz, valamint alkalmazásának klinikai értéke, társadalmi kihatása. Javasolt bemutatni az elemzés során figyelembe vett etikai szempontokat is.

10.1. Egészségügyi prioritásokhoz való illeszkedés

Az egészségügyi prioritásokhoz való illeszkedés több szempontot foglal magába:

- elősegíti-e a nemzeti programok valamelyikében megfogalmazott népegészségügyi célok megvalósítását;
- hogyan illeszkedik a szakmapolitikai prioritásokhoz például annak bemutatása, hogy az egészségügyi ellátórendszer hatékonyságát javítja-e.

10.2. Klinikai érték bemutatása

A klinikai érték bemutatása során megvizsgálandó:

- a kielégítetlen szükséglet mértéke, azaz adott indikációban elérhető-e alternatíva vagy fennáll-e a clinical unmet need (kielégítetlen szükséglet);
- klinikai hatás jellege, mértéke (pl. kuratív, klinikailag jelentős, mérsékelt, klinikai jelentősége bizonytalan).

10.3. Társadalmi szempontok

A társadalmi szempontok mérlegelése nem választható el élesen a többi kérdéskörtől; szoros összefüggésben állhat mind az eredményességi, etikai, biztonsági, mind pedig a szervezeti kérdésekkel. Az alapvető megválaszolendő kérdés az, hogy a technológia alkalmazása milyen hatással lehet a beteg, valamint a környezetében élők életvitelére, munkaképességére.

10.4. Méltányosság

Ajánlás 28

Javasolt bemutatni az új eljárás befogadásának, finanszírozási módjának hatását az igazságosságra, méltányosságra.

Az elemzés során fontos vizsgálni az új egészségügyi szolgáltatás, gyógyító-megelőző eljárás finanszírozási módjának (feltételeinek) hatását a méltányosságra az egészségügyben: pl. a hozzáférési esélyegyenlőség, elérhetőség, egyenlőtlenségek az egészségügyi szolgáltatások igénybevételében, vagy az egészségi állapotban.

Érdemes rámutatni arra, ha a gyógyító-megelőző ellátás költséghatékonysága jelentősen eltér az átlagostól egyes meghatározott társadalmi-gazdasági csoport (betegcsoport) vagy régiók esetében.

Meg kell említeni azt is, amennyiben az adott betegcsoport egyben hátrányos helyzetű társadalmi csoport is.

10.5. Etikai szempontok

Ajánlás 29

Javasolt bemutatni a gazdasági elemzés során felmerülő etikai megfontolásokat.

Az etikai elemzés integráns részét képezi a teljes körű technológiaértékelési folyamatnak. Az etikai elemzés során a társadalomnak a jelenleg fennálló, elfogadott és az egészségügyi technológiaértékelés szempontjából releváns, a hatásosságon, eredményességen, hatékonyságon, illetve méltányosságon kívüli egyéb értékei kerülnek mérlegelésre. Ezek az értékek, morális alapelvek és társadalmi szabályok az adott országban hatályos jogszabályokkal egyetemben képezik a társadalmi élet alapjait.