Sistemele de HTA din Europa

Introducere

Evaluarea tehnologiilor medicale (HTA) este un proces multidisciplinar care rezumă informații privind aspectele medicale, sociale, economice și etice privind utilizarea unei tehnologii medicale într-un mod sistematic, transparent, obiectiv și robust. Scopul procesului este de a oferi informații utile pentru formularea unor politici sigure și eficiente de sănătate, orientate către pacient și urmărind să obțină un nivel maxim de valoare. În ciuda obiectivelor ținând de politicile publice, HTA trebuie să se bazeze în primul rând pe cercetare și pe metoda științifică.

Atunci când discutăm despre HTA în domeniul produselor medicinale, este util să știm cum sunt autorizate medicamentele și să avem o imagine asupra ciclului de viață al unui produs și a proceselor care duc la emiterea autorizației de punere pe piață (APP). Este, de asemenea, util să cunoaștem rolul HTA în compensarea medicamentelor sau schemele de asigurare, în funcție de țară. Compania farmaceutică trebuie să efectueze studii clinice randomizate de înaltă calitate și să depună un dosar de cerere la autoritatea de reglementare competentă. Odată ce produsul primește APP pe baza siguranței, calității și eficacității sale, acesta poate intra pe piață (poate fi vândut). Pentru a se asigura accesul larg al pacienților la tratamentele necesare, este deseori nevoie ca produsul să fie compensat de către un sistem național de sănătate sau un asigurator. Acest lucru ar însemna că produsul poate fi inclus în lista corespunzătoare de medicamente compensate la nivel național sau acoperite de asigurare.

În același timp, acești plătitori instituționali trebuie să gestioneze accesul la tratamentele inovatoare având un buget limitat. Din cauza acestor limitări, plătitorii trebuie să se

asigure că plătesc pentru noi tehnologii care oferă îmbunătățiri reale ale rezultatelor percepute de pacienți. Aici intră în scenă HTA, deoarece rolul fundamental al acestui proces este de a determina valoarea terapeutică adăugată (în termenii rezultatelor de sănătate percepute de pacienți) a noii tehnologii în comparație cu standardele de îngrijire medicală existente.

Un punct de pornire util constă în identificarea organizațiilor care joacă rolurile principale în acest proces. În Europa, există diferite organisme responsabile atât pentru evaluarea farmaceutică, cât și pentru evaluarea non-farmaceutică a tehnologiilor medicale (HTA). Structura, funcția, competența și abordările acestor organisme variază în funcție de sistemele de sănătate și structurile politice în cadrul cărora acționează.

Iată câteva exemple de organisme de HTA pentru evaluarea farmaceutică din Europa:

- Franța – Haute Autorité de Santé (HAS) – http://www.has-sante.fr
- Germania – Gemeinsamer Bundesausschuss (GBA) – https://www.g-ba.de/
- Scoția – Scottish Medicines Consortium (SMC) – scottishmedicines.org.uk/Home
- Suedia – Tåndvards Och Läkemedelsförmänsverket (TLV) – tlv.se/In-English/in-english/

În Germania, componenta de evaluare a HTA este efectuată de IQWIG (Institutul de Calitate și Eficiență în Îngrijirea Medicală), iar componenta de analiză și decizie este efectuată de către GBA. Trebuie să reținem, de asemenea, că, în anumite țări europene, comisia de HTA efectuează, de asemenea, evaluări ale intervențiilor non-farmacologice precum dispozitivele medicale, procedurile chirurgicale și, în anumite cazuri, intervențiile de sănătate publică. Printre acestea se numără următoarele:

- Norvegia – NOKC (Centrul Norvegian de Cunoștințe, Nasjonalt kunnskapssenter for helsetjenesten) – https://www.fhi.no/en/
- Suedia – SBU (Agenția Suedeză de Evaluare a Tehnologiilor Medicale și Serviciilor Sociale) – http://www.sbu.se/en/

Există două componente principale ale HTA: Evaluare și analiză.

În anumite țări, funcțiile de evaluare și analiză ale procesului de HTA pot fi efectuate de organisme separate.

- Un organism poate fi dedicat funcției de evaluare, care implică sintetizarea dovezilor sau analiza critică a dovezilor depuse.
- Un alt organism se poate ocupa de funcția de analiză – mai exact, de analiză a rezultatelor evaluării în lumina unor factori mai largi legați de contextul local. Acest organism furnizează apoi sfaturi sau recomandări.

HTA: Evaluarea

Procesele HTA legate de medicamente încep în mod normal în momentul în care o companie depune la comisia de HTA un dosar cu informații relevante. Pentru alte evaluări decât cele referitoare la medicamente, organismele de HTA efectuează, în mod normal, o verificare sistematică a informațiilor publicate. În mod implicit, dosarul include dovezi detaliate privind siguranța și eficacitatea noii tehnologii, precum și „beneficiile clinice adăugate” – cu alte cuvinte, o comparație a eficienței clinice a noului produs în comparație cu standardul de îngrijire medicală (comparatorul).

Unele sisteme de HTA din Europa estimează, de asemenea, impactul pe care un nou produs îl poate avea asupra bugetului unui sistem de sănătate (o evaluare de impact bugetar) sau

eficiența medicamentului în raport cu costurile acestuia (de exemplu, o analiză de eficiență economică sau o evaluare economică). Nu toate sistemele de HTA din Europa acordă aceeași importanță analizei comparative de eficiență economică, însă toate se concentrează pe beneficiile clinice adăugate.

Cele mai utilizate componente ale unui dosar de cerere sau „remitere” sunt indicate mai jos: rețineți că unele dintre aceste componente au un caracter mai cantitativ decât celelalte. Aspectele legate de echitate, legislație și sănătatea publică pot fi mai calitative și prin urmare, pot fi incluse în componenta de analiză a HTA mai degrabă decât în cea de evaluare.

- **Populația-țintă de pacienți:** Populația care trebuie luată în calcul pentru compensare (determinată pe baza întregii indicații pentru care s-a primit autorizația sau a unui sub-grup al acesteia).
- **Povara bolii:** Cunoscută și drept „nevoie neîndeplinită” sau „nevoie terapeutică”. Aceasta poate fi determinată în funcție de numărul oamenilor afectați de o anumită boală pentru care tratamentele existente sunt inadecvate. Calculul poate include numărul de noi diagnostice ale unei boli sau costurile pentru societate sau bugetul de stat care îi reprezintă pe cei afectați. Poate include, de asemenea, aspecte mai calitative privind povara bolii și tratamentele curente disponibile pentru pacienți.
- **Descrierea medicamentului:** O descriere a medicamentului, a funcționării acestuia, metodei de administrare (de ex. injecție, comprimat), a locului în care acesta este administrat pacienților (de ex. în spitale, comunitate, cabinetul medicului de familie, la domiciliu), a frecvenței de administrare și a utilizării terapeutice corecte a acestuia, împreună cu alte intervenții și medicamente.

- **Eficacitatea clinică:** În medicină, eficacitatea clinică indică un efect terapeutic pozitiv. Odată stabilită eficacitatea, o intervenție prezintă probabilitatea de a fi cel puțin la fel de bună ca alte intervenții disponibile, cu care va fi fost comparată.Pentru clarificarea diferenței dintre eficacitate și eficiență, eficacitatea se referă la funcționarea unui tratament în studiile clinice sau de laborator. Eficiența, pe de altă parte, se referă la funcționarea unui tratament în cadrul practicii medicale.
- **Eficacitatea relativă:** Aceasta este măsura în care o intervenție face mai mult bine decât rău în circumstanțe ideale, în comparație cu una sau mai multe intervenții alternative.
- **Eficiența clinică:** Eficiența clinică permite măsurarea eficienței în funcționare a unui anumit tratament în cadrul practicii medicale. Aceasta depinde de aplicarea celor mai bine fundamentate cunoștințe obținute pe baza cercetărilor, experienței clinice și preferințelor pacienților.
- **Eficiența clinică relativă:** Aceasta poate fi definită ca măsura în care o intervenție face mai mult bine decât rău în comparație cu una sau mai multe intervenții alternative care urmăresc aceleași rezultate, atunci când sunt furnizate în circumstanțele obișnuite ale practicii medicale.
- **Evaluarea economică și eficiența costurilor:** În context farmacoeconomic, eficiența costurilor este studiată prin observarea rezultatelor diferitelor intervenții prin măsurarea unui singur rezultat, în general exprimat în unități „naturale” (de exemplu ani de viață câștigați, decese evitate, infarcte evitate sau cazuri noi descoperite).Intervențiile alternative sunt apoi comparate în termen de cost pe unitate (naturală) de eficiență pentru evaluarea raportului dintre valoare și costuri. Acest lucru ajută factorii de decizie să determine unde vor fi alocate resursele limitate ale

sistemului de sănătate.Eficiența costurilor, însă, este numai unul dintre criteriile care trebuie utilizate pentru a se determina dacă intervențiile pot fi puse sau nu la dispoziția pacienților. Alte aspecte, precum echitatea, nevoile, impactul asupra vieții profesionale și prioritățile pacienților trebuie să facă, de asemenea, parte din evaluarea economică.

- **Impactul bugetar:** Costurile dintr-o anumită perioadă de timp asociate bugetului de sănătate mai degrabă decât întregului buget al unui stat. Acest lucru presupune existența unor date solide privind epidemiologia și modelele de tratament, împreună cu estimări privind consumul medicamentului și înlocuirea tratamentelor curente.
- **Caracteristicile inovatoare:** Evaluarea existenței avantajelor utilizării medicamentului dincolo de beneficiul clinic adăugat (cum ar fi comoditatea pentru pacienți oferită, de pildă, de un mod de administrare diferit sau alte caracteristici care pot îmbunătăți aderența la tratament și prin aceasta, rezultatele clinice și/sau calitatea vieții).
- **Disponibilitatea alternativelor terapeutice:** O descriere a celorlalte soluții disponibile pentru tratarea bolii. Acestea pot fi alte medicamente sau nu.
- **Considerații privind echitatea:** Evaluarea modului în care adoptarea noii terapii poate afecta măsurile de asigurare a accesului egal la servicii medicale din cadrul sistemului de sănătate respectiv. De exemplu, terapia va aduce mai multe beneficii persoanelor dezavantajate din punct de vedere social sau economic?
- **Impactul asupra sănătății publice:** O examinare a modului în care noua terapie poate avea un impact mai larg asupra sănătății publice. De exemplu, o nouă terapie de tratare a HIV/SIDA poate reduce rata de transmitere a HIV în interiorul comunității.

Majoritatea organismelor de HTA au dezvoltat criterii pentru

companii în scopul de a asigura uniformitatea acestui proces și de a permite comparații corecte. Criteriile variază, însă, de la o țară la alta; acestea pot fi disponibile pe site-urile web ale majorității organismelor de HTA și pot contribui la clarificarea procesului de decizie pentru noile medicamente.

Dosarele sunt verificate de către organismele de HTA fie direct, fie prin intermediul unor asociați din mediul academic. Unele organisme de HTA efectuează analize independente ale dovezilor clinice și economice pentru a reduce conflictele de interese.

HTA: Analiza

Deoarece procesul de decizie privind compensarea unei noi tehnologii de sănătate poate fi controversat, cea mai bună abordare practică este cea de separare a evaluării dovezilor de analiză și de asemenea, de procesul de decizie. În mod normal, organismele care efectuează analiza își vor baza recomandările pe rezultatul evaluării dovezilor și pe informații suplimentare, precum politicile locale de sănătate, valorile locale și mărturiile pacienților.

Procesele de HTA au, în general, ca rezultat o decizie de a include sau nu noua tehnologie în lista de medicamente și intervenții compensate prin sistemul de asigurări (lista include produsele medicinale compensate de sistemul de asigurări sociale de sănătate) sau de a o recomanda pentru utilizarea într-un serviciu național de sănătate bazat pe taxare. Această recomandare privind includerea în listă sau utilizarea medicamentului poate fi aplicabilă în condiții restricționate, de exemplu pentru o mică populație de pacienți cu boli mai grave.

Determinarea rezultatului unei intervenții – de exemplu reducerea numărului de infarcte, producerea unor efecte secundare semnificative sau creșterea costurilor necesită

judecăți privind soliditatea dovezilor. Există întotdeauna incertitudini privind dovezile. În mod evident, interesul principal al oricărui organism de HTA este de a utiliza judecăți științifice solide și abordări uniforme și transparente care să ducă la decizii ușor de justificat. Dată fiind natura multidisciplinară a HTA, sunt necesare cele mai bune abordări din epidemiologie, sociologie, economie, etică, științe juridice etc. pentru a susține diferitele analize.

Adoptarea unei decizii necesită, însă, recunoasterea valorilor societății și pacienților. Reducerea numărului infarctelor este un lucru bun? Cu ce cost?

O bună abordare a analizei va implica perspective multiple și, prin urmare, exclude efectuarea satisfăcătoare a analizei de către o singură persoană. De aceea, sunt înființate comitete care utilizează procese explicite și transparente pentru a crea recomandări. Acest proces poartă deseori numele de analiză deliberativă. Majoritatea organismelor de HTA acordă o mai mare importanță magnitudinii (și solidității dovezilor în sprijinul acesteia) beneficiilor ținând de rezultatele medicale relevante pentru pacient observate în studii clinice cu structură corect concepută și comparatori adecvați.

Următorul aspect important este, deseori, cel al considerațiilor economice. Aproape toate agențiile de HTA iau în considerare impactul bugetar (suma totală pe care utilizarea noului medicament o va utiliza din bugetul sistemului de sănătate pe o perioadă definită de timp). Aceasta trebuie să fie o cifră bugetară netă: una care include economiile care pot apărea în sistemul de sănătate ca rezultat al beneficiilor asociate cu noul medicament (de exemplu, mai puține internări cauzate de efectele adverse grave). Trebuie asigurată neutralitatea structurii comitetului – cu alte cuvinte, membrii comitetului trebuie să declare formal orice posibile conflicte de interese sau să refuze participarea în cadrul comitetului.

Unele organisme de HTA au adoptat un cadru etic care permite evaluarea recomandărilor organismului de către un grup mai larg de părți implicate. Acest lucru permite companiilor, clinicienilor sau pacienților care pot avea de suferit în urma unei recomandări incorecte, neobiective sau imprecise să conteste recomandarea respectivă.

Rareori, organismele de HTA solicită opinia cetățenilor privind aspectele dificile ale procesului de decizie atunci când stabilesc prioritățile sistemului de sănătate. De exemplu, în Regatul Unit, NICE include un Consiliu cetățenesc care utilizează un juriu de cetățeni pentru a obține judecăți privind valorile sociale, utilizate apoi de către comitetele de analiză din cadrul NICE. Lista de mai jos cuprinde câteva chestiuni în privința cărora Consiliul cetățenesc și-a exprimat opinia.

Subiecte analizate de către Consiliul cetățenesc din NICE

An	**Subiect**
2002	Nevoia clinică
2003	Vârsta și eficiența costurilor
2004	Medicamentele ultra-orfane și eficiența costurilor
2005	Măsurile obligatorii de sănătate publică
2006	Obligativitatea salvării persoanelor a căror viață este în pericol
2007	Siguranța pacienților și eficiența costurilor
2008	Renunțarea la pragul ICER
2009	Inovația
2010	Îmbunătățirea sănătății și stimulentele financiare
2011	Sub-valorizarea costurilor și beneficiilor
2012	Valorile asistenței sociale

În anumite cazuri, rezultatele proceselor de HTA vor da naștere unor negocieri de prețuri. Negocierea prețurilor este un mecanism prin care guvernele pot permite accesul la noile

terapii (găsind un mod de a nu spune „nu”). Printre alte variabile se numără restricții legate de persoanele care pot primi tratamentul compensat de sistemul național.

Dincolo de recomandări

Cei care au nevoie de accesul la noile terapii pot considera că recomandările privind disponibilitatea unui medicament într-un sistem de sănătate sunt prea rigide sau insuficient de flexibile. Deoarece aceste recomandări sunt, în general, orientate către populație, este posibil ca acestea să nu permită excepții individuale. În locul recomandărilor de tip da/nu, unele organisme de HTA pot aplica alte mecanisme, care pot fi mai utile.

- **Compensarea în timpul dezvoltării dovezilor (Coverage with evidence development – CED):** Aceasta poate fi utilizată pentru a permite accesul la un medicament nou și promițător pentru care în prezent nu există suficiente date care să susțină eficiența clinică sau a costurilor. În aceste circumstanțe, HTA poate recomanda utilizarea medicamentului cu condiția existenței unui proces formal de colectare a dovezilor (de exemplu, într-un registru) care să rezolve aceste incertitudini în timpul utilizării medicamentului. Alternativ, pot exista studii clinice solicitate de autoritățile de reglementare și aflate în curs, care vor oferi în viitor dovezi suplimentare.
- **Determinarea prețurilor:** Prețul unei tehnologii medicale poate avea un efect direct asupra accesului furnizorilor de servicii medicale și pacienților la tehnologia respectivă. În anumite situații, plătitorii pot negocia cu compania pentru a obține un preț bazat pe valoarea percepută a tehnologiei medicale, în special dacă aceasta este utilă în anumite cazuri, însă nu în toate. Această abordare asigură accesul la o anumită tehnologie al furnizorilor de servicii medicale și pacienților care

au nevoie de aceasta. Organismele de HTA pot fi implicate sau nu în acest proces. Stabilirea prețului în funcție de valoare prezintă, însă, anumite provocări, deoarece includerea adecvată în calcul a tuturor aspectelor valorii unei tehnologii medicale este dificil de asigurat. De exemplu, este posibil ca rezultatele studiilor clinice pe termen scurt să nu demonstreze caracteristicile produsului care prezintă valoare pentru pacienți, cum ar fi comoditatea orelor de dozare sau căile de administrare mai puțin invazive.

- **Elementele auxiliare pentru decizii și criteriile clinice:** HTA poate indica faptul că un medicament are cea mai mare valoare atunci când este utilizat într-un anumit grup de pacienți sau într-o anumită ordine, după alte opțiuni de tratament. Pentru optimizarea acestei valori, plătitorul poate decide să compenseze medicamentul cu condiția respectării anumitor criterii clinice (pentru cei care emit prescripțiile medicale) sau a anumitor elemente auxiliare de decizie (pentru pacienți și clinicieni). Elementele auxiliare de decizie sunt instrumente pe care pacienții și medicii le pot utiliza pentru a lua decizii bazate pe dovezi în fiecare situație în parte. Acestea ajută pacienții să aleagă între două tratamente care au beneficii și riscuri diferite. Un alt avantaj este acela că pacienții pot, astfel, avea discuții mai bine informate cu medicii despre lucrurile pe care le consideră cele mai importante și pot determina care este cea mai bună dintre opțiunile disponibile.[1]
- **Stabilirea priorităților sistemelor de sănătate și bugetele:** Au fost dezvoltate metode de utilizare a informațiilor de HTA pentru determinarea serviciilor care trebuie plătite (respectiv, care trebuie incluse în lista de servicii compensate de sistemul de asigurări de sănătate). Acestea țin de combinația optimă care oferă valoare și are costuri acceptabile pentru plătitor.[2]

Rețelele de HTA

Numeroase organizații de HTA din Europa sunt asociate în Rețeaua de Organizații de HTA din Uniunea Europeană (European Union Network of HTA organisations – EUnetHTA), înființată în 2004. EUnetHTA colaborează îndeaproape cu Comisia Europeană, Agenția Europeană a Medicamentului și organizații ale părților implicate, care reprezintă pacienții/consumatorii, industria, plătitorii (sistemul de asigurări de sănătate aplicabil) și furnizorii de servicii medicale. EUnetHTA dezvoltă metodele, standardele și procesele Rețelei pentru HTA în Europa (Network for HTA in Europe – HTA Network).

Rețeaua pentru HTA promovează bune practici și metode de HTA ca reacție la nivelul înalt de diversitate al metodelor, practicilor și rezultatelor HTA în Europa, precum și al gradului înalt de duplicare a eforturilor. Aceasta urmărește, de asemenea, să faciliteze utilizarea eficientă a resurselor de HTA în Europa. Printre principalele activități desfășurate de EUnetHTA în beneficiul Rețelei pentru HTA se numără dezvoltarea de criterii pentru metodologia de HTA și programele-pilot de evaluare comună a eficienței relative. Aceste activități vor reduce volumul de muncă la nivel național și vor facilita efectuarea de către organismele de HTA de la nivelul statelor membre a analizelor și proceselor de decizie suplimentare specifice propriilor lor sisteme de sănătate.

Resurse suplimentare

1. Health Technology Assessment Network. Retrieved 6 January, 2016, from https://ec.europa.eu/health/technology_assessment/policy/network
2. EUnetHTA: http://www.eunethta.eu/ (Retrieved 6 January, 2016)
3. Opportunities for patients to be involved with EUnetHTA:

http://www.eunethta.eu/ (Retrieved 6 January, 2016).
4. Sorenson, C., Drummond, M., and Panos, K. (2008). *Ensuring value for money in health care: The role of health technology assessment in the European Union*. Copenhagen: World Health Organization. Retrieved 6 January, 2016, from http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0011/98291/E91271.pdf
5. Velasco Garrido, M., Kristensen, F.B., Nielsen, C.P, and Busse, R. (2008). *Health technology assessment and health policy-making in Europe: Current status, challenges and potential.* Copenhagen: World Health Organization. Retrieved 6 January, 2016, from http://www.euro.who.int/__data/assets/pdf_file/0003/90426/E91922.pdf
6. Kleinjen, S., George, E., Goulden, S., et al. (2012). 'Relative effectiveness assessment of pharmaceuticals: similarities and differences in 29 jurisdictions'. *Value Health,* (15), 954-960. Retrieved 6 January, 2016, from http://www.valueinhealthjournal.com/article/S1098-3015(12)01609-9/pdf
7. Rawlins, M. (2014). 'Evidence, values, and decision-making.' *International Journal of Technology Assessment in Health Care*, (30), 233-238.

Referințe

1. Ottawa Hospital Research Institute (2014). *Patient Decision Aids: Implementation Toolkit.* Retrieved 6 January, 2016, from http://decisionaid.ohri.ca/implement.html
2. Bandolier (2007). *Programme budgeting and marginal analysis*. Retrieved 6 January, 2016, from http://www.bandolier.org.uk/booth/glossary/PBMA.html