

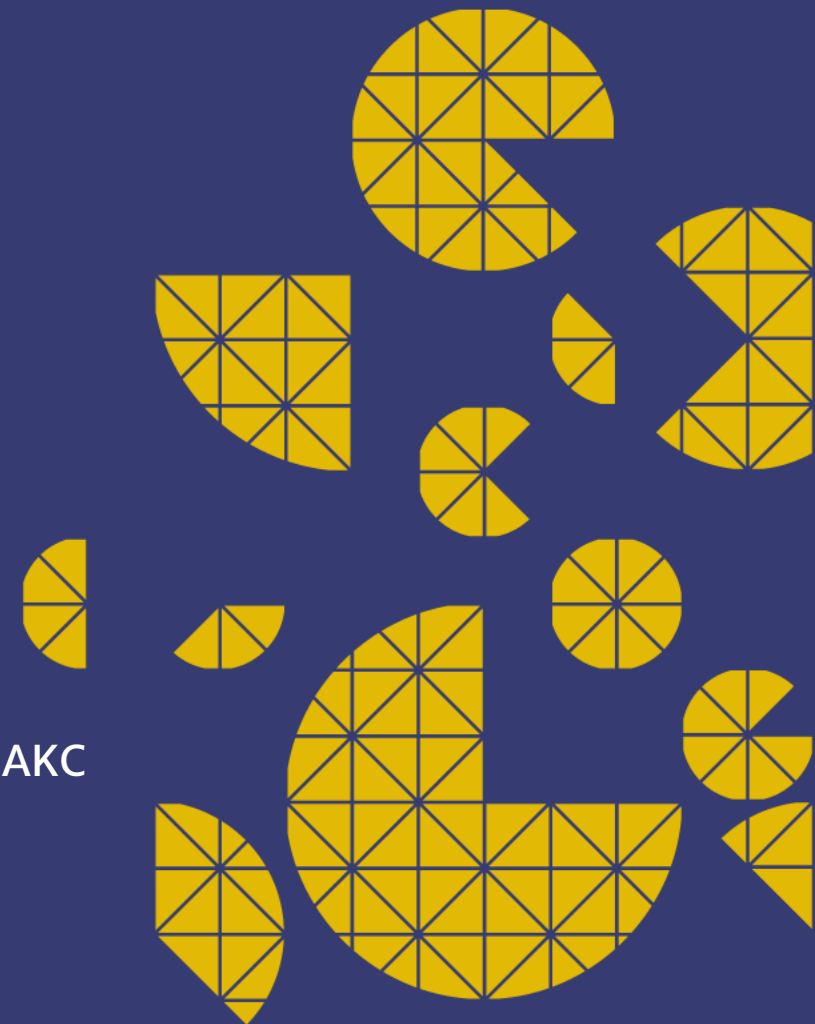
Predstavenie NIHO

1. stretnutie so zástupcami pacientov

9. decembra 2022

MA. Michal Staňák, Dr.phil, AKC
riaditeľ

www.niho.sk



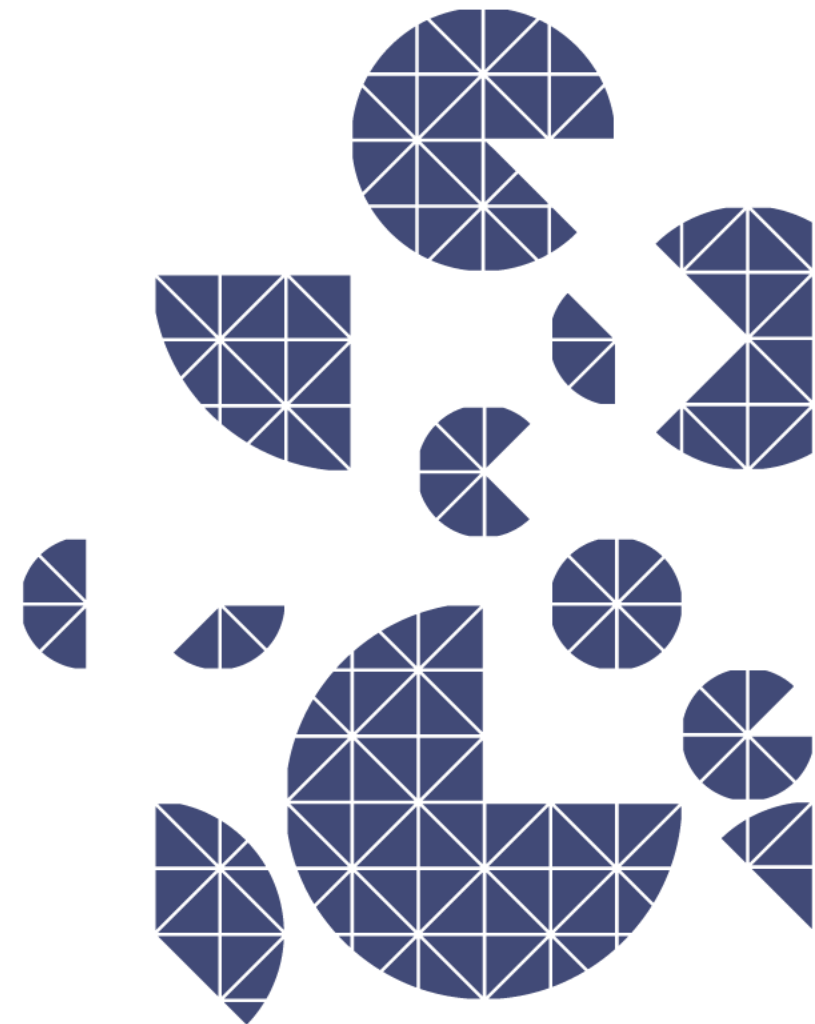
Konflikt záujmov

- **Bez konfliktu záujmov s farmaceutickým priemyslom**
- **Predošlé pracovné skúsenosti:**
 - ❑ Verejné vzdelávacie inštitúcie
 - ❑ Rakúsky národný HTA inštitút
 - ❑ Odbor agentúry pre HTA, MZ SR
- **Predošlé patientsky relevantné skúsenosti:**
 - Syn pacientky s chronickým ochorením, ktorá patientsku organizáciu viedla.



OBSAH

- Prečo Vás oslovujeme?
- Kto sme?
- Čo robíme?
- Akú majú rolu pacienti v hodnoteniach?
- Ako vyplniť dotazník NIHO?
- Ďalšie kroky?



Prečo Vás oslovujeme?

- Oslovujeme Vás preto:
 - lebo práve Vy ste najväčší experti na svoje ochorenie,
 - lebo práve Vy máte rukolapný zážitok so slovenským systémom zdravotnej starostlivosti a vidíte jeho medzery,
 - lebo chceme byť kanál pre Vaše vstupy.



ktorou sa ustanovujú kľúčové ukazovatele výkonnosti Národného inštitútu pre hodnotu a technológie v zdravotníctve, spôsob ich výpočtu, ich cieľové hodnoty a prislúchajúce percento ich významnosti

Ministerstvo zdravotníctva Slovenskej republiky podľa § 10 ods. 5 zákona č. 358/2021 Z. z. o Národnom inštitúte pre hodnotu a technológie v zdravotníctve a o zmene a doplnení niektorých zákonov (ďalej len „zákon“) ustanovuje:

§ 1

Kľúčovými ukazovateľmi výkonnosti Národného inštitútu pre hodnotu a technológie v zdravotníctve (ďalej len „inštitút“) sú

- a) množstvo hodnotení,
- b) dodržanie lehoty hodnotenia,
- c) obsah hodnotenia,
- d) zahrnutie odôvodnenia do hodnotenia,
- e) transparentnosť hodnotenia,
- f) zapojenie odborných spoločností,
- g) zapojenie pacientskych organizácií.

§ 2

Kľúčový ukazovateľ výkonnosti inštitútu (ďalej len „kľúčový ukazovateľ“) podľa § 1

- a) písm. a) sa vypočíta ako podiel počtu vypracovaných hodnotení na účely kategorizácie k počtu technológií, ktoré je inštitút povinný hodnotiť podľa § 3 ods. 1 zákona,
- b) písm. b) sa vypočíta ako podiel počtu vypracovaných hodnotení na účely kategorizácie v lehote podľa § 3 ods. 2 zákona k počtu technológií, ktoré je inštitút povinný hodnotiť podľa § 3 ods. 1 zákona,
- c) písm. c) sa vypočíta ako podiel počtu vypracovaných hodnotení na účely kategorizácie, ktoré spĺňajú definíciu hodnotenia podľa § 2 písm. b) zákona, k počtu technológií, ktoré je inštitút povinný hodnotiť podľa § 3 ods. 1 zákona,
- d) písm. d) sa vypočíta ako podiel počtu hodnotení na účely kategorizácie, ktoré obsahujú odôvodnenie odborného hodnotenia, k počtu technológií, ktoré je inštitút povinný hodnotiť podľa § 3 ods. 1 zákona,
- e) písm. e) sa vypočíta ako podiel počtu zverejnených hodnotení na účely kategorizácie k počtu technológií, ktoré je inštitút povinný hodnotiť podľa § 3 ods. 1 zákona,
- f) písm. f) sa vypočíta ako podiel počtu hodnotení na účely kategorizácie, v ktorých inštitút poskytne na svojom webovom sídle priestor na odborné stanovisko spoločnosti, ktorá združuje osoby, ktoré majú hodnotenú technológiu využívať, k počtu technológií, ktoré je inštitút povinný hodnotiť podľa § 3 ods. 1 zákona,
- g) písm. g) sa vypočíta ako podiel počtu hodnotení na účely kategorizácie, v ktorých inštitút poskytne priestor pre stanovisko patientskej organizácii, ktorá združuje osoby, pre ktoré je hodnotená technológia indikovaná, k počtu technológií, ktoré je inštitút povinný hodnotiť podľa § 3 ods. 1 zákona.

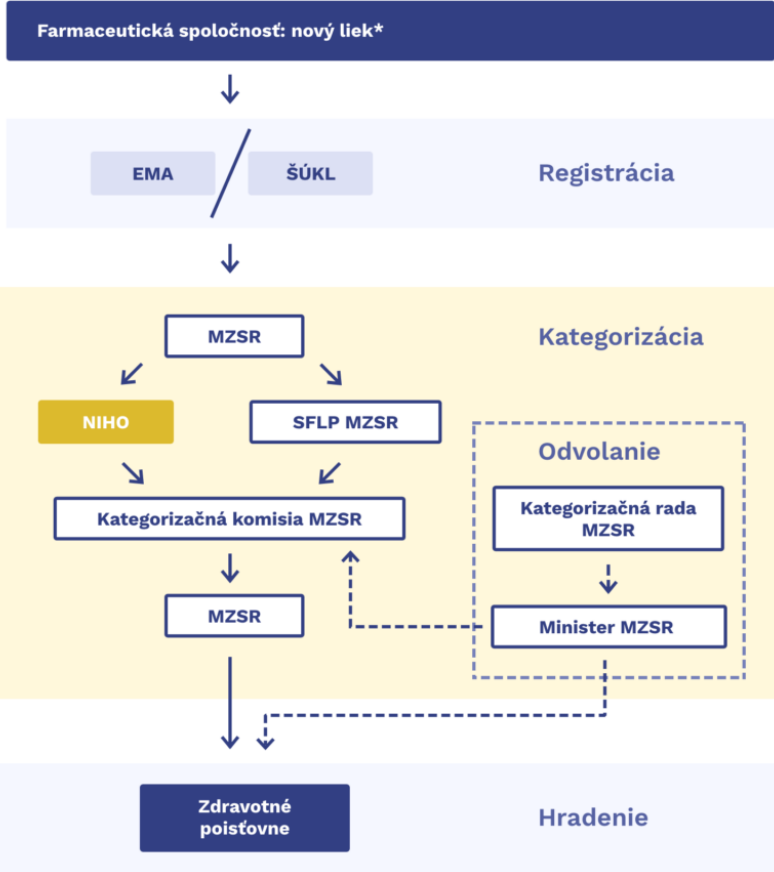


Kto sme?

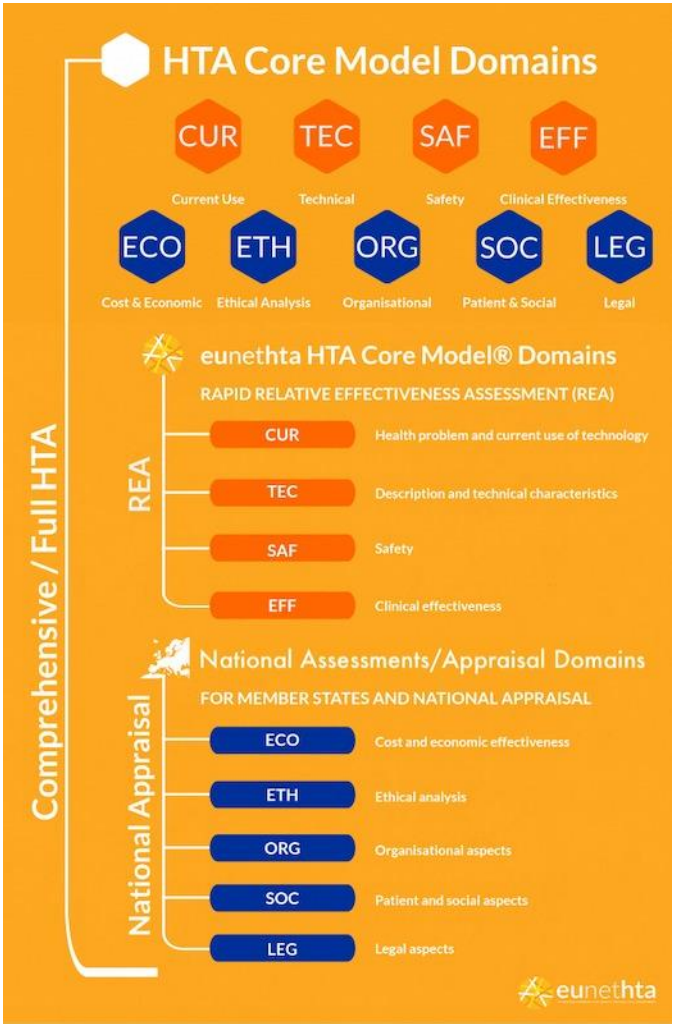
- **Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve (NIHO) je nezávislá odborná inštitúcia, ktorá vydáva hodnotenia a analýzy na základe ustálenej európskej metodiky podľa medicíny založenej na dôkazoch.**
- NIHO je zriadený na základe zákona č. 358/2021 Z.z a začal fungovať od 1.1.2022.
- V prvom roku inštitút hodnotil lieky pre účely kategorizácie, ktoré majú **čistý dopad na rozpočet nad približne 2 mil. eur ročne.**
- Komplexné hodnotenia NIHO sú **pokladom pre rokovania kategorizačnej komisie a rozhodnutia ministerstva.**



Hodnotenie vs registrácia



*podávané ambulantne. Lieky v ústavnej starostlivosti, zdravotnícke pomôcky, špeciálny zdravotnícky materiál a diätetické potraviny prechádzajú mierne odlišným procesom.



Hodnotenie a MEA zmluvy

- Ak je liek registrovaný v EÚ (teda v EMA), potom:
 - sa potrebuje porovnať s liečbou v jednotlivých krajinách,
 - potrebuje nastaviť svoju cenu tak, aby si ho jednotlivé krajiny mohli dovoliť štandardne hrať.
- V princípe každá vyspelá krajina má HTA inštitúciu:
 - na rozdeľovanie obmedzeného rozpočtu na zdravie,
 - ako páku pre Ministerstvo do vyjednávania Managed Entry Agreements (MEA).



NIHO postupy

- Nastavujeme naše procesy v súlade s EÚ štandardom.
- Pracujeme v slovenčine a angličtine.
- Máme 130 dní na hodnotenie. Celý proces kategorizácie lieku trvá minimálne 180 dní.



NIHO postupy

- Farmaceutická firma podá žiadosť
- Nákladné lieky hodnotí NIHO
- NIHO pripraví projektový protokol
 - Názor pacientov a klinickej obce
- NIHO spracuje opis ochorenia a liečiva
- NIHO zhodnotí klinický prínos
- NIHO spracuje ekonomické hodnotenie
- NIHO spracuje hodnotenie etických, organizačných, sociálno-pacientskych a právnych aspektov liečiva
- NIHO zverejní svoje hodnotenia na webovom sídle www.niho.sk a na portály kategorizácie MZ SR
- MZ SR rozhodne o preplácaní lieku (na základe odporúčania komisie)



Rekapitulácia

- NIHO hodnotí drahé lieky a odporúča Ministerstvu zdravotníctva, či ich preplácať.
- NIHO pracuje v Európskom štandarde HTA inštitúcií.
- NIHO spracováva vstupy z medicínskej literatúry, od odborných spoločností a patientsky organizácií.



Prečo Vás teda oslovujeme?

- Oslovujeme Vás preto:
 - lebo práve Vy ste najväčší experti na svoje ochorenie,
 - lebo práve Vy máte rukolapný zážitok so slovenským systémom zdravotnej starostlivosti a vidíte jeho medzery,
 - lebo chceme byť kanál pre Vaše vstupy.



Vstup pacientov do hodnotenia

- Klúčové aspekty do sumáru hodnotenia, s ktorým pracuje MZ SR a členovia kategorizačnej komisie.



Záver odborného hodnotenia

Odporúčanie

Podľa § 3 zákona 358/2021 Z.z. Národný inštitút pre hodnotu a technológie v zdravotníctve (NIHO) odporúča

- nevyhovieť žiadosti o kategorizovanie lieku Darzalex v indikácii liečba pacientov s novodiagnostikovaným mnohopočetným myelómom, ktorí sú vhodní na autológnu transplantáciu kmeňových buniek, pokiaľ držiteľ registrácie neupraví požadovanú výšku úhrady na maximálne [redacted] eur za balenie, čo zodpovedá [redacted] zľave. Uvedenú výšku úhrady považujeme za maximálnu možnú pre splnenie kritérií nákladovej efektívnosti podľa §7 zákona 363/2011 Z.z.. Zároveň, z dôvodu veľkej neistoty pri odhadovaní výšky dlhodobého prínosu odporúčame požadovať od držiteľa registrácie (DR) zľavu aspoň vo výške [redacted], čo znamená maximálnu výšku úhrady na úrovni [redacted] eur.

Odôvodnenie

- Mnohopočetný myelóm (MM) je v súčasnosti nekuratívne ochorenie, ktoré vytvára veľkú záťaž na pacientov po fyzickej aj psychickej stránke a skracuje ich očakávané prežívanie. S progresiou ochorenia klesá pacientom miera pohyblivosti a vitality. Ochorenie má tiež často výrazný dopad na blízkych pacienta, keďže vzniká potreba pomáhať so starostlivosťou o pacienta a jeho domácnosť. Aktuálne hradená liečba MM nezodpovedá najnovším medzinárodným postupom, čo spôsobuje frustráciu u klinických odborníkov.
- Daratumumab v kombinácii s bortezomibom, talidomidom a dexametazónom (DaraVTd) preukázal v klinickom skúšaní klinicky relevantné prínosy oproti VTd, pričom pridanie daratumumabu nevedlo k zásadnému zvýšeniu toxicity. Pacienti užívajúci DaraVTd dosiahli lepšie výsledky mortality a morbidity. Pri dĺžke sledovania 44,5 mesiaca bola miera 3-ročného celkového prežívania (z angl. overall survival, OS) v ramene DaraVTd [redacted], a pri VTd [redacted]. Miera 3-ročného prežívania bez progresie (z angl. progression-free survival, PFS) bola u DaraVTd [redacted] a u VTd [redacted]. Dáta o OS sú však ešte značne nezrelé a spojené s veľkou neistotou pri dlhodobom odhade prínosu. Nepriame porovnanie DaraVTd a Vcd preukázalo zlepšenie OS a PFS pri DaraVTd, zlepšenie bolo väčšie ako voči VTd.
- DaraVTd pri požadovanej výške úhrady nespĺňa legislatívnu podmienku nákladovej efektívnosti. Držiteľ registrácie predložil ekonomický model, v ktorom DaraVTd dosiahol voči VTd ICUR na úrovni [redacted] tisíc eur / QALY. V predložennom modeli NIHO identifikovalo viacero závažných nedostatkov, ktoré neadekvátne zvýhodňovali výsledok DaraVTd voči komparátorom. Tieto nedostatky sme upravili, aby model bližšie zodpovedal klinickej praxi (podrobnosti sú v časti 5.3 hodnotenia). Na základe NIHO hodnotenia dosahuje DaraVTd výsledný ICUR voči VTd vo výške **70,7-tisíc eur / 1 QALY**, pričom prahová



Vstup pacientov do hodnotenia

- Hlavný vstup patientskov je do časti „sociálno-pacientske“ aspekty a do opisu ochorenia, či cesty pacienta.

Závažnosť ochorenia a symptómy (A0005, A0006, H0200)

V skorých štádiách môže byť priebeh MM asymptomatický, k diagnostike často dochádza pri náhodnom vyšetrení krvi alebo moču. Postupne sa u pacientov môžu vyvinúť symptómy ako pretrvávajúca bolesť kostí (najmä chrbta, rebier a bokov); anémia; vysoké levely kalcia v krvi; strata hmotnosti; hyperviskozita či problémy s obličkami [5].

Liečba sa zameriava na kontrolu symptómov a zlepšenie kvality života pacientov. Keďže MM nie je kuratívne ochorenie, u pacientov aj po prvotnej dobrej odpovedi je po relapse potrebná ďalšia liečba. Výber prvotnej aj následnej liečby pacientov závisí od zdravotného stavu pacientov, zvažovanou možnosťou je intenzívna liečba s ASCT alebo menej intenzívny prístup, oba prístupy zahŕňajú užívanie kombinácie viacerých liečiv [5].

U pacientov s MM je relatívna miera 5-ročného prežívania 52% a 10-ročného prežívania 29% na základe anglických dát za obdobie 2013 -2017 [6].

OZ LyL na základe rozhovorov s pacientmi s MM uvádza, že najzásadnejšou zmenou v živote po nástupe ochorenia je pokles pohyblivosti a vitality, ktorý znemožňuje mať prácu a aj aktívne starnutie spojené s cestovaním a turistikou. Pacienti ako časté symptómy opisali problém s pohybom, únavu a polyneuropatie. Ochorenie vytvára záťaž pre partnerov, ktorí namiesto spoločného aktívneho oddychu preberajú bežné fungovanie domácnosti a pomáhajú v starostlivosti o pacientov. Liečba ochorenia si tiež vyžaduje čas sprevádzajúcej osoby pacienta pri ceste do zdravotníckeho centra na podanie infúzie, ktoré môže trvať niekoľko hodín [podklad OZ LyL do hodnotenia je k dispozícii v časti 9.4].

3.1.3. Cesta pacienta

Diagnostika ochorenia (A0024)

7.3. Sociálno-pacientske aspekty

7.3.1. Pacientske očakávania a úsudok o hodnote technológie (H0100, D0017)

LyL uvádza, že opýtaní pacienti s daratumumabom nemali zatiaľ žiadne skúsenosti. Ak by došlo k tomu, že musia podstúpiť túto liečbu, ich očakávania by boli najmä v oblasti obnovenia životnej vitality, zlepšenia pohyblivosti a zmenšenia neurologických problémov.

7.3.2. Rovnosť v prístupe (H0201)

Odborníci A a B sa vyjadrili, že aktuálne všetci novodiagnostikovaní pacienti s MM nemajú štandardne hradenú liečbu, ktorá je odporúčaná podľa najnovších medzinárodných štandardov.

Z vyjadrení LyL vyplýva, že pacienti, ktorí majú neurologické a pohybové problémy môžu mať problém dochádzať do špecializovaných centier. Dochádzanie na podanie liekov je nevyhnutné aj pri štandardnej liečbe. Predpokladáme preto, že časť tejto skupiny pacientov sa nedostáva k aktuálnemu štandardu liečby.

7.3.3. Vplyv technológie na prácu a každodenný život (D0014, D0016)

LyL uvádza, že opýtaní pacienti s daratumumabom nemali zatiaľ žiadne skúsenosti. Počas hodnotenia neboli identifikované špecifické informácie k vplyvu DaraVTd na prácu a každodenný život. Z dôvodu prínosu v PFS však očakávame pozitívny vplyv v porovnaní s komparátormi.

7.3.4. Komunikácia doktor-pacient (H0203)

Pacienti by podľa LyL najmä mali porozumieť, čo sú príznaky ochorenia a čo môžu byť nežiaduce účinky lieku. Ďalej je podľa OZ potrebné pacientom a blízkym vysvetliť, v čom im dané liečivo zlepší a skvalitní život; ako dlho bude nutné liečivo brať a aké sú mílniky a ciele liečby.

7.3.5. Zraniteľné pacientske skupiny (C0005, F0005)


Daratumumab sa podáva dospelým pacientom. V prípade tehotenstva alebo plánovaného tehotenstva má lekár po konzultácii s pacientom rozhodnúť, či má byť daratumumab užívaný. Prípadné dojčenie má byť tiež lekárom a pacientom zvážené, keďže liečivo môže prejsť do materského mlieka a nie je známy jeho vplyv na dieťa. Ženy počas a 3 mesiace po liečbe daratumumabom majú užívať účinnú antikoncepciu. Zvýšená pozornosť má byť venovaná pacientom, ktorí prekonali vírus hepatitídy B, keďže daratumumab môže doceliť opätovnú aktivitu vírusu [10].





Ako participovať na hodnotení technológií

V prvej fáze hodnotenia NIHO vypracuje projektový protokol.

V projektovom protokole je zhrnutý predmet hodnotenia – hodnotená technológia, jej indikácie, patientská populácia, pre ktorú je určená, a ďalšie podstatné aspekty. Projektové protokoly sú zverejnené v sekcii „Rozpracované projekty“. Odborná verejnosť a pacienti môžu zasielať svoje podnety do 14 kalendárnych dní od zverejnenia projektového protokolu.

 [Vyhlásenie o konflikte záujmov](#) DOCX | 948 KB

 [Participácia odbornej verejnosti](#) DOCX | 954 KB

 [Participácia patientskej verejnosti](#) DOCX | 953 KB

Participáciu spolu s vyhlásením o konflikte záujmov zašlite prosím do termínu uvedenom pri konkrétnom hodnotení v sekcii [Rozpracované projekty](#) na adresu kancelaria@niho.sk.



Skúsenosť so vstupom pacientov do hodnotenia lieku – OZ Lyl

Vstup patientskej organizácie

Liečivo tisagenlecleucel (liek Kymriah) na liečbu difúzneho veľkobunkového lymfómu B buniek (DLBCL)

Ďakujeme, že ste súhlasili s poskytnutím vstupu za vašu patientsku organizáciu do hodnotenia predmetného liečiva.

Môžete poskytnúť jedinečný pohľad na zdravotné ochorenie a skúsenosť s jeho liečbou, ktorý zvyčajne nie je dostupný z iných zdrojov.

Aby sme vám pomohli vyjadriť váš názor, použite tento dotazník. Nemusíte odpovedať na každú otázku. Vezmite prosím na vedomie, že spolu s týmto dokumentom je potrebné vyplniť dokument Vyhlásenie o konflikte záujmov, ktorý nájdete v sekcii Participácia na www.niho.sk.

Inštrukcie k vyplneniu tohto dotazníku:

- Do tohto dokumentu prosím nekladajte iné dokumenty (napríklad PDF), ale iba na počítači písaný text.
- Vaša odpoveď by nemala byť dlhšia ako 7 strán.

O vás

Vaše meno	Mgr. Miroslava Fövényes, MSc.
Názov organizácie	Lymfoma a Leukémia Slovensko
Pracovná pozícia	Líderka pre inovácie a patientsku advokáciu
Krátky opis organizácie	Lymfoma a Leukémia Slovensko (ďalej LyL) je združením pacientov, ktorým do života vstúpila rakovina krvi. Skúsenosti s liečbou vkladajú do úprimnej snahy pomôcť pacientom od začiatku diagnostiky, liečby, počas nej a aj potom ako aktívna liečba skončí. Základnými službami sú medicínska poradňa, poradenstvo a podpora prostredníctvom "patientských dôverníkov", tvorba a udržiavanie online platforiem slúžiacich na vymieňanie skúseností a vzdelávanie, prezenčné vzdelávanie a vzájomná podpora počas jednodňových regionálnych stretnutí a letného kempu, profesionálny zber dát ohľadom patientskej skúsenosti každý druhý rok prostredníctvom Lymphoma Coalition Global Survey. Pridanou hodnotou a nadstavbou uvedenej činnosti je patientska advokácia smerom k zlepšeniu podmienok na diagnostiku, liečbu, následnú starostlivosť a celkové prežívanie pacientov.



Prečo spolupracovať s NIHO?

- *Chceme Vašu expertízu a skúsenosť posunúť tým, ktorí o kategorizácii liekov rozhodujú.*



Ďalšie kroky?

- Kvartálne pokračovanie v takýchto stretnutiach.
- Typy za NIHO:
 - Ako spracovať NIHO patientsky dotazník?
 - Ako fungujú rozhodovacie procesy v zdravotníctve na Slovensku?
- Typy za patientske organizácie?



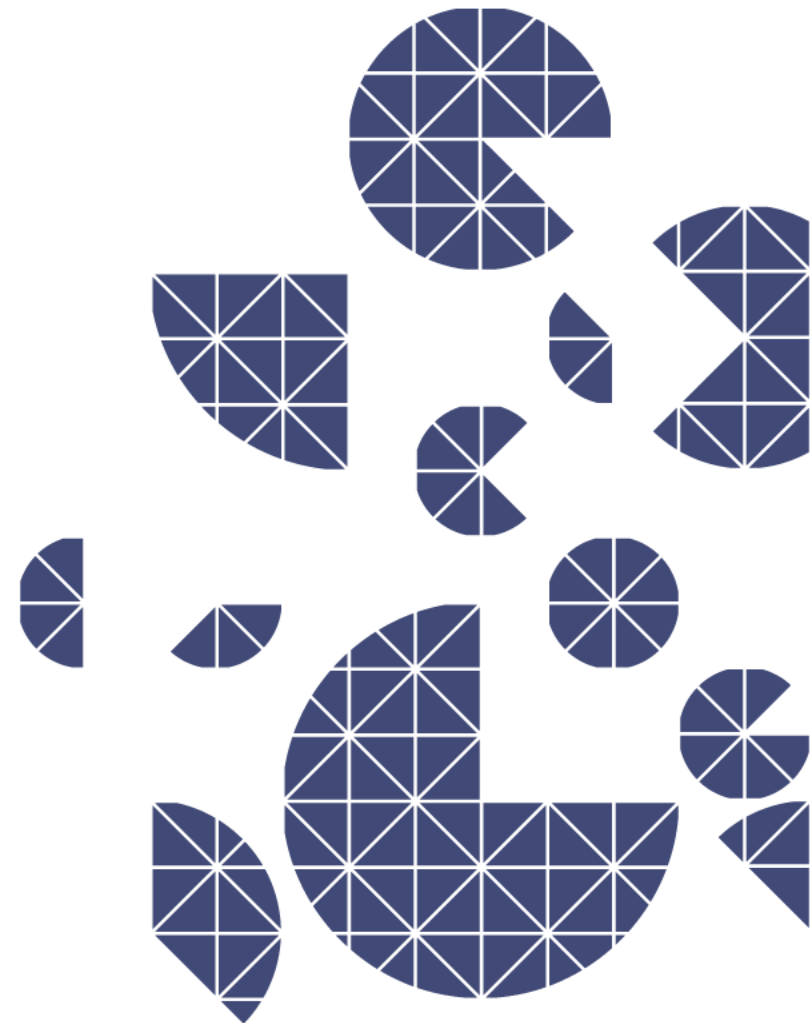
ĎAKUJEM ZA VÁŠ ČAS

1. stretnutie so zástupcami pacientov

9. decembra 2022

MA. Michal Staňák, Dr.phil, AKC

www.niho.sk



Otázky?

