

Available online at [www.sciencedirect.com](http://www.sciencedirect.com)

ScienceDirect

journal homepage: [www.elsevier.com/locate/jval](http://www.elsevier.com/locate/jval)

## SPRÁVA PRACOVNEJ SKUPINY ISPOR

### Analýza dopadu na rozpočet – princípy správnej praxe: správa 2. pracovnej skupiny ISPOR z roku 2012 pre analýzu dopadu na rozpočet.

#### ISPOR TASK FORCE REPORT

### Budget Impact Analysis – Principles of Good Practice: Report of the ISPOR 2012 Budget Impact Analysis Good Practice II TaskForce

Sean D. Sullivan, PhD<sup>1</sup>, Josephine A. Mauskopf, PhD<sup>2</sup>, Federico Augustovski, MD, MSc, PhD<sup>3</sup>, J. Jaime Caro, MDCM, FRCPC, FACP<sup>4</sup>, Karen M. Lee, MA<sup>5</sup>, Mark Minchin, MBA<sup>6</sup>, Ewa Orlewska, MD, PhD<sup>7,8</sup>, Pete Penna, PharmD<sup>9</sup>, Jose-Manuel Rodriguez Barrios, RPh, MPH, MSc<sup>10</sup>, Wen-YiShau, PhD, MD<sup>11</sup>

<sup>1</sup>Pharmaceutical Outcomes Research and Policy Program, University of Washington, Seattle, WA, USA; <sup>2</sup>RTI Health Solutions, Research Triangle Park, NC, USA; <sup>3</sup>Health Economic Evaluation and Technology Assessment, Institute for Clinical Effectiveness and Health Policy, Buenos Aires, Argentina; <sup>4</sup>Evidera, Lexington, MA, USA; <sup>5</sup>Health Economics, Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health, Ottawa, ON, Canada; <sup>6</sup>PASLU, National Institute for Health and Care Excellence, Manchester, UK; <sup>7</sup>Centre for Pharmacoeconomics, Warsaw, Poland; <sup>8</sup>The Jan Kochanowski University, Kielce, Poland; <sup>9</sup>Formulary Resources, LLC, Mercer Island, WA, USA; <sup>10</sup>Stryker, Madrid, Spain; <sup>11</sup>Center for Drug Evaluation, Taipei, Taiwan

#### ABSTRACT

**Úvod:** Analýza dopadu na rozpočet (Budget Impact Analysis; BIA) je základnou súčasťou komplexného ekonomického hodnotenia zdravotníckej intervencie a zdravotníckej systémy ju stále viac požadujú ako súčasť žiadosti o úhradu. Ciele: Cieľom tejto správy bolo predstaviť aktualizované metodické odporúčania pre BIA. Správa je určená jednak pre tie subjekty, ktoré tieto analýzy vykonávajú a tiež pre tie, ktoré ich hodnotia a posudzujú. Táto aktualizácia odporúčaní bola vypracovaná čiastočne preto, že nastal pokrok v metódach súvisiacich s BIA a tiež s ohľadom na rastúci záujem o tento typ analýzy a to predovšetkým v rozvíjajúcich sa trhoch v súvislosti s dostupnosťou a dopadom zavádzania zdravotníckych intervencií na verejné zdravie. **Metódy:** Pracovná skupina bola schválená Výborom pre zdravotné vedy Medzinárodnej spoločnosti pre farmako-ekonomiku a klinické výstupy (International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research; ISPOR) a ustanovená predstavenstvom spoločnosti. Členovia pracovnej skupiny boli odborníci so skúsenosťami s prípravou alebo používaním BIA a pochádzali z akademickej oblasti, priemyslu alebo pracovali ako poradcovia vlád. Pochádzali z viacerých krajín Severnej a Južnej Ameriky, Oceánie, Ázie a Európy. Pracovná skupina poslala svoj návrh správy na pripomienkovanie tímu externých posudzovateľov a tiež členom ISPOR. **Výsledky:** Pracovná skupina odporúča, aby dizajn BIA pre nové zdravotníckej intervencie zohľadňoval relevantné podmienky systému zdravotnej starostlivosti, možné obmedzenia prístupu k intervenciám, očakávaný rozsah zavádzania novej intervencie a tiež využívanie a účinky aktuálne používaných a nových intervencií. Medzi základné parametre BIA patria: odhad veľkosti cieľovej populácie, ak-

tuálne používaný mix liečebných možností a očakávaný mix po zavedení novej intervencie, náklady na jednotlivé intervencie a všetky očakávané zmeny v nákladoch spojených s daným ochorením. Vždy ak je to možné, výpočty v BIA by sa mali uskutočniť použitím jednoduchých prístupov k výpočtu nákladovosti, tak aby bola analýza za ľahko využiteľná v procese posudzovania. Avšak v podmienkach, kedy nie je možné spoľahlivo zachytiť pomocou takéhoto jednoduchého prístupu zmeny vo veľkosti cieľovej populácie, v spektre závažnosti ochorenia alebo v možnostiach liečby, môže sa použiť kohortový model, alebo patientsky model, špecifický pre dané ochorenie. Pomocou takéhoto modelu sa odhadne dopad novej intervencie na rozpočet, pričom sa adekvátne zohľadnia tí jedinci, ktorí časom vstúpili do cieľovej populácie, alebo ju opustili. V každom prípade by sa v BIA mali použiť také údaje, ktoré zohľadňujú hodnoty špecifické pre príslušnú cieľovú populáciu. Analýza senzitivity by mala zahŕňať alternatívne scenáre hodnotené z perspektívy subjektu, ktorý rozhoduje o financovaní. Pri validácii modelu by sa mal zohľadniť pohľad rozhodujúceho subjektu a verifikovať správnosť výpočtov. Zdroje údajov pre BIA by mali zahŕňať publikované výsledky klinických štúdií a porovnávací štúdie účinnosti a bezpečnosti aktuálne používaných a nových intervencií, a tiež, ak je to možné, údaje pre špecifické populácie. Medzi ďalšie zdroje údajov patria publikované údaje, uznávané lokálne a národné štatistické informácie a za určitých podmienok tiež názory expertov. Správy z BIA by mali poskytnúť detailnú informáciu o hodnotách použitých vstupných parametrov a tiež o výpočtoch na úrovni takých detailov, ktoré umožňujú replikáciu analýzy. Výsledky BIA by mali byť prezentované vo

formáte, ktorý vyžaduje príslušná zdravotnícka autorita. V počítačovom programe by mala byť možnosť zahrnutia alebo vylúčenia rôznych kategórií nákladov z analýzy. Závěry: V tejto správe sa odporúča rámcová štruktúra pre BIA, poskytuje sa návod na získanie a použitie vstupných údajov a ponúka sa spoločný formát pre reportovanie, ktorý môže prispieť štandardizácii a transparentnosti procesu. Adherencia k predkladaným princípom správnej výskumnej praxe nemusí nevyhnutne nahradiť špecifické odporúčania BIA v príslušnej jurisdikcii, ale môže podporiť

a posilniť lokálne odporúčania alebo slúžiť ako východiskový bod pre platcov, ktorí chcú uplatňovať metodologické odporúčania.

**Kľúčové slová:** analýza dopadu na rozpočet, výpočet nákladov, ekonomické hodnotenie, metodológia, modelovanie.

### Ciele pracovnej skupiny

Táto správa Pracovnej skupiny ISPOR predstavuje aktualizáciu správy Pracovnej skupiny o analýze dopadu na rozpočet (BIA), ktorá bola publikovaná v roku 2007 (1). Aktualizácia bola potrebná najmä s ohľadom na rastúce vnímanie BIA ako samostatného ekonomického hodnotenia, spolu s rozvojom metodológie a s rastúcim záujmom o túto analýzu, predovšetkým v rozvíjajúcich sa trhoch v súvislosti s dostupnosťou a dopadom zavádzania zdravotníckych intervencií na zdravie populácie. Špecifické oblasti, ktoré sú v tejto aktualizovanej správe uvedené podrobnejšie, zahŕňajú: 1) výber rámcovej štruktúry analýzy, 2) zachytenie neistoty, 3) odhad hodnôt vstupných parametrov, 4) či a ako koordinovať štruktúru a vstupné údaje so sprievodnou analýzou efektívnosti nákladov (cost-effectiveness analysis; CEA), 5) či odhadovať a prezentovať zdravotné benefity ako aj náklady a 6) ako najlepšie prezentovať výsledky vo formáte vhodnom pre subjekty rozhodujúce o úhradách. Dokument obsahuje príklady z narastajúceho počtu literárnych zdrojov ako aj z analýz zverejnených na verejných webových stránkach.

V roku 2012 boli predstavenstvom ISPOR ustanovení spolupredsedia Pracovnej skupiny Josephine A. Mauskopf a Sean S. Sullivan. Spolupredsedia Pracovnej skupiny prizvali so súhlasom predstavenstva ISPOR členov Pracovnej skupiny. Jednotliví členovia Pracovnej skupiny boli odborníci so skúsenosťami v príprave alebo využívaní BIA. Keďže účelom tejto správy bolo vytvoriť odporúčania pre prípravu a prezentáciu BIA, ktoré majú spĺňať požiadavky rôznych národných zdravotníckych autorít, Pracovná skupina sa skladala z osôb, ktoré reprezentujú alebo radia platcom a agentúram hodnotiacim zdravotnícke technológie v Se-

vernej Amerike, Európe, Latinskej Amerike a Ázii.

Pracovná skupina zorganizovala stretnutie na 17. výročnej medzinárodnej konferencii ISPOR vo Washingtone DC a otvorené fórum na 18. výročnej medzinárodnej konferencii ISPOR v New Orleanse. Pred prípravou prvej verzie návrhu aktualizovanej správy sa uskutočnil cieľový prieskum recenzných publikácií o BIA, s cieľom zhodnotiť metódy, ktoré sa objavili v recenzovaných časopisoch. Uskutočnil sa aj prehľad nákladových štruktúr, metód a odporúčaní pre prípravu správ vypracovaných agentúrou NICE (UK National Institute of Health and Care Excellence), the Academy for Managed Care Pharmacy Format for Formulary Submission a Taiwan Health Technology Assessment body. Zozbierali sa tiež publikované národné a lokálne odporúčania a použili sa ako referenčné dokumenty. Pracovná skupina zorganizovala v nasledujúcich mesiacoch telekonferencie a výmena informácií a názorov prebiehala tiež prostredníctvom e-mailov. Podskupiny zložené z členov Pracovnej skupiny následne pripravili jednotlivé kapitoly revidovanej správy a verzia kompletnej správy prešla kontrolou v Pracovnej skupine. V rámci diskusie o návrhu správy sa uskutočnila telekonferencia s následným osobným stretnutím členov Pracovnej skupiny a vykonali sa revízie pred jej odslaním na externú revíziu.

Primárna kontrolná skupina recenzentov skúsených v príprave a používaní BIA bola stanovená už predtým. Komentáre z tejto primárnej skupiny sa zohľadnili ešte pred tým, ako bol návrh správy rozposlaný na posúdenie. Po tomto iniciálnom posúdení pripravili členovia Pracovnej skupiny novú verziu návrhu správy zohľadňujúcu komentáre a táto sa sprístupnila pre širšiu recenziu všetkým členom ISPOR. Táto správa odráža výstupy z primárnej recenzie aj širokej kontroly členov spoločnosti.

## Úvod

### Definícia a plánované použitie

Subjekty rozhodujúce o úhradách stále viac vyžadujú BIA a CEA ako súčasť žiadostí o úhradu. BIA sa zameriava na vyčíslenie zmien vo výdavkoch zdravotného systému po prijatí novej intervencie (obr. 1). BIA sa môže tiež použiť na plánovanie rozpočtu alebo zdrojov. BIA môže byť použitá ako samostatná analýza alebo môže byť súčasťou komplexného ekonomického hodnotenia spolu s CEA. Medzi užívateľov BIA patria tí, ktorí riadia a plánujú zdravotnícky rozpočet, napr. správcovia národných a regionálnych zdravotníckych programov, rozpočtov súkromných zdravotných poisťovní a poskytovateľov zdravotnej starostlivosti alebo zamestnávateľa, ktorí platia priamo za zdravotnú starostlivosť. Každý z týchto subjektov potrebuje mať k dispozícii zrozumiteľne prezentovanú informáciu o finančnom dopade prijatia a rozšírenia nových zdravotníckych intervencií. Informácie v analýze sa však môžu líšiť v závislosti od požiadaviek na konkrétne časové obdobia a od kategórií nákladov, o ktoré sa užívatelia zaujímajú.

### Súvislosti

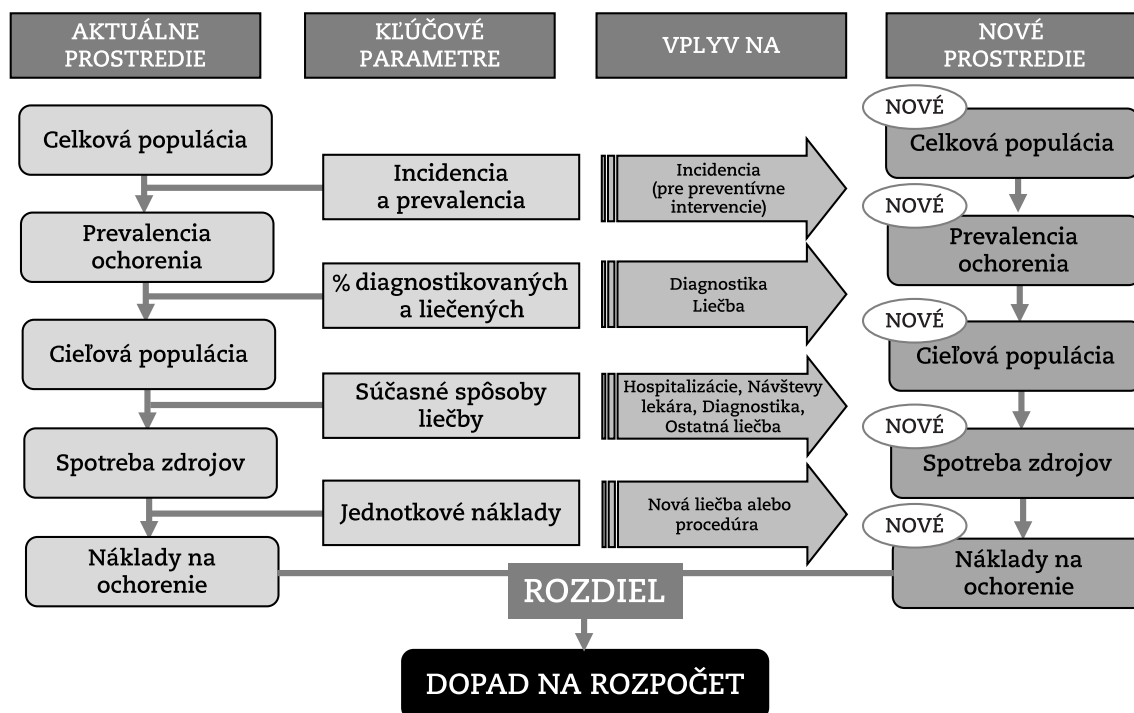
Mauskopf (3) publikovala analytický rámec BIA v roku 1998. Aj ďalší autori (4-8) následne publikovali články popisujúce me-

tódy BIA. Od 90. rokov väčšina oblastí sveta vrátane Austrálie, Severnej Ameriky (Kanady a USA), Európy (Veľkej Británie a Walesu, Španielska, Belgicka, Francúzska, Maďarska, Talianska a Poľska), Južnej Ameriky (Brazílie a Kolumbie), Ázie (Južná Kórea, Taiwan a Thajsko) a Stredného Východu (Izraelu) zahrnula požiadavku na BIA ako súčasť národnej alebo lokálnej žiadosti o úhradu. Špecifické odporúčania pre realizáciu a prezentáciu BIA vznikli tiež pre jednotlivé krajiny. Uvádžame tiež príklady takýchto špecifických odporúčaní aj s URL linkom uvedeným v prílohe A v doplnujúcich materiáloch na adrese <http://dx.doi.org/10.1016/j.jval.2013.08.2291>. Hlavným dôvodom tejto správy bolo doplniť špecifické odporúčania jednotlivých krajín a prezentovať zistenia Pracovnej skupiny ISPOR s cieľom poskytnúť aktuálne odporúčania o metódach a reportovaní BIA.

### Usporiadanie dokumentu

Metódy realizácie a prezentácie BIA sa neustále vyvíjajú. Táto správa objasňuje oblasti konsenzu ako aj oblasti, kde je potrebný ďalší metodologický vývoj. Odporúčania sú rozdelené do troch hlavných častí: 1) štruktúra analýzy, 2) vstupné údaje a ich zdroje a 3) štruktúra správy.

Obrázok 1: Schéma Analýzy dopadu na rozpočet



Upravené podľa Brosa a kol., 2005 (2).

## Odporúčania pre štruktúru analýzy

BIA predstavuje spôsob syntézy dostupných poznatkov v čase rozhodovania o úhrade, ktorý má za cieľ odhadnúť finančný dopad rozhodnutia na systém zdravotnej starostlivosti. Vzhľadom na to, že systémy sa lokálne významne líšia a kompetentné authority posudzujú na základe rôznych perspektív, nie je možné poskytnúť jeden odhad, ktorý by bol aplikovateľný pre všetky lokálne authority. Naopak, cieľom BIA je poskytnúť validnú výpočtovú štruktúru – model, ktorý umožní užívateľom vložiť vstupné údaje a určiť finančný dopad

### Tabuľka 1: Aspekty, ktoré je potrebné zväžiť pri dizajne BIA

- Charakteristiky systému zdravotnej starostlivosti
- Perspektíva
- Využitie a nákladovosť aktuálne využívanej a novej intervencie
  - vhodná populácia
  - aktuálne využívané intervencie
  - rozsah využívania novej intervencie a jej vplyv na trh
  - možné používanie novej intervencie mimo schválenej indikácie („off-label“)
  - náklady na kombináciu aktuálne používanej alebo novej intervencie
- Dopad na ďalšie náklady
  - náklady súvisiace s ochorením
  - nepriame náklady
- Časový horizont
- Časové závislosti a diskontovanie
- Výber výpočtovej štruktúry
- Neistota a analýza scenárov
- Validácia

použiteľný pre dané lokálne podmienky. Z toho vyplýva, že výstupy BIA by mali skôr odrážať špecifické predpoklady a vstupné údaje, ktoré sú vyžadované lokálnymi autoritami, ako normatívny „základný“ scenár, ktorý by bol široko využiteľný.

V tejto časti správy sú uvedené odporúčania Pracovnej skupiny pre klúčové súčasti štruktúry pri samostatnej BIA. Uvedené sú tiež komentáre pre situáciu, kedy je spolu s BIA vytvorená aj sprievodná CEA. Určenie správnej štruktúry analýzy je podstatným krokom pri príprave BIA. Dizajn analýzy musí brať ohľad na konkrétne črty systému zdravotnej starostlivosti, možné reštrikcie dostupnosti, očakávaný rozsah uplatnenia novej intervencie a využitie a účinky aktuálnych a nových intervencií. Tieto odporúčania neposkytujú návod na vytvorenie modelu, ale skôr objasňujú hlavné aspekty, ktoré treba zväžiť počas jeho dizajnovania, vrátane výberu techniky modelovania. Dôležité je, že bez ohľadu na výber, technika modelovania by mala byť jasná a overená a mala by viesť k najjednoduchšiemu možnému dizajnu, ktorý naplní požiadavky platcu. Aspekty dôležité pre dizajn štruktúry analýzy sú uvedené v [tabuľke 1](#) a opísané v nasledujúcich sekciách.

## Charakteristiky systému zdravotnej starostlivosti

V analýze by sa mali zohľadniť tie charakteristiky systému zdravotnej starostlivosti, ktoré môžu ovplyvniť rozpočet a zároveň môžu byť ovplyvnené rozhodnutím o úhrade (napr. rehospitalizácia do 30 dní od prepustenia nemusí byť uhradená, teda táto zmena neovplyvní rozpočet platcu, ale bude mať významný dopad na rozpočet nemocnice alebo poskytovateľa). Medzi dôležité charakteristiky, ktoré sa líšia medzi jednotlivými zdravotnými systémami patria rôzne obmedzenia pre vstup zdravotníckej technológie. Existuje len málo systémov, ktoré uhrádzajú intervencie buď v plnej miere alebo vôbec nie; vo väčšine systémov existuje množstvo regulácií, vrátane administratívnych a klinických obmedzení, ktoré určujú, komu a za akých podmienok môže byť technológia

hradená a rozsah, v akom pacienti hradia istú časť výdavkov. Tieto charakteristiky majú byť v BIA inkorporované tak, aby sa mohli lokálne prispôbovať a to nielen pre novú intervenciu, ale tiež pre aktuálne používané intervencie a predovšetkým vtedy, ak je pravdepodobné, že reštrikcie sa pri aktuálnych intervenciách zmenia.

### Perspektíva

Vzhľadom na účel BIA sa pri tejto analýze odporúča použiť perspektívu držiteľa rozpočtu (ďalej len „platca“). Platcom môže byť subjekt pokrývajúci celý systém zdravotnej starostlivosti, špecifickí poskytovatelia alebo rôzne inštitúcie vo vnútri zdravotného systému (napr. lekárne) alebo pacient a jeho rodina. BIA by mala byť flexibilná a mala by generovať odhady, ktoré zahŕňajú rôzne kombinácie zdravotnej starostlivosti, sociálnych služieb a ďalších nákladov v závislosti od použitej perspektívy. Napríklad v jednej lokalite sa môže platca sústrediť len na výdavky na lieky, ale v inej môžu byť výdavky na lieky zahrnuté v rozpočte nemocnice alebo regiónu. Pri flexibilnom dizajne bude BIA schopná poskytnúť rozhodujúcim subjektom nielen tie informácie, ktoré vyžadujú, ale tiež 1) širšie ekonomické dôsledky zavedenia intervencie a 2) dopad na ostatných platcov.

### Využívanie a nákladovosť aktuálnych a nových intervencií

#### Cieľová populácia

V BIA by mala byť zahrnutá celá populácia pacientov vhodných na využitie intervencie počas požadovaného časového horizontu analýzy, s ohľadom na akékoľvek reštrikcie prístupu k intervencii. Definovanie tejto populácie začína odhadom počtu pacientov, ktorým má byť intervencia uhrádzaná pri lokálne schválenej indikácii pre danú novú technológiu. Musí odrážať všetky plánované obmedzenia použitia alebo hradenia intervencie, ako aj rozsah jej využívania (pozri ďalšiu kapitolu), vrátane možného použitia nad rámec obmedzení, použitia u predtým neliečených pacientov, u ktorých je potrebná liečba poskytujúca lepšie výsledky, väčšiu pohodlnosť alebo menej nežiaducich účinkov a zmeny v spôsobe použitia (napr. nová intervencia s nižším výskytom vedľajších účinkov sa môže začať využívať aj na liečbu skorších štádií ochorenia) (9).

Cieľová populácia je otvorená, a to v tom zmysle, že pacienti do nej vstupujú alebo vystupujú v závislosti od toho, či spĺňajú kritériá pre začlenenie (napr. pri splnení indikačných kritérií, pri zvážení obmedzení, pri neprítomnosti príznakov ochorenia alebo pri úmrtí). Keď je frekvencia vstupov a výstupov pacientov do analýzy vyvážená, veľkosť cieľovej populácie sa časom nebude meniť. Bude sa však meniť vtedy, ak nová intervencia predĺži čas liečby, spomalí progresiu ochorenia alebo zníži mortalitu bez vyliečenia ochorenia (napr. ak pri populácii so stredne závažným ochorením nová liečba oddiali progresiu do pokročilejšieho štádia ochorenia, cieľová populácia bude rásť). Štruktúra analýzy by mala zohľadňovať dopad týchto zmien na veľkosť cieľovej populácie.

V BIA by sa mal zväžiť aj podiel cieľovej populácie v rôznych podskupinách pacientov definovaných závažnosťou alebo štádiom ochorenia, komorbiditami, vekom, pohlavím, príslušnosťou k etnickým skupinám a ďalšími charakteristikami. Výber podskupín by mal byť založený na dostupných dôkazoch ohľadom nákladov asociovaných s rôznymi podskupinami, ktoré môžu ovplyvniť dopad novej intervencie na rozpočet platcov. Štruktúra analýzy by mala zohľadniť všetky tieto skutočnosti, predovšetkým však vtedy, ak je pravdepodobné, že sa po zavedení novej intervencie podiely podskupín budú meniť.

#### Aktuálne využívané intervencie

BIA porovnáva scenáre definované skôr súborom intervencií než špecifickými, individuálnymi intervenciami. Základný

scenár by mal zahŕňať mix aktuálne využívaných intervencií v cieľovej populácii pacientov. Môže nastať aj situácia, pri ktorej sa nevyužívajú v cieľovej populácii žiadne intervencie alebo sú v mixe zahrnuté intervencie, ktoré môžu byť nahradené tou novou. Ak sa v cieľovej populácii využívajú „off-label“ intervencie (mimo schválenej indikácie), môžu sa tiež zohľadniť. Takýto prístup by sa však nemal vnímať ako propagácia off-label používania intervencií, ale skôr ako opis aktuálneho spektra využívaných intervencií. Štruktúra analýzy by mala umožniť zahrnutie variability v nákladových dátach a vo využívaní rôznych intervencií (napr. monitorovanie, titrácia a pod.). Ak sa na definovanie jedincov vhodných na využitie intervencie požaduje diagnostický test, mal by byť v analýze zahrnutý a frekvencia jeho použitia by mala zodpovedať lokálnej praxi.

#### Rozsah využívania novej intervencie a jej vplyv na trh

Zavedenie novej intervencie vedie k rôznym pohybom na trhu, vrátane nahrádzania produktov a možnej expanzie trhu. Rozsah budúceho využívania novej intervencie nie je v čase prípravy analýzy známy a nie je známy ani dopad zavedenia novej intervencie na budúce využívanie aktuálne používaného mixu intervencií. Môže sa jednať o tri typy zmien: nová intervencia nahradí jednu alebo viac aktuálne využívaných intervencií (substitúcia); nová intervencia sa pridá k aktuálnym intervenciám (kombinácia); alebo sa nová intervencia použije v situáciách, kde nie je prítomná aktívna intervencia (len podporná starostlivosť) alebo u pacientov, ktorí prestali používať alebo nebudú používať dostupnú intervenciu pre intoleranciu, nepohodlnosť, stratu účinku alebo z akýchkoľvek iných dôvodov (expanzia). Tieto zmeny sa môžu týkať rôznych podskupín cieľovej populácie a distribúcia zmien sa môže časom meniť, t. j. zmeny nenastanú okamžite po uvedení produktu na trh. Prognóza týchto zmien v priebehu hodnoteného časového horizontu je náročnou, avšak zároveň dôležitou súčasťou BIA.

Vyššie uvedené zmeny majú rôzny vplyv na platcov. Pri substitúcii môžu byť výdavky na novú intervenciu čiastočne kompenzované redukovaným použitím aktuálnej intervencie. Pri hodnotení kompenzácie by sa malo zväžiť nielen nahradenie pôvodných intervencií, ale tiež rôzne súvisiace aspekty, ako sú napr. laboratorné testy a manažment vedľajších účinkov. Napríklad priame inhibitory trombinu nevyžadujú monitorovacie testy, ktoré sú potrebné pri warfaríne (10), čím sa redukuje využívanie výkonov súvisiacich s potrebou monitorovania. Kombinácia vedie k novým výdavkom, vrátane možných prídavných nákladov pre zmeny v profile vedľajších účinkov kombinácií alebo nových požiadaviek na monitorovanie. Expanzia trhu vedie k vzniku nákladov na novú intervenciu, ale môžu vzniknúť kompenzačné úspory v manažmente predtým neliečených pacientov.

Údaje o rozsahu využívania novej intervencie a jej dopad na aktuálne používaný mix intervencií sú základnými parametrami BIA. Žiaľ, vo väčšine prípadov je k dispozícii v tejto oblasti len málo dát a výsledky BIA môžu byť veľmi citlivé na alternatívne predpoklady. Analýza by mala byť transparentná pri popise odhadov, týkajúcich sa mixu intervencií a zmien očakávaných pri zavádzaní novej intervencie. Je potrebné zväžiť, či má byť analýza obmedzená na jednoduché odhady zmien v čase alebo či sa majú zvažovať komplexnejšie nelineárne funkcie, kde miera zavádzania intervencie závisí aj od ďalších faktorov (napr. obmedzenia prístupu k intervencii), pričom by sa mali využiť všetky relevantné údaje dostupné pri podobných intervenciách. Dôležité je, aby štruktúra analýzy dovoľovala užívateľom testovať alternatívne predpoklady o využívaní intervencie a jeho dopade na aktuálne používané intervencie. Takýto typ analýzy má mať premenlivú štruktúru, čo má pri odhadovaní dopadu na rozpočet veľký význam.

### „Off-label“ (mimo schválenej indikácie) použitie novej intervencie

Nová intervencia sa môže používať aj u pacientov bez schválenej indikácie (tzv. „off-label“ použitie). Keďže pri takomto využívaní intervencií je k dispozícii málo údajov o účinnosti a bezpečnosti a je tiež potrebné sa vyhnúť propagácii „off-label“ používania, jeho zahrnutie do BIA sa neodporúča, s výnimkou prípadov, kedy si to vyžaduje platca.

### Nákladovosť aktuálne používaného a nového mixu intervencií

Nákladovosť aktuálneho alebo nového mixu intervencií sa určí vynásobením nákladov platcu pri každej intervencii, proporcie cieľovej populácie využívajúcej túto intervenciu a počtom osôb v cieľovej populácii.

### Dopad na ďalšie náklady

#### Náklady súvisiace s ochorením

Zavedenie nových intervencií môže viesť k zmene príznakov ochorenia, jeho trvania, liečebných výsledkov alebo progresie ochorenia, ktoré sú asociované s príslušným zdravotným stavom. Tak môže dochádzať aj k zmenám vo využívaní zdravotnej starostlivosti vo vzťahu k týmto zdravotným stavom. Napr. nová intervencia pri HIV infekcii, ktorá umožňuje dlhodobjšie zotrvanie vyššieho počtu CD4 buniek, bude redukovať náklady spojené s terapiou oportúnnych infekcií. Napriek tomu, že zahrnutie zmien v nákladoch súvisiacich so zdravotným stavom môže vyžadovať značné odhadovanie a zmeny sa môžu prejaviť až po uplynutí relevantného časového horizontu, pre niektoré autority môže byť tento vplyv relevantný. V prípade, ak sa BIA vykonáva spolu s CEA, môžu byť tieto odhady dostupné z CEA. Preto ak sú dostupné spoľahlivé údaje a ak sa očakáva, že uvedené zmeny budú mať dopad na zdravotnícky rozpočet, mali by byť náklady súvisiace so zdravím v BIA zahrnuté. Ak sa tieto náklady zahrnú do BIA, model by mal byť dizajnovaný tak, aby bolo možné interpretovať výsledky s nimi i bez nich.

V niektorých prípadoch ovplyvňuje intervencia využívanie zdravotníckych služieb (napr. počet dní hospitalizácie alebo počet návštev lekára) a tým aj kapacitu systému. To však nemusí mať priame finančné dôsledky na platcu, pretože v modelovanom časovom horizonte nemusia nastať zmeny v systéme (napr. personál nebude presunutý alebo prepustený). Napriek tomu môže byť vhodné tento vplyv na zdravotný systém popísať, pretože uvedené zmeny môžu mať vplyv na plánovanie zdravotníckeho systému bez ohľadu na rozpočet.

### Nepriame náklady

Dopad novej intervencie na produktivitu, sociálne služby a iné náklady mimo systému zdravotnej starostlivosti by sa nemal rutinne zahrňovať do BIA, pretože tieto aspekty nie sú vo všeobecnosti pre platcu relevantné. Výnimka môže nastať vtedy, ak je BIA určená pre súkromné zdravotné poisťovne alebo zamestnávateľov. Tieto organizácie majú veľký záujem na zachovaní zdravej a produktívnej pracovnej sily, a preto môžu byť schopné kompenzovať zvýšené výdavky na zdravotnú starostlivosť ziskom z pracovnej produktivity. Ďalšou výnimkou môžu byť systémy zdravotnej starostlivosti s daňovou dotáciou, kde strata pracovnej produkcie spôsobená morbiditou môže mať významný vplyv na financovanie národného systému zdravotnej starostlivosti.

### Časový horizont

BIA by mala byť pripravená v časovom horizonte relevantnom pre platcu, na základe jeho rozpočtového procesu a obdobia (napr. mesačne, štvrtročne a ročne). Bežne sa používa časový horizont 1 až 5 rokov od zavedenia novej intervencie,

s výsledkami prezentovanými pre každé obdobie rozpočtu. Štruktúra modelu by mala umožniť aj nastavenie iných časových horizontov. Hoci časové horizonty, ktoré prekračujú niekoľko rokov vyžadujú značné odhadovanie, môžu byť potrebné na vyhodnotenie kompenzácie a šetrenia nákladov na ochorenie, ktoré sa môžu prejaviť až v ďalších rokoch (napr. intervencie na liečbu chronickej hepatitídy predchádzajú cirhóze pečene alebo karcinómu pečene, ktoré môžu vzniknúť v neskoršej budúcnosti).

### Časové závislosti a diskontovanie

Niektoré aspekty BIA sa môžu časom meniť. Tieto zmeny zahŕňajú hodnotu použitej meny (t. j. pre infláciu/defláciu); rozsahu využívania intervencie; vstup nových intervencií do mixu; zmeny v cenách (napr. pre expiráciu patentu); a zmeny v poznatkoch o ochorení, indikáciách a zmeny v manažmente ochorenia. Napriek tomu že tieto odhady sú náročné, je potrebné ich v časovom horizonte BIA vykonať a zároveň poskytnúť jasné a overené predpoklady, podporené čo najväčším počtom dôkazov.

V CEA, kde sa v čase rozhodovania vykonávajú prognózy účinkov pre celé trvanie týchto účinkov sa časové preferencie zohľadňujú pomocou diskontácie nákladov na ich súčasnú hodnotu. Pri BIA sa diskontácia neodporúča, pretože pre platcu je dôležitá informácia o očakávanom dopade zavedenia intervencie v každom časovom bode analýzy. To znamená že v BIA by sa mali prezentovať náklady v každom období časového horizontu bez diskontácie. Ak si však autorita napriek tomu želá hodnotiť dopad na rozpočet z hľadiska súčasnej hodnoty, môže sa to jednoducho realizovať a zahrnúť do modelu, aj keď bežne sa to nepožaduje.

### Výber výpočtovej štruktúry

Výpočtová štruktúra pre BIA môže pozostávať z jednoduchého výpočtu nákladov programovateľného v tabuľkovom procesore (t. j. pozri citácie 11 – 14, ako aj výpočtovú šablónu pripravenú NICE, ktorá je dostupná na <http://www.nice.org.uk>). Postup pomocou jednoduchého výpočtu nákladov sa má v BIA preferovať kvôli ľahšej zrozumiteľnosti pre platcov. Avšak v podmienkach, v ktorých nemôžu byť zmeny vo veľkosti cieľovej populácie, spektre závažnosti ochorenia alebo v spôsoboch intervencie spoľahlivo zhodnotené použitím jednoduchého výpočtu nákladov, môže sa použiť kohortový model špecifický pre ochorenie, alebo individuálny simulačný model, ktorý porovná nákladovosť súčasne využívaných a budúcich intervencií použitých v cieľovej populácii so zahrnutím jedincov vstupujúcich aj vystupujúcich z analýzy v priebehu času (15 – 22). V každom prípade by tieto modely mali spĺňať odporúčania ISPOR-SMDM Good Modeling Practice Task Force a pre tých, ktorí rozhodujú, by mala byť dostupná kompletná dokumentácia (23).

### Neistota a scenárové analýzy

Pre BIA je relevantná neurčitost dvoch typov: parametrová neurčitost v použitých vstupných hodnotách a neurčitost štruktúry vzniknutá odhadom zahrnutom v štruktúre BIA (24). Príklady parametrovej neurčitosti zahŕňajú odhady účinnosti aktuálnych a nových intervencií a pri neurčitosti štruktúry zahŕňajú zmeny v očakávaných spôsoboch intervencie pri dostupnosti novej intervencie a zohľadnení obmedzení jej použitia. Keďže pre mnohé z týchto parametrov nie sú dostupné údaje, mnohé parametrové neurčitosti v BIA nemôžu byť zmysluplne kvantifikované, a preto nemôžu byť plne uplatnené štandardné postupy ako sú jednosmerná a probabilistická analýza senzitivity. Navyše, väčšina neurčitostí je štruktúrna a nie je jednoducho možné ju previesť do formy parametrov. Preto by sa mali na základe zmeny hodnôt vybraných vstupných parametrov a štruktúrnych predpokladov realizovať scenárové analýzy, s cieľom vytvoriť zmysluplné alternatívne scenáre analýzy.

## Validácia

Štruktúra výpočtov analýzy a vstupné dáta použité v BIA musia byť dostatočne validné, aby poskytli platcom spoľahlivé informácie pre rozhodovanie. V BIA by sa mali použiť dva štandardné postupy validácie: 1) validita prostredníctvom dohody s príslušnými autoritami o štruktúre výpočtov analýzy, zahrnutých aspektov a ako sú tieto aspekty zohľadnené (napr. obmedzenia prístupu k intervenciám a časový horizont); a 2) verifikácia výpočtu nákladov alebo modelu vrátane všetkých vzorcov (25). Navyše, ak je to možné, náklady v zdravotnom systéme s aktuálnymi intervenciami by sa mali porovnať s odhadmi nákladov v iníciaľnom roku BIA. Pre výskumné účely sa môžu po zavedení novej intervencie zbierať údaje a porovnať ich s odhadmi z BIA. Hoci to už nebude relevantné pre rozhodovanie, ak sú výsledky blízke odhadom, poskytne to väčšiu istotu pri analyzovaní budúcich intervencií.

## Odporúčania pre vstupné údaje a ich zdroje

Keď je štruktúra analýzy pripravená, je potrebné ju naplniť údajmi dôležitými pre platcu. Využitelnosť BIA závisí do veľkej miery od kvality, presnosti a použiteľnosti údajov. Aby analýza poskytla spoľahlivý odhad dopadu na rozpočet, údaje by mali pochádzať z najlepších dostupných zdrojov, s uvedením citácií, kvôli transparentnosti a replikovateľnosti. V tejto kapitole Pracovná skupina odporúča možné zdroje údajov pre každú z piatich zložiek BIA:

- veľkosť a charakteristika cieľovej populácie;
- mix intervencií s a bez novej intervencie;
- náklady na aktuálne a nové spektrum intervencií;
- využitie a náklady na zdravotnícke služby spojené so zdravotným stavom; a
- rozsah a alternatívne hodnoty pre analýzu senzitivity a scenárové analýzy.

## Všeobecné odporúčania

Tvorca BIA by mal poznať špecifické požiadavky platcu na údaje a tieto by mali byť relevantné pre príslušného platcu. Napríklad údaje z jednej krajiny nemusia byť dôveryhodné pre inú krajinu. Zdroje údajov by mali byť adekvátne k študovanej otázke a mala by byť zhodnotená ich spoľahlivosť. **Tabuľka 2** sumarizuje príklady zdrojov údajov, ktoré môžu byť použité na v BIA.

### Tabuľka 2: Príklady zdrojov údajov pre analýzu dopadu na rozpočet

- Údaje o využívaní intervencií a nákladov z reálnej praxe, z registrov alebo databáz, ktoré odrážajú perspektívu platcu.
- Údaje z klinických štúdií špecifické alebo extrapolované pre cieľovú populáciu.
- Údaje o rozsahu využívania, používaní a adherencii z medzinárodných zdrojov, z podobných populácií a s podobnými zvyklosťami z praxe.
- Údaje z prieskumov trhov slúžiacie na identifikáciu využívania porovnávateľného produktu a včasné využívanie intervenčných alternatív a trendov v liečebných zvyklostiach.
- Názory expertov a prieskumy z reálnej praxe.

## Veľkosť a charakteristika cieľovej populácie

V BIA je potrebné odhadnúť veľkosť cieľovej populácie a zastúpenie akýchkoľvek charakteristík, ktoré môžu ovplyvniť

dopad na rozpočet. Preferovaným prístupom je získanie odhadov veľkosti a charakteristiky cieľovej populácie priamo od platcov. Pretože tieto údaje zvyčajne nie sú verejne dostupné, možno na odhady BIA použiť rôzne alternatívne metódy. Ak nie sú dostupné údaje platcov, je možné použiť národné a regionálne údaje o incidencii alebo prevalencii sledovaného stavu, pričom pre výpočet cieľovej populácie sa upravujú známe charakteristiky, ktoré sa môžu líšiť od národnej a regionálnej populácie, ako sú pohlavie, vek, rasa alebo riziková skupina. Napríklad, pre odhad počtu osôb s HIV infekciou v regionálnom zdravotníckom pláne je potrebné upraviť údaje o prevalencii, ak sa podiel vysokorizikových osôb zaradených v regionálnom zdravotníckom pláne významne líši od tohto podielu v národných dátach.

Keď sa stanovila veľkosť populácie s daným sledovaným stavom, musí sa určiť podiel diagnostikovaných a liečených osôb a tiež zastúpenie jednotlivých stupňov závažnosti ochorenia. Pre výpočet cieľovej populácie pre novú intervenciu je potrebné zohľadniť tiež navrhované obmedzujúce kritériá. Tieto odhady by mali pochádzať od platcu, avšak na stanovenie podielu cieľovej populácie v rôznych štádiách ochorenia alebo s rôznou úrovňou závažnosti ochorenia sa môžu použiť aj ďalšie zdroje ako sú napr. informácie zo štúdií o prírodnom vývoji chronických chorobných stavov.

Pre analytika je dôležité stanoviť nielen aktuálnu veľkosť cieľovej populácie a distribúcie závažnosti ochorenia, ale tiež spôsob, ako sa môžu tieto odhady meniť v časovom horizonte modelu bez zavedenia novej intervencie a po jej zavedení. Príklady takých zmien vo veľkosti populácie a/alebo spektre závažnosti ochorenia, ktoré sú spôsobené zlepšením účinnosti zahŕňajú napr. predĺženie očakávaného prežívania u osôb v terminálnom štádiu onkologického ochorenia, alebo zníženie závažnosti ochorenia pre zvýšenie počtu CD4 buniek u pacientov s HIV infekciou. Tieto zmeny môžu ovplyvniť dopad novej intervencie na rozpočet a na ich zhodnotenie by sa mali použiť informácie z klinických štúdií alebo registrov, ak sú dostupné. Navyše, mala by sa využiť akákoľvek možnosť bližšej definície cieľovej populácie pacientov (ako sú napr. diagnostické testy), ktorá by zvýšila veľkosť populácie alebo zmenila distribúciu závažnosti ochorenia, pričom na tento účel sa majú použiť publikované informácie alebo názor odborníkov.

Jedným z dôležitých predpokladov pri chronickom chorobnom stave, ktorý môže ovplyvniť dopad novej intervencie na rozpočet v prvých rokoch po jej zavedení je, či sa dosiahne tzv. „catch-up“ („doháňací“) efekt. Napríklad ak je nový liek indikovaný po zlyhaní špecifickej terapie pre chronický stav, sú dve možné vhodné podskupiny populácie pre novú intervenciu v každom roku analýzy: tí pacienti, u ktorých zlyhala špecifická terapia a prestavia sa na inú liečbu a tí, u ktorých zlyhala špecifická liečba pred jedným alebo viacerými rokmi a poskytuje sa im najlepšia podporná starostlivosť alebo iná terapia, ktorá môže byť menej účinná ako nový liek („doháňacia“ – „catch-up“ skupina). Na to, aby boli správne zahrnuté obe cieľové populácie (cieľová a „doháňacia“) do BIA, mali by sa získať od platcu alebo z relevantných epidemiologických štúdií informácie o veľkosti každej cieľovej subpopulácie a zo zdrojov uvedených v ďalšej kapitole by sa mali získať odhady rozsahu využívania novej intervencie v „doháňacej“ podskupine.

## Aktuálne používaný a nový mix intervencií

Odporúčaným zdrojom pre údaje o aktuálnom mixe intervencií sú údaje platcu. Ak tieto údaje nie sú dostupné, možno použiť publikované údaje o využívaní aktuálnych intervencií z registrov, databáz poisťovní, lokálnych prieskumov, prieskumu trhu alebo iných sekundárnych zdrojov. Mix intervencií využívaných v súčasnosti sa v priebehu času môže meniť aj pri neprítomnosti novej intervencie a model má byť zostrojený tak, aby bolo možné túto skutočnosť zohľadniť. Odhad zmien v mixe intervencií v priebehu času by mal vychádzať z predchádzajúcich zmien pri podobných liekoch, z prieskumu trhu alebo z klinických skúseností expertov. Príkladom

by mohlo byť, ak jednému z aktuálne používaných typov liečby v časovom horizonte BIA skončí patentová ochrana a po strate patentovej ochrany sa očakáva zvýšenie podielu tejto liečby v mixe liečebných možností. Tieto zmeny by mali byť predbežne vypočítané použitím pozorovaných zmien z minulosti pri podobných liekoch, prieskumom trhu alebo zo skúseností klinických expertov. Ak existuje viacero aktuálnych intervencií, ale len málo z nich je bežne používaných, aktuálny mix intervencií môže byť obmedzený na tie, ktoré sú v bežnom použití, pričom však v modeli by mali byť uvedené aj tie intervencie, ktoré môžu byť novou intervenciou ovplyvnené.

Zloženie nového mixu intervencií závisí od rýchlosti zavádzania novej intervencie, ako aj rozsahu, v ktorom nahradí alebo doplní aktuálne používané intervencie. Rýchlosť zavádzania novej intervencie sa bude pravdepodobne časom meniť, v závislosti od toho, aké skúsenosti s novou intervenciou nadobudnú lekári a pacienti. Tu je niekoľko odporúčaných spôsobov na odhad rýchlosti zavádzania novej intervencie: 1) použitie údajov z iného regiónu, kde už bola intervencia zavedená; 2) použitie odhadu očakávaného podielu na trhu od výrobcu; 3) extrapolácia skúseností s rozšírením produktu pri podobnej intervencii a podmienkach. Pri všetkých troch postupoch je potrebné stanoviť podľa indikácie novej intervencie, či bude táto intervencia pridaná k aktuálnym intervenciám alebo nahradí niektorú alebo všetky aktuálne používané intervencie. Na odhad rozsahu, v akom bude dostupnosť novej intervencie redukovať použitie každej aktuálne používanej intervencie, odporúčame použiť ako zdroje prieskum trhu, odhady výrobcu alebo skúsenosti klinických expertov.

### Náklady na aktuálne používané a nové intervencie

Odhad nákladov by mal byť založený na aktuálnej akvizičnej cene intervencie pre platcu (vrátane akýchkoľvek zliav, rabatu alebo ďalších úprav ceny, ktoré možno použiť), ako aj dodatočných nákladov na požadovanú diagnostiku. Ak údaje o aktuálnych akvizičných nákladoch nie sú verejne dostupné, mali by sa použiť verejne dostupné ceny, ako sú veľkoobchodné akvizičné ceny, cenníky, alebo úradné zoznamy. Analýza by mala byť dizajnovaná tak, aby zľavy, odpočítateľné položky a doplatky pacienta mohli byť z nákladov odpočítané, čím sa dosiahnu reálne výdavky platcu. Pri prístrojoch alebo zdravotníckom materiáli by mali byť použité veľkoobchodné alebo vyjednané ceny; pre výkony a diagnostiku by sa mali zahrnúť náklady na všetky prístroje alebo rozpočtové výdavky a cena práce. Náklady na intervenciu by tiež mali zahŕňať akékoľvek náklady spojené s podaním a monitorovaním. Náklady na podanie a monitorovanie sa majú stanoviť na základe miestnych nákladových jednotiek na použité zdravotnícke služby. Ak tieto nie sú lokálne známe, mali by sa na odhad použitých zdravotníckych služieb použiť produktové informácie alebo publikácie opisujúce požiadavky na podanie a monitorovanie.

V nákladoch na všetky aktuálne používané a nové intervencie by sa mali zahŕňať ako samostatná položka náklady na manažment akýchkoľvek vedľajších účinkov alebo komplikácií. Frekvencia nežiaducich účinkov by mala byť odvodená z produktových informácií alebo publikácií o intervenciách v liečebnom mixe. Tieto údaje sa používajú spolu s odhadom nákladov na liečbu každej nežiaducej udalosti. Dodatočné náklady môžu byť spôsobené s vysadením liečby alebo potrebou využívania zdravotnej starostlivosti pri manažovaní nežiaducich účinkov. Ak nie sú dostupné publikované údaje o nákladoch na nežiaduce účinky, malo by sa postupovať tak, že sa na základe konzultácie s lekármi, ktorí liečia daný stav, vytvorí liečebný algoritmus a na tento sa aplikujú miestne nákladové jednotky pre využívané zdravotnícke služby.

Stanovenie nákladov na mix nových intervencií prebieha rovnakým procesom ako pri aktuálne využívanom mixe s tou výnimkou, že pre intervenciu, ktorá ešte nie je na trhu, je potrebné stanoviť akvizičnú cenu, ak ešte nie je stanovená alebo nie je verejne dostupná a je potrebné tiež definovať

dávkovanie, ktoré bude používané v bežnej praxi. Stanovenie dávkovania by malo byť transparentné a overené a ak je to možné, má sa vychádzať zo zvyklostí pri dávkovaní pri podobných intervenciách. Navyše, náklady na podanie, monitorovanie a manažment vedľajších účinkov pri novej intervencii by mali byť odhadnuté rovnakým spôsobom ako pri aktuálne používanom mixe s použitím podporných údajov. Ak sa použijú skúsenosti klinických expertov, treba si dať záležať na štruktúre otázok a vybrať expertov takým spôsobom, ktorý zabezpečí spoľahlivé a lokálne aplikovateľné informácie.

### Využívanie a nákladovosť ďalších zdravotníckych služieb spojených so zdravotným stavom

Ak je potrebné zahrnúť do analýzy náklady spojené so zdravotným stavom, malo by sa postupovať v nasledujúcich krokoch: odhadnúť zmeny v klinických výsledkoch, definovať využitie relevantných zdrojov, ktoré sa môžu zmeniť, odhadnúť rozsah zmien a hodnotu týchto zmien. V BIA sa zmeny musia definovať z perspektívy platcu. Na odhad zmien v klinických výsledkoch by mali byť použité dáta z klinických štúdií. Ak sa vykonáva súčasne aj CEA, táto môže poskytnúť dodatočné zdrojové údaje. Využívanie zdravotníckych služieb v BIA by malo byť definované na základe použitia lokálnych dát. Keď lokálne dáta nie sú dostupné, prichádza do úvahy konzultácia s lekármi, ktorí majú skúsenosti s liečbou pacientov so sledovaným ochorením. Pri očakávaných zmenách v poskytovaných službách zdravotníckej starostlivosti by sa pri výpočte dopadu týchto zmien mali použiť nákladové jednotky relevantné pre príslušného platcu. Relevantné je tiež zahrnúť oportunistických nákladov, avšak to môže byť náročné s ohľadom na spôsob, ako sú tieto služby uhrádzané. Ak nie sú dostupné aktuálne oportunistické náklady, je možné použiť metódu výpočtu nákladovosti.

### Rozsah a alternatívne hodnoty pre analýzu senzitivity a scenárové analýzy

Rozsah hodnôt, ktoré sa majú použiť v analýze senzitivity má vychádzať z požiadaviek platcu. Štandardné hodnoty rozsahov by sa mali získať z prehľadu publikovaných štúdií alebo konzultácií s lekármi, ktorí liečia pacientov so sledovaným ochorením. Použitie absolutistických rozsahov ako je +/- 20 % alebo +/- 50 % sa neodporúča, pretože tieto neodrážajú aktuálnu premenlivosť parametrov, predovšetkým z pohľadu platcu (24).

BIA tiež zahŕňajú viaceré parametre, ktoré sa môžu líšiť pre jednotlivých platcov, ako je napr. distribúcia veku a pohlavia populácie v zdravotnom systéme, charakteristiky a reštrikcie zdravotného systému a zdravotného plánu, liečebné zvyklosti, incidencia a prevalencia ochorenia v zdravotnom systéme alebo v zdravotnom pláne a náklady na lieky a iné služby zdravotnej starostlivosti. Je preto vhodné uviesť aj špecifické informácie pre príslušného platcu a to v alternatívnych „plauzibilných“ scenároch, s potrebnou variáciou hodnôt vstupných parametrov.

Ak sa v analýze scenárov hodnotí dopad adhérencie a perzistencie pri danej terapii, príslušné hodnotenia majú vychádzať z databázových štúdií alebo prospektívnych štúdií relevantných pre príslušného platcu. Ak sú v BIA zahrnuté aj náklady súvisiace so zdravotným stavom, mal by sa odhadnúť tiež dopad adhérencie a perzistencie na účinnosť a bezpečnosť hodnotenej intervencie. Ak nie sú publikované dáta o vzťahu medzi adhérenciou alebo perzistenciou a klinickými výsledkami, potom sú možnými alternatívnymi zdrojmi údajov buď farmakokinetické alebo farmakodynamické dáta alebo skúsenosti expertov.

## Odporúčania pre štruktúru správy

Posledná kapitola odporúčaní predstavuje odporúčania pre štruktúru správy BIA, pričom cieľom je zabezpečiť jej konzistentnosť a transparentnosť.

### Úvod správy

Úvod správy BIA by mal obsahovať ciele a perspektívy analýzy, ako aj krátky súhrn relevantných epidemiologických, klinických a ekonomických informácií vo vzťahu k cieľovej populácii a k sledovanému ochoreniu.

### Cieľ

Cieľ BIA by mal byť jasne stanovený a viazaný k perspektívam štúdie.

### Epidemiológia a manažment zdravotného problému

Úvod správy by mal poskytnúť informáciu o prevalencii a incidencii konkrétneho ochorenia, závažnosti ochorenia, jeho progresii, nediagnostikovaných alebo nedostatočne liečených prípadoch a rizikových faktoroch vhodných pri odhade dopadu na rozpočet.

### Klinický dopad

Klinické informácie by mali pozostávať z krátkeho opisu cieľovej populácie a existujúcich možností manažmentu a informácií ich účinnosti a bezpečnosti, ktoré sú relevantné pre dizajn štúdie BIA.

### Ekonomický dopad

Informácie o ekonomickom dopade by mali zahŕňať krátky opis predchádzajúcich BIA pri danom ochorení a pri iných intervenciách a charakteristiku liečebných možností a štúdií hodnotiacich náklady na liečbu.

### Dizajn a metódy štúdie

V správe je potrebné popísať dizajn BIA, ktorý zvyčajne zahŕňa buď jednoduchý výpočet nákladovosti alebo kohortový model špecifický pre dané ochorenie, alebo individuálny simulačný model. Mali by byť popísané nasledujúce charakteristiky štruktúry analýzy a identifikovaných zdrojov.

### Populácia pacientov

Táto kapitola by mala jasne definovať cieľovú populáciu pre novú intervenciu.

### Mix intervencií

Táto kapitola by mala obsahovať detailný opis použitia a charakteristiku každej intervencie v aktuálnom mixe intervencií a v mixe intervencií po zavedení novej intervencie. Mix intervencií má špecifickú distribúciu podielov, ktoré sa líšia v rámci zdravotných systémov a medzi zdravotnými systémami. Preto by mali byť odhadované podiely intervencií v mixe vyčíslené v tabuľkách (26). Niektorí pacienti môžu dostávať kombinovanú liečbu a v takomto prípade by sa mali podiely intervencií zaznamenať v samostatnej tabuľke. V tejto časti by mali byť poskytnuté tiež relevantné informácie o každej intervencii v liečebnom spektre. Tie zahŕňajú schválenú indikáciu, dávku, účinnosť, nežiaduce účinky a dáta o adherencii.

### Časový horizont

Mal by byť uvedený a zdôvodnený časový horizont BIA.

### Perspektíva

Táto kapitola by mala jasne definovať perspektívu BIA, kategórie zahrnutých nákladov a cieľovú skupinu (t. j. pre akú rozhodovaciu inštitúciu alebo platcu je štúdia určená).

### Opis štruktúry analýzy

Táto kapitola by mala obsahovať kompletný opis štruktúry výpočtu nákladov v BIA alebo kohortového modelu špecifického pre ochorenie alebo individuálny simulačný model. Mala by byť uvedená aj grafická prezentácia modelu v podobe vývojového grafu.

### Vstupné dáta

V tejto časti by mali byť vysvetlené vstupné dáta použité v analýze, vrátane alternatívnych scenárov. Detaily by mali byť prezentované tak, aby si čitateľ mohol zopakovať všetky výpočty v modeli.

### Zdroje dát

Zdroje vstupných dát by mali byť podrobne opísané. Akékoľvek úpravy alebo výpočty, ktoré boli pri dátach použité, by mali byť opísané dostatočne v takom rozsahu, aby bolo možné výpočty zopakovať. Tu by mali byť uvedené tiež silné a slabé stránky analýzy, limitácie a možný rozsah biasu. Taktiež by sa tu mali oddiskutovať kritériá výberu štúdií a databáz použitých pri získavaní vstupných hodnôt.

### Zber dát

V tejto časti by sa mali opísať a vysvetliť metódy a procesy primárneho zberu dát a okolnosti týkajúce sa abstrakcie dát, ktoré neboli uvádzané v iných častiach analýzy. V prílohe správy by mali byť zahrnuté tiež formuláre určené na zber dát alebo dotazníky.

### Analýzy

Mal by byť poskytnutý opis výpočtov použitých v analýze. Mal by byť dokumentovaný a zdôvodnený výber všetkých scenárov prezentovaných vo výsledkoch.

### Neistota

Použitá metóda analýzy senzitivity má byť popísaná a zdôvodnená.

### Výsledky

Výsledky by mali byť prezentované dezagregovaným spôsobom, aby sa umožnila flexibilita požadovaná platcom a inými autoritami. Dopad na rozpočet by mal byť prezentovaný zvlášť pre každé obdobie časového horizontu. Pre každé obdobie by malo byť prezentované využívanie zdrojov a náklady. Odhad využitia zdrojov má byť uvedený v tabuľke, ktorá uvádza zmenu vo využití zdrojov pre každé obdobie časového horizontu analýzy a uvádza sa zvlášť pre jednotlivé intervencie, nežiaduce udalosti a zdravotné stavy. V ďalšej tabuľke by sa mali uviesť dezagregované náklady (napr. lieky, návštevy lekára, hospitalizácia, domáca starostlivosť) pre každé obdobie analýzy. Môžu sa uviesť tiež medziročná zmeny v klinických výsledkoch. To zvyšuje transparentnosť pri rozhodovaní a to najmä vtedy, ak je dopad na rozpočet sprevádzaný významnými zdravotnými benefitmi. Výsledky analýzy senzitivity a scenárových analýz majú byť popísané a prezentované v podobe grafov alebo tabuliek.

### Záver a obmedzenia

V tejto časti sa uvádzajú hlavné závery na základe výsledkov BIA. Majú sa uviesť tiež hlavné limitácie základných aspektov dizajnu analýzy zahŕňajúce napr. použitie „off-



label“ intervencií a predpokladov ohľadom adherencie a tiež kompletnosť a kvalitu vstupných dát a zdrojov.

### Zahrnutie grafov a tabuliek

Grafické ilustrácie štruktúry a dát BIA môžu byť užitočné pre tých užívateľov, ktorí ich plánujú zahrnúť do ich vlastného vnútorného reportovania. Odporúča sa použitie nasledujúcich nástrojov.

#### Schéma štruktúry analýzy

Grafická prezentácia štruktúry analýzy uľahčuje platcom rozpočtu porozumieť výpočtu zmien v zdrojoch a nákladoch. Odporúča sa, aby boli v správe zahrnuté vývojové grafy alebo iné vizuálne opisy výpočtu nákladovosti, kohortového modelu, alebo individuálneho simulačného modelu s popisom jeho štruktúry.

#### Tabuľka predpokladov

Všetky hlavné predpoklady by mali byť uvedené vo forme tabuľky.

#### Tabuľka vstupných dát

Všetky hodnoty vstupných parametrov a zdroje dát a ich odvedenie by mali byť uvedené vo forme tabuľky.

#### Schematická prezentácia analýzy senzitivity

Grafy, napr. Tornado graf, ktoré graficky prezentujú efekt adekvátneho rozsahu každého vstupného parametra na dopad na rozpočet sú jednoduchou cestou na zobrazenie hlavných parametrov ovplyvňujúcich BIA. Mali by byť uvedené spolu s výsledkami scenárových analýz.

### Prílohy a zoznam literárnych zdrojov (referencie)

Odporúča sa pridanie relevantných príloh k hlavnej správe. Prílohy môžu obsahovať popis stratégie vyhľadávania dát v literatúre, súhrn dôkazov, predbežné výsledky (napr. z individuálnych stretnutí Delphi panelu) a tiež sa môžu uviesť napr. mená a adresy zúčastňujúcich sa expertov a investigátorov.

### Správa BIA predkladaná spolu s CEA

Niektoré nedávno publikované články zahŕňali opis dizajnu, metodiky a výsledkov z BIA aj CEA v jednom článku (16, 27). Napriek tomu, že obidve tieto analýzy spolu súvisia, ich dizajny si vyžadujú odlišnú štruktúru a odlišné a/alebo dodatočné odhady niektorých parametrov. Často sa vykonávajú z odlišnej perspektívy a používajú rôzny časový horizont. Pri reportovaní CEA a BIA v jednom článku alebo správe by sa mali plne uvádzať všetky zložky oboch analýz. Ďalej odporúčame, aby bola BIA reportovaná s použitím štruktúry uvedenej vyššie a na CEA odporúčame použiť formát CHEERS (Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards – Konsolidované štandardy pre reportovanie ekonomického hodnotenia v zdravotníctve) (28). Ak má časopis alebo správa obmedzenie ohľadom rozsahu, k článku by mala byť zahrnutá príloha, aby boli dostupné všetky potrebné detaily.

### Počítačový program dopadu na rozpočet

Pretože BIA musia byť dostatočne flexibilné, aby poskytli odhady pre rôznych vykonávateľov rozhodnutí v zdravotnej starostlivosti, je podstatné, aby výpočet nákladovosti alebo kohortový, či simulačný model boli dizajnované tak, aby si

mohli užívatelia do nich vložiť ich vlastné hodnoty. Program by mal tiež umožniť užívateľovi ľahko obnoviť originálne predvolené parametre. Program by mal používať jednoduché tabuľky v bežne dostupnej softvérovej platforme. Všetky vstupné parametre by mali byť prezentované v jednom liste alebo v sérii pracovných listov. Užitočné je odlišenie vstupných dát rôznymi farbami v závislosti od toho, či užívateľ môže vložiť dáta alebo nie. Výstup by mal byť zobrazený v jednej alebo viacerých tabuľkách logickým spôsobom, ktorý sumarizuje pre užívateľa finálne výsledky. Často je užitočný grafický výstup. V niektorých prípadoch môže mať platca záujem o analýzu z viacerých perspektív. V takých prípadoch možno nadizajnovat „interface“, ktorý umožňuje zmenu perspektívy, takže sa užívateľ môže ľahko pohybovať medzi rôznymi perspektívami analýzy. Program by mal obsahovať analýzu senzitivity a scenárové analýzy a mal by užívateľovi umožniť vykonať pre neho relevantné analýzy. Je potrebné uviesť tiež opis štruktúry, predpokladov a použitia modelu. Mali by byť uvedené všetky zdroje, výpočty a predpoklady súvisiace so vstupnými parametrami a plné referencie. Užívateľovi by mali byť dostupné všetky výpočty a tieto by mali byť jasne a zrozumiteľne prezentované. Súčasťou správy by mal byť dobre zdokumentovaný návod pre používateľa.

### Záver

Analýza dopadu na rozpočet je dôležitá pre ekonomické hodnotenie novej zdravotníckej intervencie. Táto aktualizovaná správa Pracovnej skupiny ISPOR poskytuje návod na vývoj analytickej štruktúry pre BIA, odporúčania pre zdroje dát pre použitie pri plánovaní rozpočtu, spoločný formát správy, ktorý zvýši konzistenciu a transparentiu a návod na dizajn počítačového programu BIA. Adherencia k týmto navrhnutým princípom dobrej výskumnej praxe nenahradí nevyhnutne špecifické odporúčania pre BIA v príslušných jurisdikciách, ale môže podporiť a rozšíriť miestne odporúčania alebo slúžiť ako podpora pre platcov, ktorí si želajú zverejniť smernice pre metodológiu.

### Podakovanie

Užitočné návrhy a komentáre k prvej verzii správy pracovnej skupiny poskytli nasledujúci členovia tímu: Lieven Anemans, PhD, C. Daniel Mullins, PhD, and Bong-Min Yang, PhD. Autori tiež ďakujú 84 členom ISPOR z 24 krajín za poskytnutie podrobných komentárov k pôvodnej verzii správy, ako aj Marii Swift z kancelárie ISPOR za excelentnú technickú a administratívnu podporu vo všetkých oblastiach práce Pracovnej skupiny.

Zdroje finančnej podpory: žiadny z autorov nedostal za účasť z tejto pracovnej skupine finančnú odmenu. Všetci autori dobrovoľne venovali svoj voľný čas diskusií, výskumu a písaniu tejto správy.

### Doplňujúce materiály

Doplňujúce materiály k tomuto článku je možné nájsť v online verzii na stránke:

<http://dx.doi.org/10.1016/j.jval.2013.08.2291> alebo kópiu tohto článku na stránke [www.valueinhealthjournal.com/issues](http://www.valueinhealthjournal.com/issues) (je potrebné vybrať ročník, číslo a článok).

## REFERENCIE

1. Mauskopf JA, Sullivan SD, Annemans L, et al. Principles of good practice for budget impact analysis: report of the ISPOR Task Force on Good Research Practices—Budget Impact Analysis. *Value Health* 2007;10:336–47.
2. Brosa M, Gisbert R, Rodríguez Barrios J M, Principios Soto J. métodos y aplicaciones del análisis del impacto presupuestario en sanidad. *Pharmacoecon Spanish Res Artic* 2005;2:65–79.
3. Mauskopf J. Prevalence-based economic evaluation. *ValueHealth* 1998;1:251–9.
4. Trueman P, Drummond M, Hutton J. Developing guidance for budget impact analysis. *Pharmacoeconomics* 2001;19:609–21.
5. Orlewska E, Mierzejewski P. Proposal of Polish guidelines for conducting financial analysis and their comparison to existing guidance on budget impact in other countries. *Value Health* 2004;7:1–10.
6. Nuijten M, Mittendorf T, Persson U. Practical issues in handling data input and uncertainty in a budget impact analysis. *Eur J Health Econ* 2011;12:231–41.
7. Garattini L, van de Vooren K. Budget impact analysis in economic evaluation: a proposal for a clearer definition. *Eur J Health Econ* 2011;12:499–502.
8. Garay OU, Caporale JE, Pichón-Riviere A, et al. Budgetary impact analysis in health: update with a model using generic approach. *Rev Peru Med Exp Salud Publica* 2011;28:540–7.
9. Department of Health and Human Services Panel on Antiretroviral Guidelines for Adults and Adolescents. Guidelines for the use of antiretroviral agents in HIV-1-infected adults and adolescents. Available from: <http://aidsinfo.nih.gov/ContentFiles/AdultandAdolescentGL.pdf>. [Accessed March 27, 2012].
10. Goel R, Svivathsan K. Newer oral anticoagulant agents: a new era in medicine. *Curr Cardiol Rev* 2012;8:158–65.
11. Chang J, Sung J. Health plan budget impact analysis for pimecrolimus. *J Manag Care Pharm* 2005;11:66–73.
12. Danese MD, Reyes C, Northridge K, et al. Budget impact model of adding erlotinib to a regimen of gemcitabine for the treatment of locally advanced, nonresectable or metastatic pancreatic cancer. *Clin Ther* 2008;30:775–84.
13. Dee A, Hutchinson M, De La Harpe D. A budget impact analysis of natalizumab use in Ireland. *Ir J Med Sci* 2012;181:199–204.
14. Smith DG, Cerulli A, Frech FH. Use of valsartan for the treatment of heart-failure patients not receiving ACE inhibitors: a budget impact analysis. *Clin Ther* 2005;27:951–9.
15. Mauskopf J. Meeting the NICE requirements: a Markov model approach. *Value Health* 2000;3:287–93.
16. Marchetti M, Caruggi M, Colombo G. Cost utility and budget impact of third-generation aromatase inhibitors for advanced breast cancer: a literature-based model analysis of costs in the Italian National Health Service. *Clin Ther* 2004;26:1546–61.
17. Caro JJ, Huybrechts KF, Xenakis JG, et al. Budgetary impact of treating acute bipolar mania in hospitalized patients with quetiapine: an economic analysis of clinical trials. *Curr Med Res Opin* 2006;22:2233–42.
18. Mar J, Sainz-Ezkerra M, Miranda-Serrano E. Calculation of prevalence with Markov models: budget impact analysis of thrombolysis for stroke. *Med Decis Making* 2008;28:481–90.
19. Purmonen TT, Auvinen PK, Martikainen JA. Budget impact analysis of trastuzumab in early breast cancer: a hospital district perspective. *Int J Technol Assess Health Care* 2010;26:163–9.
20. Martin EG, Paltiel AD, Walensky RP, Schackman BR. Expanded HIV screening in the U.S.: what will it cost government discretionary and entitlement programs? A budget impact analysis. *Value Health* 2010;13:893–902.
21. Mar J, Arrospide A, Comas M. Budget impact analysis of thrombolysis for stroke in Spain: a discrete event simulation model. *Value Health* 2010;13:69–76.
22. Colin X, Lafuma A, Costagliola D, et al. Modelling the budget impact of darunavir in the treatment of highly treatment-experienced, HIV-infected adults in France. *Pharmacoeconomics* 2010;28(Suppl.1):183–97.
23. Caro JJ, Briggs AH, Siebert U, et al. Modeling good research practices—overview: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force—1. *Value Health* 2012;15:796–803.
24. Briggs AH, Weinstein MC, Fenwick E, et al. Model parameter estimation and uncertainty analysis: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force—6. *Value Health* 2012;15:835–42.
25. Eddy DM, Hollingworth W, Caro JJ, et al. ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practice Task Force. Model transparency and validation: a report of the ISPOR-SMDM Modeling Good Research Practices Task Force—7. *Value Health* 2012;15:843–50.
26. Arlandis S, Castro D, Errando C, et al. Cost-effectiveness of sacral neuromodulation compared to botulinum neurotoxin or continued medical management in refractory overactive bladder. *Value Health* 2011;14:219–28.
27. Chiao E, Meyer K. Cost effectiveness and budget impact of natalizumab in patients with relapsing multiple sclerosis. *Curr Med Res Opin* 2009;25:1445–54.
28. Husereau D, Drummond M, Petrou S, et al. Consolidated Health Economic Evaluation Reporting Standards (CHEERS)—explanation and elaboration: a report of the ISPOR Health Economic Evaluation Publication Guidelines Good Reporting Practices Task Force. *Value Health* 2013;16:231–50.