

Některá úskalí přístupu nových léků na trh

Jindřich Fínek

LF a FN

Plzeň



Některá úskalí přístupu nových léků na trh

- Ekonomická (cena, úhrada, nákladová efektivita, dopad do rozpočtu)
- Etická
- Metodologická

Etika

- Orphan diagnózy versus časté ?
- Kontrolní skupina u individualizované / cílené léčby
- Když není, jak vyjádřit klinický benefit léčby?
- Nepřímé srovnání? Budou je plátcí akceptovat?

Metodologie (1): Komparátor

- Je nutné srovnávat novou intervenci se všemi možnými alternativami?
- Nestačí současný „zlatý standard“?
- Co když je „zlatý standard“ v době prezentace registrační studie zkorodovaný
- Co dělat, když je intervence registrována na základě studie bez komparátoru a HTA agentura / plátce ji vyžaduje?

Metodologie (2): výsledky

- Je nutné čekat na OS?
- Paradoxně intervence, které nejvíce prodlužují život, by čekaly na výsledek OS nejdéle.
- Při možnosti užít studovanou intervenci i pro pacienty, kteří byli v kontrolní větvi, po selhání komparativní intervence, OS nemůže být určující pro stanovení klinického benefitu studované intervence (obě větve pacientů ji užívaly)
- Kdy je možné zvolit „zástupný“ parametr a který?

Metodologie (3): Klinický benefit

- Jaký sledovat?
- Jaký rozdíl je klinicky významný? Je to opravdu statistická významnost?

Existuje řešení?

