

Implementation of health technology assessment in Central and Eastern European countries and its impact on pricing and reimbursement decisions

Doctoral (PhD) Thesis

Marcell Csanádi

University of Pécs, Faculty of Pharmacy

Doctoral School of Pharmacology and Pharmaceutical Sciences

Supervisors:

Prof. Dr. Lajos Botz

Prof. Dr. Zoltán Kaló

Head of Doctoral School: Prof. Dr. Erika Pintér

Pécs

2021

1. Introduction

Countries employ a mix of regulatory mechanisms to contain pharmaceutical expenditure while ensuring quality and efficiency in patient care, however with varying configurations and rigor [1]. While regulations might differ, accessibility to new medicines has become an important health policy issue all over Europe in recent decades. Particularly, high-priced medicines have pushed the issue of patient access high on the policy agenda [2].

Health technology assessment (HTA) is a health policy tool using a systematic approach to support prioritization in healthcare funding and it aims to help policymakers obtain better value for their money. Ideally, this should consequently lead to a more rational and targeted investment of available resources via the reimbursement of cost-effective medicines and other healthcare technologies [2]. In other words, HTA aims to reduce the opportunity cost of inappropriate health policy and resource allocation decisions [3]. The approach of HTA includes systematic examination of the short- and long-term consequences, in terms of health and resource use, of the application of a health technology, a set of related technologies or a technology related issue [4]. By its nature, HTA is a multidisciplinary activity which systematically evaluates the effects of a technology on health, on the availability and distribution of resources and on other aspects of the healthcare system performance [4].

HTA is increasingly utilized to inform reimbursement decision-makers in Europe [5]. In most countries HTA is used initially for pharmaceuticals and it is implemented in the form of Single Technology Appraisal process. This process involves the submission of an evidence dossier by the manufacturer of the technology [6]. These submitted evidence dossiers from here on will be referred to as HTA reports in the dissertation. The content and the requirements for such reports differ by countries, but usually include at least information on the efficacy from clinical trials, the expected effectiveness in the real world, economic evaluations estimating the cost-effectiveness and budget impact analyses. The preparation of HTA reports is supported by national guidelines detailing how to prepare the required analyses. These documents contain instructions on how to conduct for instance pharmacoeconomic evaluations of medicines with appropriate methodology. In the Single Technology Appraisal process, the submitted HTA reports are usually evaluated by internal

or external experts of the HTA body, whose appraisal contributes to making pricing and reimbursement decisions about health technologies. This process can also be standardized by checklists for critical appraisal, which can further improve the objectivity in the HTA process. These are mostly internal documents within an HTA organization but some of these have also been placed in the public domain [7].

The effectiveness of an HTA system depends on its influence: the extent to which information provided for decision support (i.e. in the HTA reports and in the consecutive appraisal) and then later on the extent to which this information is used by decision-makers. This influence or impact is represented by the actual role of HTA in the process of pricing and reimbursement decision-making [8]. Although it is expected that HTA will lead to improved and more equitable allocation of resources in health care due to its evidence-based approach, the empirical evidence of the HTA's impact on either health outcomes or spending is still scarce [9]. In addition the current European HTA environment is very diverse [5]. Therefore, it is difficult to make any general conclusions concerning the impact of HTA since its investigation cannot be conducted without considering regional- or country-specific contexts.

A massive body of evidence is available on the implementation of HTA in Europe [5]. These general overviews are important to capture the most basic information at a health system level. However, Central and Eastern European (CEE) countries are less likely to be involved in more in-depth policy research on important aspects of HTA implementation such as: comparison of reimbursement recommendations by HTA agencies on a list of pharmaceuticals [10, 11]; comprehensive exploration on the potential underlying reasons for different reimbursement recommendations [12]; assessing the definition of value in the HTA for medicines in different jurisdictions [13]; comparison of value assessment methodologies by European countries [14]; defining the role and the governance of HTA in coverage and pricing decisions [15]. These studies along with other examples, claim that their objective was to provide a European perspective, however, they frequently neglect countries from the CEE region (or in few instances one country from the region was included). This shows that HTA in CEE is slightly overlooked in the current literature on HTA implementation.

2. Objectives and scope

The general objective of this dissertation is to conduct a policy research and investigate the implementation of HTA in CEE countries from different aspects of health policy. These aspects reflect on key issues of HTA implementation for which currently the evidence is limited in the investigated CEE countries. Accordingly, the following diverse research questions regarding the HTA implementation were proposed, for which this dissertation provides answers:

- 1) How to establish an HTA system in a country where HTA formerly was not used before?
What key recommendations can be defined based on the perspective of different national stakeholders?
- 2) Who are those involved in the preparation of the HTA reports of pharmaceuticals intended to be used for decisions? How these actors operate? Are the HTA reports prepared appropriately to support the decision-making process?
- 3) How and to what extent is HTA utilized for actual decision-making in practice? What is the impact of a national HTA agency responsible for appraising the submitted HTA reports on pricing and reimbursement decisions?

To answer these questions, three countries were selected as case studies and the following specific objectives were outlined:

- **Ukraine** was selected to answer the first research question as there was no formal HTA in place in this country before 2016. Although the recognition of the need for evidence based decision-making dates back to 2013, the first attempt to introduce HTA for pharmaceuticals was never implemented nationally [16]. Then a new reform of the regulation of pharmaceutical pricing and reimbursement took place in 2016-2017 including a program that gave HTA special attention as an important objective for their healthcare reforms.

Therefore, *the first part of this dissertation aimed 1) to describe the environment of HTA at the initiation point of its implementation; and 2) to explore the long-term perspectives for HTA based on the input of a wide range of stakeholders.*

- **Poland** was selected to answer the second research question because the country has a long history of HTA as the national agency for HTA (called AHTAPol) responsible for reviewing HTA reports of pharmaceuticals was established in 2005 [17]. Furthermore, over the years, the Polish system has become more and more transparent and has ensured the public availability of documents generated at various stages of the HTA process [18].

Therefore, *the second part of this dissertation aimed 1) to explore who are those preparing the national HTA reports of pharmaceuticals; 2) to describe the market and the operation of HTA doers; and 3) to analyse the extent to which these HTA reports meet the official requirements published by the Ministry of Health.*

- **Hungary** selected to answer the third research question in that similar to Poland, Hungary also has a long tradition in HTA, having established a national HTA Department in 2004, an organization tasked with reviewing HTA reports for making recommendations on the reimbursement of health technologies, most importantly on pharmaceuticals [19]. Although there have been detailed studies on particular elements of the HTA system, there is a lack of adequate understanding of how HTA can actually impact the decision-making on public reimbursement in Hungary.

Therefore, *the third part of this dissertation aimed 1) to identify institutional characteristics of HTA that may either facilitate or restrict the decision supporting role of the public HTA body; 2) to assess the influence of the public HTA body on other key stakeholders engaged in the reimbursement decision-making process; and 3) to determine whether the current operational form of the HTA process delivers 'good value for the money' based on the opinion of various stakeholders.*

3. Methodologies of the case studies

3.1 Survey for the Ukrainian case study

We conducted a survey among different stakeholders: the National Essential Medicines List (NEML) Committee members (with different primary affiliations including academia and healthcare providers), Ministry of Health representatives and representatives of pharmaceutical companies and patient organizations. We applied purposive sampling, aiming to include individuals with an in-depth understanding of pharmaceutical pricing and

procuring in Ukraine. Respondents were identified by the NEML Committee leadership who had extensive network of Ukrainian experts. We used the published HTA implementation survey designed to support the formulation of HTA roadmaps [20].

A glossary of the key terms and expressions related to the HTA implementation roadmap was also distributed with the questionnaire electronically to facilitate the common understanding and prevent misuse of the survey. The glossary contained explanations in few sentences and examples or where relevant references to the key terms. The survey was distributed electronically with personal invitations to participate in the study. The survey informed participants in a written form that the individual survey participation will be kept strictly confidential and only aggregated results will be disseminated. Respondents were anonymized after receiving the completed answer sheet. All invited stakeholders filled in the survey. Answers were received between June and July 2016. Opinions of the respondents about the HTA implementation in Ukraine were collected and aggregated in eight dimensions: capacity building, HTA financing, process and organizational structure, scope of HTA, decision criteria, standardization of methodology, use of local data and international collaboration.

Completed surveys were considered valid if not more than three answers were missing or invalid from the full survey (17 questions). Results of an invalid survey were excluded from the dataset. During the data processing of valid surveys, the invalid answers of the included surveys were not considered, therefore those had no influence on the results presented in the dissertation. Individual results were aggregated and the distribution of survey answers were calculated as percentages of the total sample.

3.2 Document analysis for the Polish case study

We adopted a mixed methods study design. We analysed all data descriptively in Excel.

To identify the authors of the HTA reports submitted by drug manufacturers we downloaded and reviewed materials from the AHTAPol website [21]. We considered HTA reports submitted to the AHTAPol between 2012 and 2015. We selected 2012 as the start date because in this year the AHTAPol started publishing HTA reports under the provisions of the Reimbursement Act in 2011. We ended our analysis in 2015, as this was the last year

for which a full set of HTA reports was available at the time of data collection. We downloaded and reviewed all analyses available as part of each HTA report, namely decision problem analysis, clinical assessment, economic analysis, budget impact analysis, and rationalization analysis. Given frequent redactions in the available analyses (e.g. author names or organizational details were removed), we had to rely, where necessary, on logos, document design or website links to identify authors of analyses.

To analyze the HTA market structure we calculated the market share of each identified company. We calculated the number of HTA reports prepared by HTA consultancy firms on a yearly basis. We estimated the size of the Polish HTA market using the number of HTA reports prepared by each HTA consultancy firm and their annual net revenues from sales obtained from the Polish National Company Registry [22]. As the data included in the Registry was limited and insufficiently detailed, our calculations are based on certain assumptions.

To describe evolution and the key activities of HTA consultancy firms we analyzed data downloaded in June and July 2018 from the websites of HTA consultancy firms we had identified. We extracted the year of establishment, location, mission statement, number of employees, services provided and partner or collaborator organizations from the English language version of the websites. Due to the heterogeneity of information available on services and mission statements, information was coded inductively, and then at a later stage codes were merged and code families and networks were established, to best reflect the main themes emerging from the data.

Finally, we investigated the quality of the HTA reports, understood as compliance with the submission requirements specified by the Ministry of Health (MoH) [23]. Specifically, we examined verification analyses (VAs), which are documents in which the AHTAPol appraises HTA reports [18]. We considered VAs issued in 2012-2015 in which all four types of analyses included in this study were prepared by the same consultancy firm. For each company we calculated the percentage of HTA reports that met the MoH requirements among the total HTA reports. We also collected data from VAs on whether 1) at least one specific reason for not meeting the minimum requirements was provided by the AHTAPol; 2) the MoH requested the applicant to supplement the reimbursement application, including the HTA

reports; 3) revised HTA reports were provided by the applicant; and 4) the revised HTA reports took into account the remarks for not meeting the minimum requirements.

3.3 Interviews for the Hungarian case study

We applied a single case study approach using qualitative data from in-depth, semi-structured expert interviews with major stakeholders involved in HTA in Hungary. The interviews were conducted between August 2016 and January 2017 in Budapest. We applied purposive sampling, aiming to include key categories of stakeholders involved in the HTA procedures in Hungary, namely the HTA Department, the National Health Insurance Fund, the Ministry responsible for health (i.e. Ministry of Human Capacities), academia, manufacturers, consultant companies, and patient organisations. The vast majority of interviews were conducted in person; only 4 interviews took place via Skype. A typical interview lasted around one hour.

Potential interviewees were selected based on their current or previous institutional affiliations, their expert status evidenced by, for example, authoring scientific articles or participation in relevant conferences, or recommendations by other interviewees. The expert knowledge of our interviewees was also evidenced by their multiple prior affiliations. The interview guide was agreed on at the beginning of the fieldwork and comprised mainly broad open-ended questions. These questions asked the interviewees' opinions on the following topics: the most important benefits of HTA in Hungary; potential benefits which cannot be achieved with the current HTA system; key challenges facing the HTA process in Hungary; is the system being fit for its purpose?; transparency of procedures; costs associated with HTA in Hungary.

Additionally, more detailed questions were also asked in subsequent interviews, drawing on emerging results. These concerned issues such as: movement of professionals between the private and public sector; the market for HTA consultancies; the quality of HTA dossiers; the data availability for appraisals by the HTA Department.

We encouraged interviewees to elaborate on their points in depth to maximise the value of their unique expert knowledge. We contacted 33 individuals and with 7 non-responses or refusals, we achieved a 79% response rate. Non-responses were distributed evenly across

the key stakeholder categories, with the exception of medical professionals whom we were unable to reach.

Our research was approved by the Ethics Committee at the Department of Sociology at the University of Cambridge. All interviewees were briefed about the objectives of the study, the interview procedure, and our intention to analyse data and publish our findings. We reassured interviewees about our commitment to protecting their anonymity by creating broad interviewee categories. As an additional reassurance, we offered them the option of accepting or refusing tape recording. Six interviewees refused such a recording. In these cases, extensive notes were taken during and immediately after the interview.

For each interview, detailed interview protocols in English, omitting redundant material clearly irrelevant to our research, were prepared. A thematic analysis [24], facilitated by NVivo 10, allowed an initial coding of the interviews based on concepts derived from the research questions. At a later stage, some codes were collapsed and code families and networks were established, to best reflect the main themes emerging from the data. Since many of the interviews were recorded in Hungarian, they were paraphrased in English. Where statements offered by the interviewees differ, we chose quotations that appeared the most appropriate in light of the entire dataset.

4. Summary of key results

4.1 Results of the Ukrainian case study

A total of 33 Ukrainian stakeholders filled in the survey and one survey was considered invalid due to the high number of missing answers. From the total sample of 32 included surveys, 21 (66%) of the participants were employed in the public, 9 (28%) in the private sector and 2 (6%) indicated employment in both sectors as multiple affiliations were allowed to report. More specifically, among the respondents there were 10 potential HTA users (decision-maker, policymaker or payer roles), 10 individuals with academic affiliations, 1 public healthcare provider, 9 healthcare industry representatives, 1 consultant and 3 representatives of patient organizations. All survey respondents represented Ukraine. Forty-eight percent of respondents were not aware of HTA training in Ukraine, but 91% preferred having either a graduate or postgraduate training. Experts stated that funding for

HTA research and for critical appraisal of HTA submissions was limited, but in the future, they would increase funding mainly from public sources. A public HTA agency with academic support was the most preferred organizational structure. Eighty-eight percent of respondents opted for full transparency, making the HTA agency's recommendations and the related appraisal reports publicly available. A great majority of participants preferred mandating the use of local data in certain categories and indicated the importance of evaluating the transferability of international evidence. Healthcare priority and cost-effectiveness were the most important criteria for decisions, applied with a soft explicit threshold for decision-making.

In summary, Ukraine is in the early phase of implementing HTA and our study provides a clear vision of national stakeholders about the future directions.

4.2 Results of the Polish case study

In total, we analysed 336 manufacturer submissions, with 63, 80, 106 and 87 coming from 2012, 2013, 2014 and 2015, respectively. We excluded 12 submissions as they were either not available online or were duplicated in the database. Duplication occurred when a manufacturer submitted exactly the same HTA report for different forms of administration of the same drug. We excluded six further applications because the analyses comprising the HTA reports were prepared jointly by more than one consultancy. Following these exclusions, 318 manufacturer submissions were analysed (inclusion rate: 94.6%). We identified HTA consultancy firms which developed more than 95% of the included HTA reports. We found that the transparency of information about the authors of HTA reports provided by the HTA body had improved between 2012 and 2015. Six companies with market shares from 10 to 30% dominated the market. The market shares of the six major companies were relatively stable over the years. The market size was estimated to be 5–6 million EUR annually. HTA consultancies had a broad service portfolio related to preparation of HTA reports.

According to the reviewed VAs issued by AHTAPol only 6.6% of the reviewed HTA reports satisfied the minimum quality requirements set out by the MoH. According to the AHTAPol, 91.2% HTA reports did not meet the requirements, and the remaining 2.2% were unclear. The AHTAPol explained why the requirements were not met only in 33.8% of the cases, did

not provide any reasons in 65.7% of the cases, and in one case a reason was not clear. Within the reports that did not meet the requirements, the applicant provided revised analyses in 75.8% of the cases. Finally, we analysed those sections of the VAs which reported whether the revised analyses took into account all AHTAPol's remarks. From those revised analyses when the applicant provided revised analyses, 45.2% of the cases took into account the remarks 39.5% did not and in 15.3% of the cases it was not clear.

Our study provides insights into the structure, evolution and role of the for-profit HTA consultancy market as a crucial part of the public HTA system. This raises important policy points about transparency and regulation at the intersection of public and private sectors in HTA.

4.3 Results of the Hungarian case study

We demonstrated the importance of considering institutional context of HTA, using the case study of Hungary, a country that has pioneered HTA in Central and Eastern Europe. We conducted 26 in-depth, semi-structured interviews with public- and private-sector stakeholders.

Our findings show that although the Hungarian HTA body fulfils its intended formal role of supporting evidence-based policymaking, it faces major institutional constraints. The contributions of HTA to the pricing and reimbursement process is limited to the earliest phases, without considering subsequent contributions (e.g. involvement in pricing negotiations or revision procedures). We also found that the perceived influence of an HTA body on the reimbursement process may be limited, indicated by its inferior position in relationships with payers and health policymakers. Despite calls for increased openness of HTA as one of the founding principles of the field, in practice HTA can be associated with limited transparency and insufficient consultation with experts, manufacturers and patient organizations in Hungary. However, results from the Hungarian case also suggest that an HTA body may have a positive impact on the development of a broader HTA system in a country, by laying the foundational infrastructure of evidence-based policymaking in healthcare and promoting an understanding of internationally accepted HTA principles.

While costs and benefits of the Hungarian HTA system were difficult to quantify, there was strong scepticism as to whether it represented “good value for money”. It is quite unusual that none of our interviewees mentioned financial or health benefits of the HTA system, as the benefits of HTA are typically thought of in monetary terms or savings and a more rational use of resources. A reason for this can be the methodological challenge of estimating the benefits of HTA for populations or health systems. We can also attribute this non-finding to the lack of influence that the Hungarian HTA Department has on eventual reimbursement decisions. Despite the shared diagnosis of the major drawbacks of the HTA process, including the lack of access to actual prices, lack of transparency or capacity limitations at the HTA Department, none of the major stakeholders seemed to have a sufficient interest in initiating substantive reforms.

4. Novel findings

The novel findings of the dissertation are presented below and they cover 8 topics from the 3 case studies. Results for each topic are described briefly in 2-4 bullet points highlighting the key points. The first 2 topics relate to the implementation of the HTA (current and preferred future status). The next 3 topics cover how HTA reports are prepared and evaluated. The final 3 topics outline the influence of HTA.

1) The environment of HTA at the initiation point of its implementation (Ukrainian case study)

- When the need for improving the evidence base of healthcare decision-making is recognized at national level the implementation of HTA becomes important.
- Without comprehensive HTA-related trainings the human resource capacities that are necessary for the systematic and comprehensive approach of HTA cannot be ensured.
- Until it has no formal role in the reimbursement decisions and standardized procedures along with quality assurance tools are missing, the HTA cannot contribute to better allocation of resources at health policy level.

2) Long-term perspectives for HTA based on the input of a wide range of stakeholders (Ukrainian case study)

- The establishment of graduate and postgraduate educational programmes is preferred for training experts who can contribute to the preparation of HTA reports, perform high-quality appraisals and conduct HTA-related policy research.

- Ensuring sufficient public resources by policymakers committed to evidence-based decisions is considered a key success factor of the implementation.
- The locally collected evidence for the analyses in the HTA reports should receive high priority, in order to make informed, evidence-based decisions, and cost-effectiveness analyses should be considered as a key input.
- The objectivity of HTA recommendations can be facilitated by the establishment of a transparent system with academic collaborations.

3) Exploratory research on who prepares the national HTA reports of pharmaceuticals (Polish case study)

- The market for preparing HTA reports of pharmaceuticals is dominated by a limited number of companies providing consultancy services, while new market entrants providing similar services face strong market entry barriers.
- The consultancy firms can accumulate significant expertise and strong working relationships with their clients (i.e. manufacturers).

4) Description of the market and the operation of HTA doers (Polish case study)

- The HTA consultancy market for pharmaceuticals in Poland is estimated to be approximately 5–6 million annually.
- The consultancy firms together possess a significant amount of manpower in the field of HTA research, even when compared to the national public HTA body.
- While the preparation of HTA reports for manufactures remains the core activity of consultancy firms, they are able to expand their services considerably and provide new types of services.

5) Analysis on the extent to which HTA reports meet the official requirements (Polish case study)

- Publicly available documents from the HTA body can be used to systematically explore whether the submitted HTA reports can meet the official criteria published by the local authorities.
- Published documents can also be used to further investigate whether the formal feedback by the HTA body is taken into account during the resubmission of HTA reports not meeting the criteria.
- Major concerns can be raised about the Polish HTA process which relies heavily on manufacturer submissions. These concerns are related to either the quality of the HTA reports or the expectations by the local authority.

6) Institutional characteristics of HTA that may either facilitate or restrict the decision-supporting role of a public HTA body (Hungarian case study)

- Even when an HTA body fulfils its intended formal role of supporting evidence-based policy-making, it could face major institutional barriers limiting its actual impact in public reimbursement decisions.
- Low levels of transparency in HTA procedures coupled with limited organizational capacity, particularly in human resources can be the key barriers.

7) The influence of the public HTA body on other key stakeholders engaged in the reimbursement decision-making process (Hungarian case study)

- The HTA body's impact is limited, when its contribution to the pricing and reimbursement process is restricted to the earliest phases without considering the potential subsequent contributions.
- The limited influence of the HTA body on the reimbursement process can be also indicated by its inferior position in relationships with other stakeholders, particularly payers and health policymakers.
- The HTA body can have however, a positive impact on the development of a broader HTA ecosystem by laying down the foundational infrastructure of evidence-based policy-making.

8) Judgement on whether the HTA system delivers 'good value for the money' based on the opinion of various stakeholders (Hungarian case study)

- Strong skepticism may arise regarding whether the HTA body represents 'good value for the money' when its benefits are negligible for the health system.
- Despite the minimal benefits, situations might occur when none of the major stakeholders of the HTA system have sufficient interest in initiating substantive reforms.

5. Discussion and conclusion

The use of HTA has been increasing worldwide and its potential for improving healthcare decision-making is widely acknowledged. The standardized methodology and transparent procedures of HTA ideally should lead to a more rational and targeted investment of available resources via reimbursing cost-effective and affordable medicines and other healthcare technologies. However, the implementation of an impactful HTA system is very resource intensive, therefore ensuring sufficient human and financial resources is a key success factor along with a supportive institutional environment.

In the current scientific literature the HTA implementation in CEE countries is slightly overlooked and there is a lack of in-depth analysis particularly, compared to higher income Western European countries. The few studies that were conducted in CEE show that there

is a high level of heterogeneity related to the development of HTA structures, methods used and processes followed. Therefore, this doctoral thesis aimed to investigate the implementation of HTA in CEE countries from different aspects of health policy. In this dissertation 3 sets of research questions were defined for 3 CEE countries reflecting on key issues of HTA implementation for which currently the evidence is limited. Different methodologies were used to answer the research questions.

The first study focused on Ukraine and answered questions regarding how to establish an HTA system in a country where HTA formerly was not used before based on a survey. It explored the opinion of local stakeholders and identified the strategic directions that should be followed in the country. Specific recommendations were given for capacity building, facilitation of generating and using local data for evaluations, and for taking a multi-stakeholder approach in the HTA process such as involvement of academic partners to support HTA-related research. The second study focused on Poland and questions concerning those who are involved in the preparation of the HTA reports of pharmaceuticals intended to be used for reimbursement decisions. This unique study relied mainly on document analysis and identified HTA consultancy firms who are private companies that generate or synthesize evidence and input for funding decisions. We found a highly concentrated market with companies who developed a broad service portfolio related to the preparation of HTA reports. The study showed that a great majority of HTA reports prepared by consultancies did not meet the official minimum quality requirements, which raises important policy issues about the current regulations of HTA in Poland. The third study focused on Hungary and answered questions regarding how and to what extent HTA is utilized for actual decision-making in practice based on semi-structured interviews with experts. The study showed that the Hungarian HTA body fulfilled its formal role defined in the legislation, however, its potential for supporting evidence-based decision-making in practice was very limited. The HTA body's influence was reported to be constrained by other stakeholders such as the national payer organization and policy-makers, as well as its own limited organizational capacity. Furthermore, the work of the HTA body was characterized by a low level of transparency and lack of stakeholder engagement.

An important methodological strength of this dissertation was the combination of different methodologies that were used to answer the proposed research questions. A qualitative

survey was used among Ukrainian stakeholders, document analysis and content analysis of publicly available materials were conducted in Poland and in-depth semi-structured interviews with experts were performed in Hungary. Another key strength was that the research questions were specifically targeted to the context of the investigated countries which reflected on research gaps identified by a set of former research studies completed before this dissertation. The research questions were also aligned with the history and tradition of HTA implementation in the investigated countries.

Since the case studies were specifically targeted to the investigated countries, their scope was limited from many aspects. Therefore, in the discussion part of this dissertation detailed general descriptions were provided for each of key limitation. The global perspectives of HTA chapter discussed the initiatives to overcome the national scope of HTA but also explained the challenges that still lead to the fragmented operation of HTA systems. The evaluation of non-pharmaceutical technologies chapter explained the emerging scientific research related to the evaluation of medical devices. It also highlighted the specific issues that limit the applicability of HTA in this area (i.e. finding the right balance between pre-market and post-market regulations). The chapter on HTA research from other social science fields showed how other disciplines could complement the health policy research in responding to the so far unanswered questions on HTA, such as what the broader social implications of HTA are. Finally, the alternative reimbursement schemes explained that relying solely on HTA cannot deliver a prompt solution to all allocation problems. Therefore, healthcare policymakers are using different tools and regulations and are trying to find a balance between employing more standardized evidence-based decision-making supported by HTA and alternative access schemes without HTA input in granting patient access to high-cost pharmaceuticals while ensuring affordability.

List of scientific publications related to the dissertation

First-authored scientific papers in peer-reviewed journals that were used as a basis for the dissertation:

- **Csanádi M**, Inotai A, Oleshchuk O, Lebega O, Alexandra B, Piniashko O, Németh B, Kaló Z. *Current status and future perspectives of health technology assessment implementation in Ukraine*. International Journal of Technology Assessment in Health Care. 2019. 35(5): 393-400
- **Csanádi M**, Ozierański P, Löblová O, King L, Kaló Z, Botz L. *Shedding light on the HTA consultancy market: Insights from Poland*. Health Policy. 2019. 123: 1237–1243
- **Csanádi M**, Löblová O, Ozierański P, Harsányi A, Kaló Z, McKee M, King L. *When health technology assessment is confidential and experts have no power: the case of Hungary*. Health Econ Policy Law. 2019. 14(2):162-181.

First-authored or co-authored scientific papers published in peer-reviewed journals used for the introduction and the discussion parts of this dissertation.

- **Csanádi M**, Kaló Z, Prins CPJ, Grélinger E, Menczelné Kiss A, Fricke FU, Fuksa L, Tesar T, Manova M, Lorenzovici L, Vokó L, Garrison LP. *The implications of external price referencing on pharmaceutical list prices in Europe*. Health Policy and Technology. 2018. 7(3): 243-250.
- Rais C, Kaló Z, **Csanádi M**, Negulescu V. *Current and future perspectives for the implementation of health technology assessment in Romania*. Health Policy and Technology. 2020. 9:45-52.
- Löblová O, Trayanov T, **Csanádi M**, Ozierański P. *The emerging social science literature on health technology assessment: a narrative review*. Value in Health. 2020. 23(1):3-9.
- Löblová O, **Csanádi M**, Ozierański P, Kaló Z, King L, McKee M. *Patterns of alternative access: Unpacking the Slovak extraordinary drug reimbursement regime 2012-2016*. Health Policy. 2019. 123(8):713-720.
- Löblová O, **Csanádi M**, Ozieranski P, Kaló K, King L, McKee M. *Alternative access schemes for pharmaceuticals in Europe: Towards an emerging typology*. Health Policy. 2019. 123: 630–634.
- Ozierański P, Löblová O, Nicholls N, **Csanádi M**, Kaló Z, McKee M, King L. *Transparency in practice: Evidence from 'verification analyses' issued by the Polish Agency for Health Technology Assessment in 2012-2015*. Health Econ Policy Law. 2019. 14(2):182-204.
- Németh B, **Csanádi M**, Kaló Z. *Overview on the current implementation of health technology assessment in Hungary*. Int J Technol Assess Health Care. 2017. 33(3):333-338 2017.
- Rosselli D, Quirland-Lazo C, **Csanádi M**, Ruiz de Castilla EM, González NC, Valdés J, Abicalaffe C, Garzón W, Leon G, Kaló Z. *HTA Implementation in Latin American Countries: Comparison of Current and Preferred Status*. Value in Health Regional Issues. 2017. 14: 20-27.
- Inotai A, **Csanádi M**, Harsányi A, Németh B. *Drug Policy in Central Eastern Europe – Hungary*. Value in Health Regional Issues. 2017. 13:16-22.
- Kaló Z, Gheorghe A, Huic M, **Csanádi M**, Kristensen FB. *HTA implementation roadmap in Central and Eastern European countries*. Health Economics. 2016. 25(Suppl 1):179-92.

Acknowledgement

I am truly grateful for the support of countless people who helped me during my PhD studies. I honestly believe that the collaboration with other people is the most important thing in achieving important goals in life. My PhD research was a prime example of this.

I would like to name a few people, who deserve special recognition.

First of all, I would like to thank my wife, Enikő, and our daughter, Bianka, who always help to keep my focus on the most important things in life.

My deepest gratitude goes to my supervisors. Prof. Lajos Botz, thank you for the opportunity to join to your team in Pécs. Prof. Zoltán Kaló, thank you for your trust and for your leadership that gives the solid foundation of my scientific carrier. I am grateful for your mentorship, which gives me the motivation to achieve my goals.

I feel blessed to work at Syreon Research Institute, and I am truly grateful to all my colleagues for their support. My PhD could not be completed without the help of my senior colleagues: Prof. Zoltán Vokó, Dr. András Inotai, Dr. János Pitter, Dr. Balázs Nagy, Dr. Tamás Ágh, Dr. Antal Zemplényi, Dr. György Széles, Dr. Bertalan Németh, and Dr. Tamás Zelei. I learn a lot from all of you every day.

I was lucky to work with a long list of distinguished researchers during my PhD research. I feel even luckier to call some of them my friend. Dr. Piotr Ozieranski, you are a brilliant researcher and a great person to work with. András Harsányi, we shared the hard times and the good times of the PhD studies together and thank you for all your support. Dr. Olga Löblová, you provided some key input for my research and I really appreciate that.

I am grateful for all the people at University of Pécs who helped me along the way.

Last but not least, I am thankful for my parents and my brother who always encouraged and supported me in my life. Thank you for raising me right.

References

1. Panteli, D., et al., *Pharmaceutical regulation in 15 European countries review*. Health Syst Transit, 2016. **18**(5): p. 1-122.
2. Vogler, S., et al., *How Can Pricing and Reimbursement Policies Improve Affordable Access to Medicines? Lessons Learned from European Countries*. Appl Health Econ Health Policy, 2017. **15**(3): p. 307-321.
3. Németh, B., et al., *The transferability of health technology assessment: the European perspective with focus on central and Eastern European countries*. Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res, 2020. **20**(4): p. 321-330.
4. Velasco-Garrido M and B. R, *Health technology assessment – An introduction of objectives, role of evidence, and structure in Europe*. European Observatory on Health Systems and Policies. European Observatory on Health Systems and Policies - Policy brief, 2005. Available at: http://www.euro.who.int/_data/assets/pdf_file/0018/90432/E87866.pdf?ua=1 Accessed: 01.25.2020.
5. Allen, N., et al., *Development of archetypes for non-ranking classification and comparison of European National Health Technology Assessment systems*. Health Policy, 2013. **113**(3): p. 305-12.

6. Carroll, C., et al., *The Type and Impact of Evidence Review Group Exploratory Analyses in the NICE Single Technology Appraisal Process*. Value Health, 2017. **20**(6): p. 785-791.
7. Inotai, A., et al., *Attempt to increase the transparency of fourth hurdle implementation in Central-Eastern European middle income countries: publication of the critical appraisal methodology*. BMC Health Serv Res, 2012. **12**: p. 332.
8. Hailey, D., et al., *INFLUENCE OF HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT AND ITS MEASUREMENT*. Int J Technol Assess Health Care, 2016. **32**(6): p. 376-384.
9. Loblova, O., *What has health technology assessment ever done for us?* J Health Serv Res Policy, 2018. **23**(2): p. 134-136.
10. Akehurst, R.L., et al., *Variation in Health Technology Assessment and Reimbursement Processes in Europe*. Value Health, 2017. **20**(1): p. 67-76.
11. Allen, N., et al., *A Comparison of Reimbursement Recommendations by European HTA Agencies: Is There Opportunity for Further Alignment?* Front Pharmacol, 2017. **8**: p. 384.
12. Nicod, E., et al., *Why do health technology assessment drug reimbursement recommendations differ between countries? A parallel convergent mixed methods study*. Health Econ Policy Law, 2019: p. 1-17.
13. Antonanzas, F., R. Terkola, and M. Postma, *The Value of Medicines: A Crucial but Vague Concept*. Pharmacoeconomics, 2016. **34**(12): p. 1227-1239.
14. Angelis, A., A. Lange, and P. Kanavos, *Using health technology assessment to assess the value of new medicines: results of a systematic review and expert consultation across eight European countries*. Eur J Health Econ, 2018. **19**(1): p. 123-152.
15. Sorenson, C., *The role of HTA in coverage and pricing decisions: A cross-country comparison*. Euro Observer. The Health Policy Bulletin of the European Observatory on Health Systems and Policies., 2009. **11**(1).
16. WHO, *Access to new medicines in Europe: technical review of policy initiatives and opportunities for collaboration and research*. 2015. Available at: http://www.euro.who.int/_data/assets/pdf_file/0008/306179/Access-new-medicines-TR-PIO-collaboration-research.pdf?ua=1 Accessed: March 07, 2019.
17. Nizankowski, R. and N. Wilk, *From idealistic rookies to a regional leader: the history of health technology assessment in Poland*. Int J Technol Assess Health Care, 2009. **25 Suppl 1**: p. 156-62.
18. Ozieranski, P., et al., *Transparency in practice: Evidence from 'verification analyses' issued by the Polish Agency for Health Technology Assessment in 2012-2015*. Health Econ Policy Law, 2019. **14**(2): p. 182-204.
19. Nemeth, B., M. Csanadi, and Z. Kalo, *OVERVIEW ON THE CURRENT IMPLEMENTATION OF HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT IN THE HEALTHCARE SYSTEM IN HUNGARY*. Int J Technol Assess Health Care, 2017. **33**(3): p. 333-338.
20. Kalo, Z., et al., *HTA Implementation Roadmap in Central and Eastern European Countries*. Health Econ, 2016. **25 Suppl 1**: p. 179-92.
21. *Website of the Polish HTA Agency*. Available at: <http://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2012-2015> Accessed: January 15, 2019.
22. *Website of the Polish National Company Registry*. Available at: <http://www.krs-online.com.pl> Accessed: January 15, 2019.
23. *HTA requirements specified by the Ministry of Health* Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. z 2012 r. Nr 0, poz. 388), 2012.
24. Guest, G., MacQueen KM, and N. EE, *Applied Thematic Analysis*. SAGE Publications, 2011.

**Az egészségügyi technológia-értékelés helyzete
Közép- és Kelet-Európa országában és hatása a
gyógyszerek közfinanszírozási és ártámogatási
döntéseire**

Doktori (Ph.D.) értekezés tézisei

Csanádi Marcell

Pécsi Tudományegyetem, Gyógyszerésztudományi Kar
Gyógyszertudományok Doktori Iskola

Témavezetők:

Prof. Dr. Botz Lajos

Prof. Dr. Kaló Zoltán

Doktori Iskola vezetője: Prof. Dr. Pintér Erika

Pécs
2021

1. Bevezetés

Annak érdekében, hogy a közfinanszírozott egészségügyi rendszeren belül a gyógyszerkiadásokat elfogadható szinten lehessen tartani a minőségi és hatékony betegellátás mellett, minden ország alkalmaz szabályozási mechanizmusokat. A gyógyszerpolitikai szabályozások jellege és azok gyakorlati alkalmazása változó [1]. Ugyanakkor az eltérő jellegű szabályozások mellett egyformán fontos egészségpolitikai problémaként merült fel az elmúlt évtizedekben az új gyógyszerekhez való hozzáférés megfelelő biztosítása Európa minden országában. Különösképp a magas árszínvonalú gyógyszerek esetén vált kiemelten fontos egészségpolitikai kérdéssé a beteghozzáférés [2].

Az egészségügyi technológia-értékelés (nemzetközi nevén: health technology assessment; a továbbiakban: HTA), mint egy egészségpolitikai eszköz, egy olyan szisztematikus megközelítése az egészségügyi technológiák értékelésének, amelynek célja, hogy támogassa az egészségügyi szektor számára rendelkezésre álló erőforrások elosztását és segítse az egészségpolitikai döntéshozókat abban, hogy a megfelelő ár-érték aránnyal rendelkező technológiákra fordítsák az erőforrásokat. Ideális esetben a HTA alkalmazása az erőforrások jobb hatékonyságú és célzott elköltéséhez vezet azáltal, hogy olyan technológiák kerülnek finanszírozásra, amelyek költség-hatékonyak [2]. Más szóval a HTA alapvető célja, hogy korlátos erőforrások rendelkezésre állása esetén minimalizálja a használdozati költségét a közfinanszírozási és ártámogatási döntéseknek [3]. A HTA megközelítése magába foglalja egy technológia szisztematikus értékelését mind a rövid, mind a hosszú távú következmények kapcsán. Az értékelés kiterjed mind az egészségügyi, mind a gazdasági következményekre, valamint a technológia konkrét alkalmazásának körülményeire, így természeténél fogva a HTA egy multidiszciplináris elemzés [4].

A technológia-értékelés egyre inkább alkalmazott Európa országaiban közfinanszírozási és ártámogatási döntések esetén [5]. A legtöbb országban kezdetben a gyógyszerpolitika területén alkalmazzák és az úgy nevezett Single Technology Appraisal folyamatát követik. Ebben a folyamatban az adott technológiára vonatkozóan a gyártóknak szükséges elkészíteni egy beadványt, amely tartalmazza az összes elérhető és döntés szempontjából releváns bizonyítékokat [6]. Jelen disszertáció keretein belül ezeket konzisztensen HTA beadványoknak nevezzük. A beadványok tartalma és az elvárt formai követelmények

elértnek országonként, de a legtöbb esetben tartalmaznak információkat hatásosságról és klinikai vizsgálat eredményekről, valós életben várható hatékonyságról, valamint egészség-gazdaságtani értékelésekről, amelyek a legtöbb esetben költség-hatékonysági és költségvetési hatás elemzések. A beadványok elkészítése a legtöbb esetben nemzeti szintű irányelveknek megfelelően történik, amelyek részletezik az elvárt követelményeket az elemzésekkel és információkkal kapcsolatban. A Single Technology Appraisal folyamatban a benyújtott HTA beadványokat egy szakértőkből álló bizottság szisztematikusan értékeli, akik a technológia-értékelő szervezet keretein belül végzik a tevékenységüket. Ezt a kritikai értékelést lehet a későbbiek során a támogatáspolitikai döntések meghozatalában felhasználni. Az értékelés folyamata gyakran standardizált és publikus szempontok mellett történik annak érdekében, hogy a folyamat minél inkább objektív legyen [7].

Egy kialakított HTA rendszer eredményessége az elért hatáson múlik, vagyis azon, hogy milyen információt állít elő a döntés támogatására, majd ezt az információt hogyan veszik figyelembe az egészségpolitikai döntéshozók. Ezt a hatást úgy érdemes vizsgálni, hogy meghatározzuk a technológia-értékelés pontos szerepét az közfinanszírozási és ártámogatási döntések folyamatában [8]. Jellegénél fogva a HTA rendszertől a források hatékonyabb elosztását várjuk, azonban a nemzetközi szakirodalomban nagyon kevés kvantitatív kutatás található ennek bizonyítására [9]. Ezen kívül fontos megjegyezni, hogy még Európán belül is rendkívül heterogén jellemzőkkel bírnak a HTA rendszerek [5]. Mindezeket figyelembe véve kijelenthető, hogy a HTA konkrét hatását általánosíthatóan nehezen lehet kifejezni és a hatás vizsgálatához további ország- vagy régió-specifikus kutatásokra van szükség.

Európát tekintve a HTA rendszerek kialakításáról és működéséről rendkívül széles szakirodalom áll rendelkezésre [5]. Jellemzően ezek általánosan bemutatják a HTA folyamatokat és szervezeti kereteket az egészségügyi rendszeren belül. Amennyiben azonban mélyebb és komplexebb elemzések vizsgálunk, akkor megfigyelhető, hogy Kelet-Közép-Európa (KKE) országai rendre kimaradnak. Ilyen elemzések például a HTA szervezetek által kiadott támogatás-politikai döntésekhez adott javaslatoknak a nemzetközi összehasonlítása [10, 11]; az eltérő javaslatok esetén a potenciális okok feltárása [12]; a HTA rendszer keretein belül meghatározott érték definíciójának és mérési módszertanának az összehasonlítása [13]; az értékelési módszertanok összehasonlítása [14]; vagy a

technológia-értékelés egészségpolitikában betöltött szerepének részletes vizsgálata [15]. Ezek a vizsgálatok gyakran hivatkoznak arra, hogy európai perspektívát vesznek figyelembe, azonban KKE országai rendre kimaradnak a kutatásokból. Ezek alapján kijelenthető, hogy a szakirodalomban KKE régióra vonatkozó HTA kutatások nem kielégítőek.

2. Célok

Jelen disszertáció célja, hogy KKE országaira vonatkozóan különböző jellegű, az egészségpolitika szempontjából fontos kutatási kérdésekre adjon választ HTA rendszerekkel kapcsolatban. A különböző jellegű kutatások annak fényében lettek kialakítva, hogy a vizsgált KKE-i országokban melyek azok a technológia-értékeléssel kapcsolatos kérdések, amelyekről jelen pillanatban nincsen kellő információ. Továbbá a kutatási kérdések figyelembe veszik a vizsgált országokra jellemző közfinanszírozási és ártámogatási döntések környezetét és a HTA-val való kapcsolatát is. Ezeknek megfelelően 3 fő területen lettek kutatási kérdések megfogalmazva, amelyekre a disszertáció választ ad:

- 1) Hogyan szükséges kialakítani egy HTA rendszert egy olyan országban, ahol korábban formálisan nem használták a technológia-értékelést? Milyen javaslatok fogalmazhatóak meg erre vonatkozóan a különböző érintett csoportok szempontjából?
- 2) Kik vesznek részt azon HTA beadványok elkészítésében, amelyek a közfinanszírozási és ártámogatási döntéseket segíteni tudják? Hogyan jellemezhetőek ezek a szereplők? A szereplők mennyire tudják az elvárásoknak megfelelően elkészíteni a beadványokat?
- 3) Hogyan és milyen mértékben használják a HTA rendszer által létrejött információkat a valós döntéshozatali folyamatok során? Milyen gyakorlatban tapasztalható hatása van egy ország technológia-értékelő szervezetének közfinanszírozási és ártámogatási döntések vonatkozásában?

A 3 területen megfogalmazott kutatási kérdések megválaszolásához 3 különböző KKE-i ország lett kiválasztva, ahol a kutatásokat elvégeztük.

- ***Ukrajnában*** vizsgáltuk az első kutatási témakört, ahol 2016 előtt formálisan nem volt HTA rendszer kialakítva. Annak ellenére, hogy a bizonyíték-alapú döntéshozatal fontosságát dokumentálták 2013-ban, nemzeti szinten a technológia-értékelés a közfinanszírozási és ártámogatási döntések során formálisan nem jelent meg [16].

Ugyanakkor egy 2016 és 2017 között megvalósuló reform keretein belül azt tűzték ki célul, hogy a HTA formálisan is jelenjen meg az egészségpolitikában, elsősorban a gyógyszer-politikai döntések támogatása érdekében.

A fentieket figyelembe véve, a **disszertáció első része azt vizsgálja, hogy 1) hogyan jellemezhető a technológia-értékelés környezete a rendszer kialakításának kezdetén; és 2) hosszú távon milyen célokat érdemes kitűzni a rendszer fejlesztése érdekében, a helyi releváns érdekcsoporthoz véleménye alapján.**

- **Lengyelországban** vizsgáltuk a második kutatási témakört, ahol a HTA rendszer már évtizedes múltra tekint vissza és a nemzeti technológia-értékelő szervezet (nemzetközi nevén: Agency for Health Technology Assessment in Poland; továbbiakban: AHTAPol) 2005 óta látja el a HTA beadványok értékelésével kapcsolatos feladatait [17]. Az AHTAPol az elmúlt években egyre inkább törekedett arra, hogy publikusan elérhető információkat tegyen közzé többek között kutatási célokra [18].

A fentieket figyelembe véve, a **disszertáció második része azt vizsgálja, hogy 1) milyen szereplők vesznek részt a gyógyszerekre vonatkozó HTA beadványok elkészítésében; 2) hogyan jellemezhető ezen szereplők piaca és milyen tulajdonságokkal rendelkeznek; valamint 3) mennyire képesek az egészségpolitika által előírt irányelvnek megfelelően elkészíteni a beadványokat.**

- **Magyarországon** vizsgáltuk a harmadik kutatási témakört, ahol Lengyelországhoz hasonlóan hosszú évekre nyúlik vissza a HTA rendszer kialakítása és a 2004-ben létrehozott technológia-értékelő szervezet a HTA beadványok kritikai értékelését végzi [19]. Annak ellenére, hogy korábbi vizsgálatok általánosságban foglalkoztak a magyar rendszer jellemzőivel, a technológia-értékelés konkrét szerepéről a döntéshozatalban nem volt publikusan elérhető információ.

A fentieket figyelembe véve, a **disszertáció harmadik része azt vizsgálja, hogy 1) milyen szervezeti jellemzők segítik vagy gátolják a HTA rendszert abban, hogy betöltse a döntéstámogató szerepét; 2) milyen konkrét hatása van a technológia-értékelésnek a közfinanszírozási és ártámogatási döntések során; valamint 3) jelenlegi formájában milyen költségekkel és milyen hasznokkal jellemezhető a rendszer és ezek milyen viszonyban állnak egymással a különböző érintett csoportok véleménye alapján.**

3. Alkalmazott módszertanok

3.1 Kérdőív használata az ukrán esettanulmányban

A kutatás során egy korábbi tudományos közleményben megjelent kérdőívet alkalmaztunk [20]. A kérdőívet különböző érintett érdekcsoportok körében töltöttük ki Ukrajnában. Ezek az alábbiak voltak: a technológia-értékelés kialakításáért felelős bizottság, az úgynevezett National Essential Medicines List Committee tagjai, akik különböző akadémiai és egészségügyi szervezetek pozícióit töltötték be, az egészségügyért felelős minisztérium tagjai, valamint a gyógyszergyártók és betegszervezetek képviselői. A kérdőív alanyait célzottan kerestük meg annak érdekében, hogy olyan személyeket érjünk el, akik megfelelő tudással és információval rendelkeznek Ukrajnában a gyógyszerek közfinanszírozási és ártámogatási kérdéseiről.

A megkeresett személyek a kérdőív mellé csatoltan megkapták a kitöltéshez szükséges útmutatót, illetve egy listát azokról a definíciókról, ami a kérdőív kulcsfogalmait magyarázza, annak érdekében, hogy minden kérdés hasonlóan értelmezhető legyen a kérdőív alanyok között. A kérdőívet és a mellékleteket elektronikus úton jutattuk el a megkeresett személyekhez. A kérdőív tájékoztatta a kitöltőket arról, hogy az egyéni kitöltések szigorúan bizalmasan lesznek kezelve és kizárólag összevont eredmények lesznek publikusan közzé téve tudományos közlemény formájában. A beérkezett válaszokat ennek megfelelően anonim módon kezeltük. A kitöltések 2016 június és júliusában történtek. Minden megkeresett személy kitöltötte és visszaküldte a kérdőívet.

A kérdőív az alábbi témákat fedte le a HTA rendszer bevezetéséről és fejlesztéséről: humán erőforrás kapacitásának kiépítése, finanszírozás, szervezeti kialakítás, a technológia-értékelés kiterjedtsége, döntési szempontok, módszertan kialakítása és standardizálása, helyi adatok használata és hozzáférhetősége, valamint nemzetközi együttműködés.

A beérkezett kérdőíveket akkor tekintettük érvényesnek, ha a tizenhét kérdésből háromnál nem több kérdésre érkezett hiányos vagy értelmezhetetlen válasz. Értelmezhetetlen válasz például olyan esetben merült fel, ha egy egyszeri válaszadás esetén több válasz is meg volt jelölve. Az érvényesnek tekintett kérdőívek adatait feldolgoztuk és a hiányos vagy értelmezhetetlen válaszokat az adatfeldolgozás során nem vettük figyelembe, ezért az

eredményekre ezeknek nem volt hatása. A kérdőív válaszok megoszlását az összes érvényes kérdőív mintája alapján számítottuk ki.

3.2 Publikus dokumentációk strukturális elemzése a lengyel esettanulmányban

Az esettanulmány során több különböző módszertant alkalmaztunk, melyek az alábbiakban kerülnek bemutatásra. Minden adatot egységesen Excel-ben gyűjtöttünk és elemeztünk.

Annak érdekében, hogy azonosítsuk azokat szereplőket, akik a gyártók által benyújtott HTA beadványokat készítik, az AHTAPol honlapjáról töltöttünk le publikusan elérhető dokumentumokat [21]. A HTA beadványokat 2012 és 2015 között vettük figyelembe. Első évnek 2012-t választottuk, mert ettől az évtől kezdve törvényileg köteles az AHTAPol a beadványok közzétételére. Az elemzést azért zártuk le 2015-ben, mert a kutatás idejében ez volt az utolsó olyan év, ahol az összes HTA beadvánnyal kapcsolatos dokumentum hiánytalanul elérhető volt. Egy beadványhoz kapcsolódóan az alábbi elemzéseket tartalmazó dokumentumokat tekintetük át: 1) döntési probléma elemzése; 2) klinikai értékelés; 3) egészség-gazdaságtani elemzés; 4) költségvetési-hatás elemzés; 5) racionális forrásallokáció elemzése. A beadványok elkészítőit név alapján azonosítottuk ezekben a dokumentumokban, azonban, ahol az AHTAPol szándékosan kitakarta a nevet, ott szisztematikusan gyűjtöttünk logókat, dokumentum stílusával kapcsolatos információkat vagy weboldal elérhetőségeket.

Az azonosított beadványt készítő szereplők piaci helyzetét a piaci részesedés alapján határoztuk meg. A piaci részesedést az évenkénti összes beadvány és az adott szereplőhöz tartozó beadványok száma alapján határoztuk meg. A beadványkészítő szervezetek piac méretét az alapján becsültük, hogy az összes azonosított szervezet mennyi beadványt készített el, valamint további publikusan elérhető szervezeti adatokat igényeltünk a lengyel cégjegyzéktől (Polish National Company Registry [22]). Mivel a cégjegyzéktől származó információk bizonyos esetekben hiányosak voltak, ezért egyes szervezeteknél feltételezéssel kellett élnünk, amelyeket a megkapott adatok alapján becsültünk.

Az azonosított HTA beadványt készítő szereplők további jellemzőit a cégek hivatalos honlapjáról letöltött információk alapján határoztuk meg. Az információkat a 2018 június és július közötti időszakban töltöttük le. Szisztematikusan kigyűjtöttük a szervezetek alapítási

évét, a bejegyzett székhelyet, a cég misszióját, az alkalmazott emberek számát, a szolgáltatásokat, amelyeket ajánlanak és azokat a további szervezeteket, amelyekkel együttműködnek. Minden esetben angol holnapról töltöttünk le információkat. A letöltött információt a feldolgozás céljából kódoltuk, majd a kódolt információt feldolgoztuk.

Végezetül vizsgáltuk, hogy az áttekintett HTA beadványok mennyire felelnek meg az egészségügyért felelős minisztérium által kiadott hivatalos irányelvnek [23]. Ebből a célból az AHTAPol holnapjáról minden beadványhoz letöltöttük a publikusan közzétett értékelési dokumentumot [18]. Ezek a dokumentumok tartalmazzák azoknak az elemzéseknek a kritikai értékelését, amelyek a beadvány részét képezik. A kritikai értékelést az AHTAPol végzi. Az értékelési dokumentumokat a beadványokhoz hasonlóan a 2012 és 2015 közötti időszakra vonatkozóan töltöttük le. A dokumentumokból az alábbi adatokat nyertük ki: 1) a beadvány megfelelt-e a hivatalos útmutatásnak; 2) amennyiben nem felelt meg, volt-e indoklás megadva; 3) amennyiben nem felelt meg, az AHTAPol kérvényezte-e a beadvány újra benyújtását átdolgozás után; 4) amennyiben az újra benyújtás kérvényezve volt, megtörtént-e az újra beadás; 4) amennyiben történt újra beadás, az átdolgozott beadvány figyelembe vette-e az előző beadás kritikáját az AHTAPol szerint?

3.3 Interjúk lefolytatása a magyar esettanulmányban

A kutatás során a magyar technológia-értékeléssel kapcsolatban mélyinterjú alapú esettanulmányt végeztünk el. A strukturált interjúkat olyan érintettek között folytattuk le, akik a magyar technológia-értékelés szakértőinek tekinthetők. Az interjúkat 2016 augusztus és 2017 január közötti időszakban folytattuk le. Az interjú alanyait célzottan kerestük meg az alábbi érintett csoportokra vonatkozóan: technológia-értékelő szervezet, Nemzeti Egészségügyi Alapkezelő, egészségügyért felelős minisztérium, akadémiai szektor, gyógyszergyártók, tanácsadó cégek és betegszervezetek. Az interjú alanyok kiválasztása során figyelembe vettük az adott intézményben betöltött pozíciót, korábbi releváns pozíciókat, a HTA-val kapcsolatos tudományos közlemények számát és a már lefolytatott interjúk során felmerült javaslatokat. Összesen 33 személyt kerestünk meg, közülük 7 utasította vissza az interjút.

Az interjúk többségét személyesen folytattuk le, azonban 4 interjú online történt Skype segítségével. Egy átlagos interjú nagyjából 1 óra volt. Az interjúkhoz útmutatót készítettük,

amelyet a kutatás elején rögzítettünk. Az útmutató nyitott kérdéseket tartalmazott az alábbi témakörökre vonatkozóan: melyek a technológia-értékelés legfontosabb hasznai Magyarországon; melyek azok a potenciális hasznok, amelyeket a jelenlegi rendszer nem tud maradéktalanul biztosítani; melyek a legfontosabb kihívások a HTA rendszer kapcsán; mennyire felel meg a technológia-értékelés folyamata eredeti céljának; mennyire transzparens a folyamatok a szereplők számára; milyen közvetlen és közvetett költségei vannak a technológia-értékelésnek?

További konkrét kérdések merültek fel közel az összes interjú során: a közszféra és a magánszféra intézményei között milyen a technológia-értékeléshez kapcsolódó human-erőforrás mozgása; hogyan jellemezhető a HTA-hoz kapcsolódó tanácsadói piac; milyen a HTA beadványok minősége; milyen adatok érhetőek el a technológia-értékelő szervezet számára az értékelés elvégzéséhez?

A kutatatást etikai szempontból a University of Cambridge, Department of Sociology etikai bizottsága hagyta jóvá. Az interjú alanyokat az interjú előtt tájékoztattuk a kutatás céljáról, az interjú folyamatáról, valamint a szándékunkról, hogy az eredményeket feldolgozás után tudományos közlemény formájában kívánjuk közzé tenni. Az interjú alanyokat biztosítottuk arról, hogy az általuk megadott információkat adatfeldolgozáskor és az adatok publikálásakor anonim módon kezeljük. Amennyiben az interjú alanya beleegyezett, az interjúról hangfelvételt készítettünk. A 26 interjúból 6 esetben utasították vissza a hangfelvétel lehetőségét, ezekben az esetekben részletes jegyzetet készítettünk az interjú során, amelyet kiegészítettünk és pontosítottunk közvetlenül az interjú után.

Az összegyűjtött információk felhasználásával egy tematikus elemzést végeztünk el [24], amely során az NVivo 10 programot használtuk, amely az információk strukturált kódolásában nyújtott segítséget. A kódolt információkat ezt követően a kutatási kérdéseknek megfelelően rendeztük. A rendezés során a kódolt információk között átfedéseket szűrtünk ki és kódcsoportokat hoztunk létre a kutatási témáknak megfelelően. Az interjúk nagy része magyar nyelven történt, ez esetben a kódolt szöveget fordítottuk le angol nyelvre. Az angol nyelvű interjúk feldolgozása angol nyelven történt. Egymással ellentétes állítások közötti konfliktust abban az esetben oldottuk fel, ha tovább támogató információk jelentek meg más interjúkban is.

4. Eredmények

4.1 Az ukrán esettanulmány eredményei

Összesen 33 ukrán szakértő töltötte ki a kérdőívet. Az adatok feldolgozása során egy kérdőívet tekintettünk érvénytelennek a túl sok hiányzó válasz miatt. A teljes minta végül 32 kitöltött kérdőívet tartalmazott, amelyből 21 (66%) kitöltő közsférában lévő munkahelyet jelölt meg, 9 (28%) kitöltő privát szektort jelölt meg és 2 (6%) kitöltő mindkettőt megjelölte. A speciális kategóriák közül 10 esetben jelöltek meg döntéshozói pozíciót, 10 esetben akadémiai pozíciót, 1 egészségügyi szolgáltatót, 9 esetben ipari képviselőt, 1 esetben tanácsadót és 3 betegszervezeti képviselői pozíciót. Fontos megemlíteni, hogy egy személy több pozíciót is megjelölhetett.

A kitöltők közel fele (48%) úgy vélte, hogy nincs rendszeres technológia-értékelésre fókuszáló humán erőforrás képzés Ukrajnában, azonban többségük (91%) szerint a jövőben szükség lenne kialakítani olyan graduális vagy poszt-graduális egyetemi képzést, amely a humán erőforrást biztosítja. A szakértők véleménye alapján limitált finanszírozási források állnak rendelkezésre mind a technológia-értékeléssel kapcsolatos kutatásokra, mind a kritikai értékelésekre. Ennek kezelésére elsősorban a közforrások nagyobb mértékű bevonását látták a preferált megoldásnak. A szervezeti struktúra kialakítására vonatkozóan a kitöltők szerint a megfelelő opció az lenne, ha egy, közsférában működő nemzeti szintű technológia-értékelő szervezet jönne létre, amely az akadémiai szereplők támogatásával valósulna meg. A válaszadók többsége (88%) szerint a jövőben mind a technológia-értékelő szervezet ajánlásait, mind az ajánlás alapjául szolgáló értékeléseket nyilvánossá kell tenni. Közel az összes válaszadó szerint a HTA-hoz kapcsolódó elemzésekben szükség van a helyi adatok alkalmazására, azonban, amikor ez nem valósítható meg, akkor a nemzetközi adatok használata előtt meg kell vizsgálni azok transzferabilitását. A legfontosabb döntési szempontként a költség-hatékonyságot jelölték meg a válaszadók, amelyet a véleményük szerint célszerű lazábban értelmezendő küszöbértékkel figyelembe venni az ajánlások kialakításakor.

Összességében a kutatásunk azt mutatta, hogy Ukrajna a HTA bevezetésének első lépésinél tart, ugyanakkor a kérdőíves felmérés alapján egyértelmű fejlődési irányokat lehet kijelölni a jövőre, amely minden releváns érintett csoport véleményén alapszik.

4.2 A lengyel esettanulmány eredményei

A kutatás során összesen 336 gyártói HTA beadványt tekintettünk át, amelyek 2012 és 2015 között az alábbi éves bontásban oszlottak meg: 63, 80, 106 és 87. Összesen 12 beadványt zártunk ki azért, mert vagy nem volt online elérhető minden dokumentum, vagy duplikátuma volt egy másik beadványnak. Duplikátum akkor merült fel, amikor egy beadvány kétszer lett benyújtva a gyártó által (például ugyanannak a gyógyszernek két különböző formája). Továbbá kizártunk 6 további beadványt, mert több közös szerzője volt a különböző dokumentumoknak, így nem tudtuk egyértelműen hozzárendelni a beadványt egyik azonosított szereplőhöz sem. Ezek alapján összesen 318 gyártói beadványt elemeztünk, ami 94,6%-os bevonási arányt eredményezett.

Az áttekintett HTA beadványokban azonosítottuk a beadvány készítőjét több, mint 95%-ban. A legmagasabb arányt az egészség-gazdaságtani elemzés dokumentumainál értük el (98%), a legalacsonyabbat a költségvetési-hatás elemzés dokumentumai esetén tapasztaltuk (96%). A beadvány készítőjére vonatkozó információk elérhetőségében 2012-től kezdve folyamatos fejlődést tapasztaltunk, vagyis idővel az AHTAPol egyre inkább transzparenssé vált ebben a tekintetben. Összesen 6 beadványt készítő szervezetet azonosítottunk, akiknek a piaci részesedése 10% és 30% között mozgott. Ezek a piaci részesedések viszonylag állandóak voltak a vizsgálati időtartam alatt. A beadványkészítő szervezetek összes piaci méretét éves szinten, az elérhető információk alapján, nagyjából 5-6 millió Euróra becsültük. A szervezetek honlapjáról letöltött információk alapján azt találtuk, hogy a szervezetek szolgáltatás portfóliója rendkívül széles volt (irodalmi áttekintések végzésétől kezdve egyéb tanácsadói szolgáltatásokig), azonban alaptevékenységük egyértelműen a technológia-értékelő beadványok készítése volt.

Az értékelési dokumentumok szisztematikus áttekintése alapján azt találtuk, hogy az AHTAPol csak az esetek 6.6%-ában jelezte azt, hogy a beadvány teljes mértékben a megfelelő hivatalos elvárásoknak. Ennek megfelelően az AHTAPol 91.2%-ban jelezte, hogy a beadvány nem felel meg az elvárásoknak, míg 2.2%-ban ez nem volt egyértelműen meghatározható. Az AHTAPol az áttekintett dokumentumok alapján, az esetek 33.8%-ában magyarázatot adott arra, hogy miért nem megfelelő a beadvány, 65.7%-ban nem adott magyarázatot és egy esetben ez nem volt egyértelműen meghatározható. Azok közül a beadványok közül,

amelyek nem feleltek meg az elvárásoknak, a gyártók újra benyújtották a beadványt az esetek 75.8%-ában. Végezetül meghatároztuk azt is, hogy az újra benyújtott dokumentumok figyelembe vették-e az AHTAPol kritikai magyarázatát, amennyiben az adott volt. Az esetek 45.2%-ában figyelembe vették, 39.5%-ában nem vették figyelembe és 15.3%-ban ez nem volt egyértelműen meghatározható.

Összességében elmondható, hogy kutatásuk feltérképezte a HTA rendszerek egy ritkán vizsgált szereplőjét, a beadványt készítő szervezeteket és jellemezte azok piacát. Fontos problémaként azonosítottuk, hogy ezen szervezetek által készített beadványok gyakran nem megfelelően veszik figyelembe a hivatalos iránymutatásokat és a lengyel technológia-értékelő szervezet ezt az információt publikusan közzé is teszi.

4.3 A magyar esettanulmány eredményei

A kutatás keretein belül vizsgáltuk a technológia-értékelés szervezeti kereteinek fontosságát a magyar példán keresztül, amely KKE-ban az egyik elsőként létrejött formális HTA rendszer volt. Ennek alapját az a 26 mélyinterjú adata, amelyet a közszféra és a privát szektor szereplőivel folytattunk le.

Az összegyűjtött információkat elemezve azt találtuk, hogy bár a magyar technológia-értékelő szervezet formálisan betölti a neki szánt szerepet, komoly szervezeti korlátozásokkal jellemezhető. Egyrészt a közfinanszírozási és ártámogatási folyamat során csak a kezdeti szakaszban jelenik meg, és a későbbiek során nem hasznosítják (pl. ár-megállapodási döntések kapcsán vagy technológiák újra értékelésekor időközönként vagy új információk létrejöttékor). Másrészt az interjúk alapján megállapítottuk, hogy a HTA szervezet hatása gyógyszer-politikai döntések esetén más érdekcsoportok által korlátozott és a valós döntéshozókkal való kapcsolata minimális. Harmadrészt a HTA alapvetéseivel ellentétben azt találtuk, hogy a technológia-értékelés folyamata és a hozzájárulása a döntésekhez nagyon sok szempontból publikusan nem elérhető, nem kellően átlátható. Végezetül pedig nem kielégítő a kommunikáció és az együttműködés külső szakértőkkel, gyógyszergyártókkal és betegszervezetekkel.

Ugyanakkor fontos azt is megemlíteni a kutatás eredményeként, hogy a HTA korai bevezetésének a 2000-es évek elején volt pozitív hatása, hiszen a bizonyíték-alapú

döntéshozatal alapvetéseit beemelte az egészségpolitikába és nemzetközileg elfogadott módszertanokat és technológia-értékelési gyakorlatokat honosított meg.

Bár a költségek és a hasznok összevetése sokrétű és kvalitatív módon bonyolult feladat, a kutatás fontos eredményeként kijelenthető, hogy az interjú alanyok erősen megkérdőjelezték, hogy a technológia-értékelés költségei összhangban vannak-e annak hasznaival. Az interjú alanyok közül a HTA potenciális gazdasági vagy egészségbeli hasznát senki sem emelte ki. Ez leginkább annak lehet a következménye, hogy a technológia-értékelés hatása minimális, ezért nem közvetlenül köthetőek hozzá olyan előnyök, amelyek a jobb döntések eredményei. Annak ellenére, hogy a különböző érintett érdekcsoportok a technológia-értékelés problémáit egységesen felismerték és azonosították, arra is rávilágítottak, hogy egyik érdekcsoportnak sem érdeke a rendszer újragondolása, illetve bizonyos csoportoknak lehetne érdeke, de azoknak nincsen hozzá kellő erőforrása és érdekérvényesítő képessége.

4. Új eredmények összefoglalása

A kutatás újszerű eredményeinek összefoglalása az alábbiakban 8 témakörre lebontva történik a 3 bemutatott esettanulmány alapján. Az eredmények 2-4 rövid állításként vannak felsorolva a vizsgált témakörökön belül. Kettő téma kapcsolódik a HTA rendszer bevezetéséhez és fejlesztéséhez, majd 3 téma kapcsolódik a HTA beadványok készítéséhez és értékeléséhez, végül az utolsó 3 téma a technológia-értékelés hatását mutatja be.

1) A technológia-értékelés környezetének jellemzése a rendszer kialakításának kezdetén (Ukrán esettanulmány)

- A bizonyíték-alapú döntéshozatal megerősítése egy fontos egészségpolitikai célkitűzésnek tekinthető, amelyet a HTA rendszer szintű bevezetése támogatni képes.
- A technológia-értékeléshez szükséges, képzett humán erőforrás biztosítása nélkül a HTA rendszer szisztematikus megközelítési módja és a komplex elemzések elvégzése nem biztosítható.
- Amíg a technológia-értékelésnek nincs formális helye a közfinanszírozási és ártámogatási döntésekben és hiányoznak a standardizált folyamatok, valamint a minőségbiztosítási eszközök addig a HTA nem tud hozzájárulni egészségpolitikai szinten az erőforrások hatékony elosztásához.

2) Hosszú távú célok kitűzése a HTA rendszer fejlesztése érdekében, a helyi releváns érdekcsoportok véleménye alapján (Ukrán esettanulmány)

- Technológia-értékelésre fókuszáló graduális és poszt-graduális képzésre van szükség annak érdekében, hogy olyan szakértőket képezzenek ki, akik HTA beadványokat készítenek, értékelnek és az ehhez kapcsolatos kutatásokat végeznek.
- A HTA rendszer finanszírozását közforrásokból szükséges megoldani és az egészségpolitikának szükséges erre célzottan forrásokat áldozni.
- Fejleszteni szükséges a helyi szinten gyűjtött adatokat abból a célból, hogy technológia-értékeléshez felhasználhatóak legyenek. A helyi adatokon gyűjtött költség-hatékonysági elemzéseket szükséges lenne felhasználni a döntéshozatalhoz.
- A HTA szervezeti kereteit nemzeti úgy szükséges kialakítani, hogy a folyamatok átláthatóak legyenek, valamint az akadémiai szereplők támogatni tudják a technológia-értékelő szervezet munkáját.

3) A gyógyszerekre vonatkozó HTA beadványokat készítő szereplők azonosítása (Lengyel esettanulmány)

- A HTA beadványt készítő cégek piacát limitált számú szereplő dominálja, új piaci szereplők pedig jelentős belépési korlátokkal szembesülnek.
- A beadványkészítő cégek az évek során jelentős tapasztalatot halmoznak fel és stabil, hosszú távú kapcsolatot építenek ki a megrendelőkkel (gyógyszergyártókkal).

4) A HTA beadványokat készítő szereplők főbb tulajdonságai és a beadványkészítő piac jellemzése (Lengyel esettanulmány)

- A gyógyszerekhez köthető HTA beadványok készítőinek piaca Lengyelországban éves szinten 5-6 millió Euróra becsülhető.
- A beadványkészítő szervezetek jelentős humán erőforrást és szakértői bázist tudnak kialakítani, még a helyi technológia-értékelő szervezethez képest is.
- Jellemzően a szervezettek központi tevékenysége a gyógyszerekhez kapcsolódó HTA beadványok készítése, ugyanakkor ehhez kapcsolódóan idővel kiterjeszthetik a nyújtott szolgáltatásaik körét.

5) HTA beadványok jellemzése az egészségpolitika által előírt irányelvek figyelembe vételével, a kritikai értékelések alapján (Lengyel esettanulmány)

- A technológia-értékelő szervezet által publikusan közzétett dokumentumok felhasználhatóak abból a célból, hogy szisztematikusan felmérjük azt, hogy a HTA beadványok megfelelnek-e a helyi hatóság által közzétett elvárásoknak.
- A publikus dokumentumok alapján az is vizsgálható, hogy a formális visszajelzést figyelembe veszik-e a HTA beadvány ismételt benyújtásakor és milyen mértékben kezelik a kritikai észrevételeket.

- A publikusan elérhető információk alapján, a gyógyszergyártók által benyújtott és tanácsadó cégek által készített HTA beadványok minősége vagy a beadványokkal kapcsolatos elvárások teljesíthetősége erősen megkérdőjelezhető.

6) Szervezeti jellemzők azonosítása, amelyek segítik vagy gátolják a HTA rendszert abban, hogy betöltse a döntéstámogató szerepét (Magyar esettanulmány)

- Annak ellenére, hogy formálisan a technológia-értékelés támogatni tudja a bizonyíték-alapú döntéshozatalt, számos intézményi szintű tényező korlátozhatja azt, hogy a HTA-nak valós hatása legyen a közfinanszírozási és ártámogatási döntések során.
- A limitált szervezeti kapacitás (főként limitált humán-erőforrás), az adatok rendelkezésre állásának hiányosságai és a döntéshez kapcsolódó átláthatatlan folyamatok tekinthetők a legfontosabb korlátoknak.

7) A technológia-értékelés gyakorlati hatása a közfinanszírozási és ártámogatási döntések során (Magyar esettanulmány)

- Ha a technológia-értékelés a közfinanszírozási és ártámogatási döntés folyamata során csak a kezdeti szakaszban jelenik meg, és a későbbiek során nem hasznosul, akkor hatása jelentősen korlátozódik.
- A gyógyszerek döntéshozatali folyamata során a technológia-értékelő szervezet az egyéb érdekcsoportokhoz képest súlytalan szereplőként jelenhet meg és ebben az esetben minimális a kapcsolata a valós gyógyszer-politikai döntéshozókkal.
- A technológia-értékelés pozitív hatása lehet ugyanakkor, hogy a bizonyíték-alapú döntéshozatal alapvetéseit beemeli az egészségpolitikába és nemzetközileg elfogadott módszertanokat honosít meg.

8) Technológia-értékeléshez kapcsolódó költségek és hasznok azonosítása, valamint ezek viszonyának vizsgálata érintett csoportok véleménye alapján (Magyar esettanulmány)

- Amennyiben HTA-hoz kapcsolódóan csak minimális hasznokat lehet azonosítani a gyógyszerek közfinanszírozási és ártámogatási döntései során, akkor megkérdőjelezhető, hogy az adott szervezeti keretek között a technológia-értékelésre fordított kiadások és költségek megtérülnek-e.
- A minimális hasznok mellett is előfordulhat, hogy bár a különböző releváns érdek csoportok kritikus véleménye megegyezik a technológia-értékelésről, egyiknek sincs érdekében érdemben változtatni a rendszeren, vagy ehhez nem áll rendelkezésükre kellő erőforrás és érdekérvényesítő képesség.

5. Összegzés és konklúzió

Az egészségügyi technológia-értékelés használata a világon egyre inkább elterjedt, hiszen ideális esetben pozitív hatása van az egészségpolitikai döntéshozatalra vonatkozóan. A standardizált módszertanok és az átlátható folyamatok követése az elérhető források

hatékonyabb elosztásához kell, hogy vezessen a költség-hatékony és megfizethető terápiák biztosítása következtében. Ugyanakkor a döntéseket érdemben támogatni tudó HTA rendszer kialakítása és működtetése rendkívül erőforrás igényes és összetett kérdés.

A jelenlegi tudományos szakirodalomban a HTA rendszerek mélyreható elemzése a KKE országaira vonatkozóan hiányos, különösképp a nyugat-európai országokhoz képest. Ennek következtében a jelenlegi doktori disszertáció célja az volt, hogy különböző egészségpolitikai szempontból releváns kérdésekből vizsgálja meg a technológia-értékelést KKE országaiban. Ennek megfelelően 3 témában lettek kutatási kérdések megfogalmazva, amelyek 3 esettanulmányon keresztül lettek megválaszolva. A kutatásokhoz különböző módszertanokat alkalmaztunk, amelyek az adott ország egészségpolitikai környezetének megfelelően és az elérhető információk alapján lettek kiválasztva.

Az első kutatási terület a HTA rendszer kialakítására fókuszált Ukrajnában, ugyanis ebben az országban korábban nem volt HTA rendszer kialakítva. Kérdőív segítségével több helyi érintett csoport véleménye alapján célzott javaslatokat fogalmaztunk meg olyan stratégiai kérdésekben, mint a kapacitás építés, a helyi adatok előállítása és felhasználása a technológia-értékelés során, a minőségbiztosítási rendszerek kialakítása és a külső szereplők bevonása. A második kutatási terület azokra a szereplőkre fókuszált, akik azokat a HTA beadványokat készítik, amelyeket a gyógyszerek közfinanszírozási és ártámogatási döntések támogatására használnak Lengyelországban. Publikusan elérhető dokumentumok alapján azonosítottunk a beadványt készítő szervezeteket és jellemeztük ezt a piacot. Továbbá azt találtuk, hogy az áttekintett beadványok többsége nem felelt meg a hivatalos formai elvárásoknak, amely a HTA rendszer szabályozásának egy komoly problémájára utal. A harmadik kutatási terület a technológia-értékelés gyakorlatban megjelenő hatását vizsgálta Magyarországon. A strukturált interjúk eredményeképp azt találtuk, hogy a formális szerepen túl a HTA jelentősége a gyógyszer-politikai döntéshozatalban minimális. Ennek okaként több intézményi szintű korlátot azonosítottunk, illetve azt találtuk, hogy a közfinanszírozási és ártámogatási döntések során a többi érintett csoporthoz képest a HTA szervezet kevésbé fajsúlyosan jelenik meg. A kutatás rávilágított arra is, hogy ahhoz, hogy a technológia-értékelés érdemben hozzájárulhasson a döntési folyamathoz, alapvető reformokra lenne szükség, azonban ennek kivitelezésére jelenleg nincs komoly szándék sem az egészségpolitika sem a többi érintett érdekcsoport részéről.

A disszertáció egyik legfontosabb erőssége a különböző módszertanok alkalmazása annak függvényében, hogy milyen kutatási kérdést fogalmaztunk meg. A dolgozat keretein belül megvalósult egy kvalitatív kérdőíven alapuló kutatás, publikusan elérhető dokumentumok strukturális elemzése, valamint strukturált mélyinterjúk lefolytatása és az összegyűjtött információk tematikus elemzése. Egy másik fontos erőssége a disszertációnak, hogy a kutatási kérdések specifikusan lettek megfogalmazva egy-egy KKE-i országra, amely során figyelembe vettük a meglévő szakirodalmat, amelyek a kutatások alapjait adták és az adott ország egészségpolitikai környezetét a technológia-értékeléssel kapcsolatban.

Ugyanakkor, mivel az esettanulmányok egy-egy nagyon konkrét területre fókuszáltak, a dolgozat keretei sok szempontból korlátosak. Ezért a dolgozat diszkusszió fejezetében részletesen kitértem azokra a területekre, amelyek a dolgozat keretein kívül estek. Egyrészt a technológia-értékelés globális folyamatainak megjelenését és fejlődését mutattam be, valamint ennek korlátai is említésre kerültek. Másrészt, mivel a dolgozat elsősorban gyógyszerekre fókuszált, külön fejezetben foglalkoztam a nem gyógyszeres egészségügyi technológiák értékelésével, amely sok szempontból újfajta módszertani kérdéseket vet fel. Harmadrészt bemutattam, hogy technológia-értékeléssel kapcsolatos kutatások tágabb, társadalompolitikai szinten hogyan jelennek meg és ezek hogyan egészítik ki a hagyományos egészségpolitikai és egészség-gazdaságtani kutatásokat. Végezetül kitértem arra, hogy miért van szükség bizonyos esetekben alternatív közfinanszírozási és ártámogatási megoldásokra, amelyek a HTA keretein túl, vagy azok helyett jelenthetnek megoldást. Ezzel igyekeztem teljes képet adni arról, hogy a gyógyszerpolitikai döntések során hogyan próbálnak meg a döntéshozók megfelelő egyensúlyt találni a standardizált, bizonyíték-alapú folyamatok és a kevésbé szofisztikált alternatív támogatáspolitikai módszerek között annak érdekében, hogy a betegek hozzáférését és a fenntarthatóságot együtt lehessen biztosítani.

A disszertációhoz kapcsolódó tudományos publikációk listája

Első szerzős tudományos közlemények, amelyek a disszertáció módszertanának és eredményeinek alapján képezik:

- **Csanádi M**, Inotai A, Oleshchuk O, Lebega O, Alexandra B, Piniashko O, Németh B, Kaló Z. *Current status and future perspectives of health technology assessment implementation in Ukraine*. International Journal of Technology Assessment in Health Care. 2019. **35**(5): 393-400
- **Csanádi M**, Ozierański P, Löblová O, King L, Kaló Z, Botz L. *Shedding light on the HTA consultancy market: Insights from Poland*. Health Policy. 2019. **123**: 1237–1243
- **Csanádi M**, Löblová O, Ozierański P, Harsányi A, Kaló Z, McKee M, King L. *When health technology assessment is confidential and experts have no power: the case of Hungary*. Health Econ Policy Law. 2019. **14**(2):162-181.

Egyéb első és nem első szerzős közlemények, amelyek a disszertáció bevezetésében és diszkussziójában lettek megemlítve:

- **Csanádi M**, Kaló Z, Prins CPJ, Grélinger E, Menczelné Kiss A, Fricke FU, Fuksa L, Tesar T, Manova M, Lorenzovici L, Vokó L, Garrison LP. *The implications of external price referencing on pharmaceutical list prices in Europe*. Health Policy and Technology. 2018. 7(3): 243-250.
- Rais C, Kaló Z, **Csanádi M**, Negulescu V. *Current and future perspectives for the implementation of health technology assessment in Romania*. Health Policy and Technology. 2020. 9:45-52.
- Löblová O, Trayanov T, **Csanádi M**, Ozierański P. *The emerging social science literature on health technology assessment: a narrative review*. Value in Health. 2020. 23(1):3-9.
- Löblová O, **Csanádi M**, Ozierański P, Kaló Z, King L, McKee M. *Patterns of alternative access: Unpacking the Slovak extraordinary drug reimbursement regime 2012-2016*. Health Policy. 2019. 123(8):713-720.
- Löblová O, **Csanádi M**, Ozieranski P, Kaló K, King L, McKee M. *Alternative access schemes for pharmaceuticals in Europe: Towards an emerging typology*. Health Policy. 2019. 123: 630–634.
- Ozierański P, Löblová O, Nicholls N, **Csanádi M**, Kaló Z, McKee M, King L. *Transparency in practice: Evidence from 'verification analyses' issued by the Polish Agency for Health Technology Assessment in 2012-2015*. Health Econ Policy Law. 2019. 14(2):182-204.
- Németh B, **Csanádi M**, Kaló Z. *Overview on the current implementation of health technology assessment in Hungary*. Int J Technol Assess Health Care. 2017. 33(3):333-338 2017.
- Rosselli D, Quirland-Lazo C, **Csanádi M**, Ruiz de Castilla EM, González NC, Valdés J, Abicalaffe C, Garzón W, Leon G, Kaló Z. *HTA Implementation in Latin American Countries: Comparison of Current and Preferred Status*. Value in Health Regional Issues. 2017. 14: 20-27.
- Inotai A, **Csanádi M**, Harsányi A, Németh B. *Drug Policy in Central Eastern Europe – Hungary*. Value in Health Regional Issues. 2017. 13:16-22.
- Kaló Z, Gheorghe A, Huic M, **Csanádi M**, Kristensen FB. *HTA implementation roadmap in Central and Eastern European countries*. Health Economics. 2016. 25(Suppl 1):179-92.

Köszönetnyilvánítás

A doktori tanulmányaim során nyújtott támogatásért számtalan embernek vagyok hálás. Őszintén hiszem, hogy a másokkal való együttműködés az egyik legfontosabb dolog, ha fontos célokat szeretnénk elérni az életben. Ennek tökéletes példája volt az én doktori kutatásom.

A számtalan ember közül szeretnék néhányat kiemelni, akik különösen fontosak voltak.

Először is szeretném megköszönni feleségemnek, Enikőnek, és kislányunknak, Biankának, hogy mindig segítetek abban, hogy az életben az igazán fontos dolgokra koncentráljak.

A legmélyebb hálával tartozom témavezetőimnek. Prof. Botz Lajos, köszönöm, hogy megkaphattam a lehetőséget, hogy csatlakozzak a pécsi csapatodhoz. Prof. Kaló Zoltán, köszönöm a folyamatos bizalmadat és a számtalan iránymutatást, amelyek a kutatói pályám szilárd alapjait adják. Köszönöm, hogy a mentoromként segítesz a céljaim elérésben és mindig számíthatok a segítségedre.

Különleges pozícióban érzem magam, hiszem a Syreon Kutató Intézet nagyszerű csapatában dolgozhatok. Köszönöm minden kollégámnak az évek során nyújtott támogatást. A doktori kutatásomat nem tudtam volna véghez vinni az alábbi tapasztalt kollégáim támogatása nélkül: Prof. Vokó Zoltán, Dr. Inotai András, Dr. Pitter János, Dr. Nagy Balázs, Dr. Ágh Tamás, Dr. Zemplényi Antal, Dr. Széles György, Dr. Németh Bertalan és Dr. Zelei Tamás. Köszönöm, hogy minden nap tanulhatok tőletek valami újat.

Szerencsésnek érzem magam, hogy kiváló kutató kollégákkal dolgozhattam együtt a doktori képzésem során. Talán még különlegesebb az, hogy ez alatt az idő alatt barátságok is szövődtek. Dr. Piotr Ozieranski, igazán briliáns kutatóra találtam személyedben, akivel kivételesen jó együtt dolgozni. Harsányi András, együtt éltük meg a doktori képzés nehezebb és kellemesebb időszakait is, köszönöm a sok támogatást. Dr. Olga Löblövá, hálás vagyok, hogy a kutatásaim során sokszor kaptam kulcsfontosságú segítséget.

Hálás vagyok a Pécsi Tudományegyetem minden dolgozójának, akik segítették a tanulmányaimat.

Végül, de nem utolsó sorban köszönöm szüleimnek és testvéremnek, hogy az életem során mindig biztattatok és támogatattok.

Szakirodalmi hivatkozások

1. Panteli, D., et al., *Pharmaceutical regulation in 15 European countries review*. Health Syst Transit, 2016. **18**(5): p. 1-122.
2. Vogler, S., et al., *How Can Pricing and Reimbursement Policies Improve Affordable Access to Medicines? Lessons Learned from European Countries*. Appl Health Econ Health Policy, 2017. **15**(3): p. 307-321.
3. Németh, B., et al., *The transferability of health technology assessment: the European perspective with focus on central and Eastern European countries*. Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res, 2020. **20**(4): p. 321-330.
4. Velasco-Garrido M and B. R, *Health technology assessment – An introduction of objectives, role of evidence, and structure in Europe*. European Observatory on Health Systems and Policies. European Observatory on Health Systems and Policies - Policy brief, 2005. Available at: http://www.euro.who.int/_data/assets/pdf_file/0018/90432/E87866.pdf?ua=1 Accessed: 01.25.2020.
5. Allen, N., et al., *Development of archetypes for non-ranking classification and comparison of European National Health Technology Assessment systems*. Health Policy, 2013. **113**(3): p. 305-12.
6. Carroll, C., et al., *The Type and Impact of Evidence Review Group Exploratory Analyses in the NICE Single Technology Appraisal Process*. Value Health, 2017. **20**(6): p. 785-791.
7. Inotai, A., et al., *Attempt to increase the transparency of fourth hurdle implementation in Central-Eastern European middle income countries: publication of the critical appraisal methodology*. BMC Health Serv Res, 2012. **12**: p. 332.
8. Hailey, D., et al., *INFLUENCE OF HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT AND ITS MEASUREMENT*. Int J Technol Assess Health Care, 2016. **32**(6): p. 376-384.
9. Loblova, O., *What has health technology assessment ever done for us?* J Health Serv Res Policy, 2018. **23**(2): p. 134-136.
10. Akehurst, R.L., et al., *Variation in Health Technology Assessment and Reimbursement Processes in Europe*. Value Health, 2017. **20**(1): p. 67-76.
11. Allen, N., et al., *A Comparison of Reimbursement Recommendations by European HTA Agencies: Is There Opportunity for Further Alignment?* Front Pharmacol, 2017. **8**: p. 384.
12. Nicod, E., et al., *Why do health technology assessment drug reimbursement recommendations differ between countries? A parallel convergent mixed methods study*. Health Econ Policy Law, 2019: p. 1-17.
13. Antonanzas, F., R. Terkola, and M. Postma, *The Value of Medicines: A Crucial but Vague Concept*. Pharmacoeconomics, 2016. **34**(12): p. 1227-1239.
14. Angelis, A., A. Lange, and P. Kanavos, *Using health technology assessment to assess the value of new medicines: results of a systematic review and expert consultation across eight European countries*. Eur J Health Econ, 2018. **19**(1): p. 123-152.
15. Sorenson, C., *The role of HTA in coverage and pricing decisions: A cross-country comparison*. Euro Observer. The Health Policy Bulletin of the European Observatory on Health Systems and Policies., 2009. **11**(1).
16. WHO, *Access to new medicines in Europe: technical review of policy initiatives and opportunities for collaboration and research*. 2015. Available at: http://www.euro.who.int/_data/assets/pdf_file/0008/306179/Access-new-medicines-TR-PIO-collaboration-research.pdf?ua=1 Accessed: March 07, 2019.
17. Nizankowski, R. and N. Wilk, *From idealistic rookies to a regional leader: the history of health technology assessment in Poland*. Int J Technol Assess Health Care, 2009. **25 Suppl 1**: p. 156-62.
18. Ozieranski, P., et al., *Transparency in practice: Evidence from 'verification analyses' issued by the Polish Agency for Health Technology Assessment in 2012-2015*. Health Econ Policy Law, 2019. **14**(2): p. 182-204.

19. Nemeth, B., M. Csanadi, and Z. Kalo, *OVERVIEW ON THE CURRENT IMPLEMENTATION OF HEALTH TECHNOLOGY ASSESSMENT IN THE HEALTHCARE SYSTEM IN HUNGARY*. *Int J Technol Assess Health Care*, 2017. **33**(3): p. 333-338.
20. Kalo, Z., et al., *HTA Implementation Roadmap in Central and Eastern European Countries*. *Health Econ*, 2016. **25 Suppl 1**: p. 179-92.
21. *Website of the Polish HTA Agency*. Available at: <http://bip.aotm.gov.pl/zlecenia-mz-2012-2015> Accessed: January 15, 2019.
22. *Website of the Polish National Company Registry*. Available at: <http://www.krs-online.com.pl> Accessed: January 15, 2019.
23. *HTA requirements specified by the Ministry of Health* Rozporządzenie Ministra Zdrowia z dnia 2 kwietnia 2012 r. w sprawie minimalnych wymagań, jakie muszą spełniać analizy uwzględnione we wnioskach o objęcie refundacją i ustalenie urzędowej ceny zbytu oraz podwyższenie urzędowej ceny zbytu leku, środka spożywczego specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobu medycznego, które nie mają odpowiednika refundowanego w danym wskazaniu (Dz.U. z 2012 r. Nr 0, poz. 388), 2012.
24. Guest, G., MacQueen KM, and N. EE, *Applied Thematic Analysis*. SAGE Publications, 2011.