

# 의료기술평가(health technology assessment, HTA)에서 혁신의 정의 및 가치평가에 대한 접근방식

✎ 의료기기뉴스라인 | ⌚ 승인 2022.02.07 10:44

## | 이상수의 health policy insight

### ● [Health Policy Insight 324회]

## 의료기술평가(health technology assessment, HTA)에서 혁신의 정의 및 가치평가에 대한 접근방식



▲ 이상수

Medtronic North Asia  
(Korea and Japan)  
대외협력부 전무

새롭고 더 효과적인 의약품의 개발은 지난 수십 년간 건강 개선의 중요한 동인으로 간주되었다. 기대수명 연장에 기여했을 뿐만 아니라, HIV, 암, 당뇨병과 같은 중증 질환의 성격을 변화시켰다. 의약품 R&D를 촉진하기 위해, 대다수 국가에서는 지적재산권을 부여하고 데이터 및 시장독점성을 규제한다. 신약에 대한 일시적 독점에 대한 보상은 제약회사가 이윤 극대화 가격(profit-maximizing prices)을 설정하고 R&D에 대한 재정적 보상을 실현할 수 있도록 하여 더 많은 의약품 혁신을 장려하는 것으로 여겨진다. 이와 동시에 의약품 치료법의 발전이 확실한 혜택을 가져왔지만, 독점 가격책정과 결합된 훨씬 더 많고 효과적인 의약품의 이용가능성은 또한 의약품 지출의 상당한 증가를 가져왔다. 게다가, 모든 신약이 결국 환자 건강을 개선한다는 주장을 충족시키는 것은 아닌 것으로 나타났다. 지불가능성과 치료법에 대한 공평한 접근성을 유지하는 동시에 실제적인 혜택을 제공하는 신약 개발의 인센티브를 제공해야 하는 과제에 직면하여, 많은 국가에서 의료기술평가(health technology assessments, HTAs)를 보험급여 및 가격책정 의사결정에 구현했다. HTA는 의료기술의 특성과 효과를 체계적으로 평가하여 수명주기의 상이한 시점에서 그 가치를 결정한다. 일반적으로 가격책정 정책의 목표는 의약품 가격이 평가에서 환자와 사회에 대한 의약품의 가치라는 결론에 맞춰 조정되도록 하는 것이다.

새롭고 더 효과적인 의약품의 개발은 지난 수십 년간 건강 개선의 중요한 동인으로 간주되었다. 기대수명 연장에 기여했을 뿐만 아니라, HIV, 암, 당뇨병과 같은 중증 질환의 성격을 변화시켰다. 의약품 R&D를 촉진하기 위해, 대다수 국가에서는 지적재산권을 부여하고 데이터 및 시장독점성을 규제한다. 신약에 대한 일시적 독점에 대한 보상은 제약회사가 이윤 극대화 가격(profit-maximizing prices)을 설정하고 R&D에 대한 재정적 보상을 실현할 수 있도록 하여 더 많은 의약품 혁신을 장려하는 것으로 여겨진다. 이와 동시에 의약품 치료법의 발전이 확실한 혜택을 가져왔지만, 독점 가격책정과 결합된 훨씬 더 많고 효과적인 의약품의 이용가능성은 또한 의약품 지출의 상당한 증가를 가져왔다. 게다가, 모든 신약이 결국 환자 건강을 개선한다는 주장을 충족시키는 것은 아닌 것으로 나타났다. 지불가능성과 치료법에 대한 공평한 접근성을 유지하는 동시에 실제적인 혜택을 제공하는 신약 개발의 인센티브를 제공해야 하는 과제에 직면하여, 많은 국가에서 의료기술평가(health technology assessments, HTAs)를 보험급여 및 가격책정 의사결정에 구현했다. HTA는 의료기술의 특성과 효과를 체계적으로 평가하여 수명주기의 상이한 시점에서 그 가치를 결정한다. 일반적으로 가격책정 정책의 목표는 의약품 가격이 평가에서 환자와 사회에 대한 의약품의 가치라는 결론에 맞춰 조정되도록 하는 것이다.

신약의 가치에 대한 이러한 증가하는 초점은 결과적으로 의약품의 맥락에서 보다 차별화된 혁신 개념으로 이어졌다. 과거에는 신약을 혁신적이라고 표시하는 것이 특허를 받은 의약품이나 새로운 분자 개체를 기반으로 했지만, 이 기준은 더 이상 많은 이해 당사자의 관점에서 충분하지 않다. 오히려 진정으로 혁신적인 의약품을 식별하는 중심 기준은 의약품의 혜택(benefits) 또는 유용성(usefulness)이어야 한다는 것이 널리 받아들여졌다. 유용성은 상대적인 질(relative quality)이므로, 혁신은 종종 중요하거나 가치 있는 것으로 간주되는 특정 관점으로 정의된다. 본 논문은 HTA의 맥락에서 혁신의 정의 및 평가에 대한 현재 논쟁의 개요와 가격책정 및 보험급여 의사결정에서 혁신이 고려되는 방법을 제공한다. 신약의 가치를 결정할 때 고려해야 하는 의약품 혁신의 측면에 대한 현재의 보건경제 문헌(health economic literature)을 검토하는 것으로 시작하여, 선정된 11개 국가의 공식 HTA 가이드라인 및 관련 문헌을 검토하였다. 의약품 혁신의 어떤 측면이 관련성이 있는 것으로 명시적 또는 내재적으로 고려되는지, 그리고 가격책정 및 보험급여 의사결정을 알리기 위해 HTA 기관 및 기타 관련 기관의 의사결정에서 이러한 측면이 어떻게 추가적인 역할을 하는지 평가하였다. 이러한 검토를 통해 현재 HTA 프로세스에서 설명되거나 향후 가치평가(value assessment)에서 고려될 수 있는 상이한 가치요소(element of value)를 논의하는 과거의 연구를 보완한다. 이러한 연구에서는 가능한 가치 요소 중 하나로 혁신을 간략하게 다루지만, 상이한 혁신 개념과 공식적인 HTA 가이드라인에서 이러한 개념이 고려되는 방식에 대한 포괄적인 검토를 제공하여 더 자세히 설명한다.

Table 1. Sample of countries and respective national HTA bodies.

Country	HTA body and institutions responsible for reimbursement and/or pricing decision (or recommendation)	Websites visited	References used for country analyses	Reason for country inclusion
International organizations and agencies Organisation for Economic Co-operation and Development (OECD) World Health Organization (WHO) Collaborating Centre for Pharmaceutical Pricing and Reimbursement Policies ISPOR Pharmacoeconomic Guidelines around the World European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA)		<a href="http://www.oecd.org/health/">http://www.oecd.org/health/</a> <a href="https://ppri.goeg.at">https://ppri.goeg.at</a> <a href="https://tools.ispor.org/peguidelines/">https://tools.ispor.org/peguidelines/</a> <a href="http://www.eunetha.eu">http://www.eunetha.eu</a>		
Australia	Pharmaceutical Benefit Advisory Committee (PBAC)	<a href="https://pbac.pbs.gov.au">https://pbac.pbs.gov.au</a>	5, 16	Significant experience in incorporating formal pharmacoeconomic assessments in decision making
The Netherlands	National Health Care Institute (ZIN)	<a href="https://english.zorginstituutnederland.nl">https://english.zorginstituutnederland.nl</a>	13, 17-19	
Sweden	Dental and Pharmaceutical Benefits Agency (TLV)	<a href="https://www.tlv.se/in-english.html">https://www.tlv.se/in-english.html</a>	13, 20	
Norway	The Norwegian Medicines Agency (NOMA)	<a href="https://legemiddelverket.no/english">https://legemiddelverket.no/english</a>	21, 22	
England	National Institute for Health and Care Excellence (NICE)	<a href="https://www.nice.org.uk">https://www.nice.org.uk</a>	23-27	
Belgium	National Institute for Health and Disability Insurance (NIHDI-RIZIV-INAMI)	<a href="https://www.inami.fgov.be/fr/Pages/default.aspx">https://www.inami.fgov.be/fr/Pages/default.aspx</a>	28-30	Explicit approval of price premiums for drugs with added therapeutic benefit
France	High Authority on Health (HAS)	<a href="https://www.has-sante.fr">https://www.has-sante.fr</a>	31-33	
Germany	Federal Joint Committee (G-BA) Institute for Quality and Efficiency in Health Care (IQWiG)	<a href="https://www.g-ba.de/english/">https://www.g-ba.de/english/</a> <a href="https://www.iqwig.de/en/">https://www.iqwig.de/en/</a>	34	
Japan	Central Social Health Insurance Council (Chuikyo) Center for Outcomes Research and Economic Evaluation for Health (C2H)	<a href="https://www.mhlw.go.jp/english/index.html">https://www.mhlw.go.jp/english/index.html</a> <a href="https://c2h.niph.go.jp/en/">https://c2h.niph.go.jp/en/</a>	35-39	Use of mixed approaches, including both rating of added therapeutic benefit and pharmacoeconomic analysis
Canada	Canadian Agency for Drugs and Technologies in Health (CADTH)* Patented Medicine Prices Review Board (PMPRB) <sup>†</sup>	<a href="https://www.cadth.ca">https://www.cadth.ca</a> <a href="http://pmprb-cepmb.gc.ca/home">http://pmprb-cepmb.gc.ca/home</a>	44-46	
Italy	Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)	<a href="https://www.aifa.gov.it/en/home">https://www.aifa.gov.it/en/home</a>	40-43	Use of rating system for innovative drugs used in price negotiations

HTA indicates health technology assessment.

\*Reimbursement decisions in the province of Québec are not based on recommendations by the CADTH but the "Institut national d'excellence en santé et en services sociaux" (INESSS). We have not covered the guidelines of INESSS in this review.

<sup>†</sup>PMPRB is currently making changes to the categorization of drug innovativeness; revised guidelines have not yet been published by the time of this review.

문헌을 검토한 결과, 일반적으로 신약의 가치평가에서 고려된 요소를 분석하는 다른 연구의 결과와 일치한다. 이러한 분석은 공식적인 HTA 가이드라인에 설명된 정의와 프로세스로 제한된다는 점에 유의하는 것이 중요하다. HTA 기관이 가이드라인을 해석하는 방법이나 실제 실행에서 가이드라인에서 얼마나 벗어나는지에 대한 평가는 제공하지 않는다. 일부 국가에서는 부작용 감소 및 치료 편의성 측면을 주장할 수 있다. 그러나 대부분은 치료 혜택을 측정하는데 이용되는 임상 결과(clinical outcomes)에 이미 포함되어 있지 않으면 고려되지 않는다. 이러한 측면은 HTA가 실세계 근거(real-world evidence, RWE)를 기반으로 하는 경우가 많아지는 미래에 더 중요해질 수 있다. 예를 들어, 낮은 순응도(adherence)는 임상시험 외부에 널리 퍼져 있으며, 입원 증가 및 사망률 증가와 관련이 있다. 의약품의 사용 용이성(ease of use)을 개선하면 순응도와 건강 결과(health outcomes)에 긍정적인 영향을 미칠 수 있다. 게다가 많은 복잡한 헬스케어 시스템을 압박하는 최근 Covid-19로 인해(예를 들어, 집중치료실 또는 입원환자 수용력 과부하) 헬스케어 시스템이나 규제기관이 의약품을 평가하는 방식을 바꿀 수 있다. 예를 들어, 경구, 피하 또는 정맥 주사와 같은 투여 방식은 환자의 편안함(comfort) 뿐만 아니라 이러한 의약품이 가져오는 더 넓은 공중보건 혜택(예를 들어, 자원 이용의 감소) 측면에서도 평가될 수 있다. 추가된 치료적 가치를 넘어서 측면이 언급되는 경우에는, 대부분 더 자세히 설명하지 않

고 의사결정에 이를 포함하는 방법에 대한 지침이 모호하다. 이는 QALYs와 같은 표준적 건강결과 단위 (standard health outcome units)에서 금전적이거나 측정할 수 없는 혜택을 정량화하기 위해 일반적으로 허용되는 접근방식이 없다는 사실에 기인할 수 있다. 하나의 가치평가 내에서 다양한 요소를 수용하기 위해 몇 가지 방법이 제안되었으며, 각각은 상이한 장점을 제공하지만 아직 헬스케어 의사결정에 확립된 것은 없다. 혁신의 이러한 광범위한 측면이 보상되어야 하는 정도는 결국 사회적, 정치적 결정이 되며 간단하게 답해지지 않는다.

#### **시사점**

- 보건경제 문헌이 즉각적인 추가 치료 혜택(또는 그 위에)을 제공하지 않고도 혁신이 어떻게 가치를 창출할 수 있는지에 대한 다양한 측면을 논의하지만, 검토된 HTA 가이드라인에서는 선택적으로만 고려됨
- 대부분의 경우, 가격책정 및 보험급여 의사결정과 관련하여 추가된 치료 가치(added therapeutic value)만 중요함

출처원 : Hofmann S, et al. Value Health. 2021; 24(12):1773–1783. doi: <https://doi.org/10.1016/j.jval.2021.06.006>.

<https://www.valueinhealthjournal.com/action/showPdf?pii=S1098-3015%2821%2901594-1>

\* 본 컬럼은 의료기기를 비롯한 헬스케어 분야의 국내외 학회지에 발표된 논문 및 연구보고서 등을 살펴봄으로써 우리나라 의료기기 관련 보건의료정책 마련에 통찰력을 제공하기 위한 목적으로 매주 발표됨

**Table 2.** Countries and considered innovation aspects.

Countries	Health-related effects				Non-health-related effects		Reward mechanism
	Therapeutic improvement	Reduced side effects	Treatment convenience	Other	Scientific spillover effects	Effects outside of the health system	
Australia	Through consideration of ICER	-	-	Clinical need for conditions with no or few other treatment options might be additionally considered	-	To some extent: Nonhealth outcomes (though not further defined) can be presented in supplementary analysis.	Through economic evaluation (QALY/ICER system): For drugs with higher clinical benefit, the charged price can automatically be higher. No specified ICER threshold. Some additional aspects considered
Belgium	Added therapeutic benefit primary criterion for "class 1" (= added therapeutic benefit) designation	-	Applicability and user-friendliness are explicitly mentioned as elements of therapeutic value, which should be provided in a separate additional analysis.	Importance of drug with regards to therapeutic and social needs criterion for "class 1" (= added therapeutic benefit) designation	-	-	Price premium upon evidence of additional therapeutic benefit. Price premium negotiated. Economic evaluation only as additional information in negotiation
Canada	Clinical benefit primary factor in assessment of therapeutic improvement	Reduction in adverse reactions primary factor in assessment of therapeutic improvement (by PMPRB)	Route of administration and patient and caregiver convenience are secondary factors in assessment of therapeutic improvement (by PMPRB).	Time required to achieve the optimal therapeutic effect is a secondary factor in assessment of therapeutic improvement (by PMPRB)	-	-	Price premium upon evidence of therapeutic improvement ("breakthrough"). Prices benchmarked against foreign countries (vs internal benchmarking for drugs without therapeutic improvement)
England	Through consideration of ICER	-	-	ICER threshold increased to 50 000 for treatment at the end of life; ICER threshold increased to up to 300 000 for rare diseases. For highly specialized treatments: impact on care of persons' quality of life (included in deliberation)	For highly specialized treatments: Potential for long-term benefits of research and innovation (included in deliberation about reimbursement)	Reduction in population health inequalities (included in deliberation about reimbursement)	Through economic evaluation (QALY/ICER system): For drugs with higher clinical benefit, the charged price can automatically be higher. Specified ICER threshold. Increase of threshold for special drugs (end of life, rare diseases, highly specialized treatments)

*continued on next page*

Table 2. Continued

Countries	Health-related effects				Non-health-related effects		Reward mechanism
	Therapeutic improvement	Reduced side effects	Treatment convenience	Other	Scientific spillover effects	Effects outside of the health system	
France	Clinically relevant effect in terms of mortality or morbidity main criterion for determination of ASMR	Tolerance additional criterion for determination of ASMR	*	Unmet medical need and quality of life additional criterion for the determination of ASMR	*	*	Price premium upon evidence of additional medical benefit (ASMR); premium on the basis of EUS reference pricing and/or negotiation Economic evaluation as additional information in negotiation
Germany	Mortality, morbidity, and health-related quality of life primary outcomes for determination of therapeutic added value			Patient satisfaction can be considered insofar it refers to health-related aspects.			Price premium upon evidence of additional therapeutic benefit Size of premium negotiated Economic evaluation as additional information in negotiation
Italy	Therapeutic benefit an important criterion for reimbursement and for innovation designation	*	*	Unmet therapeutic need a criterion for innovation designation	*	*	Economic advantages for innovative drugs (exempt from mandatory discount + immediate coverage in all drug plans guaranteed) Multicriteria approach for price negotiation Economic evaluation important for price negotiation
Japan	Higher efficacy and improvement of treatment an important criteria for innovation designation	*		Beneficial drug formulation explicitly mentioned as a criterion for innovativeness price premium.	*	*	Price premium upon evidence of additional therapeutic benefit Premium defined according to algorithm Economic evaluation (including ICER threshold) used in addition

continued on next page



Table 2. Continued

Countries	Health-related effects				Non-health-related effects		Reward mechanism
	Therapeutic improvement	Reduced side effects	Treatment convenience	Other	Scientific spillover effects	Effects outside of the health system	
Norway	Through consideration of ICER	x	Difference in duration of treatment administration or travel time for patients and caregivers can be presented as costs.	ICER threshold increase possible for severe conditions	x	x	Through economic evaluation (QALY/ICER system): For drugs with higher clinical benefit, the charged price can automatically be higher. Specified ICER threshold increase of threshold for severe diseases
Sweden	Through consideration of ICER		Societal perspective in CE analyses can include cost set-offs due to easier drug administration.	Medical need and disease severity are the main principles for drug reimbursement			Through economic evaluation (QALY/ICER system): For drugs with higher clinical benefit, the charged price can automatically be higher. No specified ICER threshold
The Netherlands	Therapeutic value most critical criterion for reimbursement; further through consideration of ICER		Societal perspective in CE analyses can include cost set-offs due to easier drug administration (productivity, savings in travel time).	Necessity and burden of disease main criterion for drug reimbursement			Through economic evaluation (QALY/ICER system): For drugs with higher clinical benefit, the charged price can automatically be higher. No specified ICER threshold

Note. A review of current approaches to defining and valuing innovation in HTA. ASMR indicates Amélioration du Service Médical Rendu; CE, cost-effectiveness; HTA, health technology assessment; ICER, incremental cost-effectiveness ratio; PMPRB, Patented Medicine Prices Review Board; QALY, quality-adjusted life-year.

