

NECA - 주제 공모 연구

# 의료기술평가의 보험정책 의사결정 접목 방안 - 국제심포지엄

2013. 12. 31



## 주 의

1. 이 보고서는 한국보건의료연구원에서 수행한 연구사업의 결과보고서로 한국보건의료연구원 연구기획관리위원회(또는 연구심의위원회)의 심의를 받았습니다.
2. 이 보고서 내용을 신문, 방송, 참고문헌, 세미나 등에 인용할 때에는 반드시 한국보건의료연구원에서 시행한 연구사업의 결과임을 밝혀야 하며, 연구내용 중 문의사항이 있을 경우에는 연구책임자 또는 주관부서에 문의하여 주시기 바랍니다.

연구진

| 연구책임자                             | 참여연구원                              |
|-----------------------------------|------------------------------------|
| 안정훈<br>한국보건의료연구원<br>보건서비스분석실 연구위원 | 조송희<br>한국보건의료연구원<br>보건서비스분석실 연구사   |
|                                   | 강민주<br>한국보건의료연구원<br>보건서비스분석실 연구사   |
|                                   | 서재경<br>한국보건의료연구원<br>보건서비스분석실 주임연구원 |
|                                   | 최하진<br>한국보건의료연구원<br>보건서비스분석실 연구사   |

## 목 차

|                                     |     |
|-------------------------------------|-----|
| Executive Summary .....             | i   |
| 요약문 .....                           | iii |
| 1. 서론 .....                         | 1   |
| 2. 선행연구 및 현황 .....                  | 4   |
| 2.1 국내 의료기술평가 .....                 | 5   |
| 2.2 영국의 의료기술평가 .....                | 6   |
| 3. 국제심포지엄 .....                     | 12  |
| 3.1 국제심포지엄 프로그램 개요 .....            | 13  |
| 3.2 우리나라의 신의료기술평가와 비교효과연구 방법론 ..... | 14  |
| 3.3 영국 .....                        | 16  |
| 3.4 토론 .....                        | 19  |
| 4. 결론 및 제언 .....                    | 22  |
| 5. 참고문헌 .....                       | 25  |
| 6. 부록 .....                         | 28  |

### 표 차례

|                          |    |
|--------------------------|----|
| 표 3-1. 국제심포지엄 프로그램 ..... | 13 |
|--------------------------|----|

### 그림 차례

|                                       |    |
|---------------------------------------|----|
| 그림 2-1. 신의료기술평가 및 요양급여 결정의 상세과정 ..... | 6  |
| 그림 2-2. NICE의 의료기술평가 대상 선정 과정 .....   | 8  |
| 그림 2-3. NICE의 평가 과정 .....             | 10 |



## Executive Summary

Health Technology Assessment (HTA) is the research method used for a reasonable allocation of healthcare resources in many developed countries. Decision-making process for an efficient use of resources has to be based on the agreement and support from experienced experts since they are the providers of healthcare services. In case of UK, decision-making strategies combined with evidence-based medicine (EBM) have been applied, in order to make the process familiar to healthcare providers such as physicians. Furthermore, HTA has been undertaken by systematizing the appraisal process as a tool for assessing social values including economic evaluation. Using HTA, an agreement can be reached among providers in terms of prioritizing health technologies for coverage determinations, taking its public impact into account. In US, since the President Obama took office, Comparative Effectiveness Research (CER), which is a similar to HTA, has been promoted to streamline the national healthcare system. However, CER has been understood as the American-style HTA by European experts with extensive experiences of HTA. In addition, many European countries including UK have conducted similar type of researches to assess health technologies.

NECA hosted an international symposium with a theme of "Applying Health Technology Assessment on Decision-Making." The symposium brought together outstanding HTA experts of the United Kingdom, one of the leading HTA countries with the rational health care system. By learning a lesson from the UK experiences, we sought for a Korean style healthcare decision-making tool using HTA. During the symposium, it was presented that there are two decision-making processes in the UK: one is a decision-making process by National Institute for Health and Care Excellence (NICE) in England and Wales and the other by Scottish Medicines Consortium (SMC) in Scotland. Besides an assessment step, both have an "appraisal" step within the decision-making process. The appraisal is to reach an agreement on the result of the health technology assessment and its social value. Similar to general decision-making committees, the appraisal committee of the UK consists of clinicians, pharmacists, health economists, pharmaceutical industries and general public. The

UK appraisal committee, however, is distinguished from other committees in terms of how to derive participants or how to arrive at the agreement. The appraisal committee members in Korea, for instance, are representatives recommended by relevant organizations and societies to guarantee procedural justification. On the other hand, any rational expert not necessarily recommended by the professional society can participate in the UK appraisal committee. The committee ensures transparency and furthermore, procedural justification by opening and accounting for discussion to public.

To build an evidence based healthcare system, the HTA experts emphasized the importance of differentiating the commonly confused terms, "assessment" , "appraisal" and "the decision-making process". Currently in Korea, all three terms are commonly translated into "assessment. In U.K, "assessment" is commonly known as the health technology assessment. This further serves as a basis to produce evidence on the expected benefits, needs, impact and cost. On the other hand, "appraisal" is a term that indicates a separate process of assessing the evidence generated by the "assessment" process. This further contributes to the reimbursement decision-making process and influences healthcare policies. Final decisions on whether introduction of a new health technology would be effective are made by the policy makers. Synthesizing evidence of health technology through assessment by NECA and determining coverage through appraisal based on NECA's evidence by committees in Health Insurance Review & Assessment Service (HIRA) would be ideal to apply the current Korean system. The fact that CER has no clear appraisal process and focuses on provision and dissemination of assessment's results to professionals who are suppliers and decision-makers is the biggest difference between CER in U.S. and HTA in U.K.



## 요 약 문

의료기술평가(Health Technology Assessment; HTA)는 많은 선진국에서 건강보험재정의 합리적인 분배를 위하여 사용되고 있는 연구방법이다. 오랜 기간 수행을 거친 전문인들이 공급하는 의료의 특성상 보험재정 효율화를 위한 여러 의사결정들은 전문인 공급자들의 지지와 동의없이 그 효과를 가지기 힘들다. 영국에서는 의사들이 익숙한 근거중심의료(Evidence Based Medicine; EBM)와 의사결정을 접목하는 한편 경제성평가를 포함한 사회적 가치평가과정을 NICE Appraisal이란 이름으로 제도화하여 파급효과가 큰 급여결정 대상을 선별하는데 공급자들이 동의하고 지지할 수 있도록 의료기술평가를 시행하고 있다. 미국에서는 오바마 대통령 당선 이후 의료보험의 합리화를 위해 비교효과연구(Comparative Effectiveness Research; CER)란 이름의 HTA와 유사한 형태의 연구들을 장려하고 있다. CER은 HTA 경험이 많은 유럽의 입장에서는 HTA의 미국식 버전으로 인식되고 있고 영국을 포함한 다른 많은 유럽 국가들에서도 비슷한 연구들을 HTA란 이름으로 수행하고 있다.

본 연구에서는 의료기술평가의 선진국이자 합리적인 의료체계를 갖추고 있다는 것으로 알려진 영국의 사례들에 대하여 영국의 저명한 연자들이 참여하는 심포지엄을 통해 영국의 경험들을 배우는 기회를 통하여 한국에서도 의료기술평가를 통한 합리적인 보험정책 의사결정방법을 모색하고자 하였다. 크게 England와 Wales를 중심으로 한 NICE의 의사결정과정과 Scotland의 의약품 연합(Scottish Medicines Consortium, SMC)에 의해 이루어지는 의사결정과정들로 나뉘어 연제가 발표되었으며 두 곳 모두 appraisal이라고 하는 영국의 독특한 의사결정형태를 가지고 있다. 임상의, 약사, 보건경제학자, 제약업계와 일반시민 대표 등이 모여 의료기술평가 결과와 그 의료기술의 사회적 가치를 합의해가는 과정으로 단순히 의사결정을 위한 위원회와는 겉모습은 같지만 참가주체나 논의방식이 다르다. 한국과 같이 학회나 단체의 추천을 받은 대표가 참여하는 것이 아니라 합리성을 갖춘 특정 지역의 시민을 개인자격으로 참여시키고 논의과정을 투명하게 공개하고(transparency) 이해하기 쉽게 설명함(accountability)으로써 합의된 의사결정의 정당성을 확보해 나가는 점이 특징이라 할 수 있다.

해외연자들이 강조한 부분은 근거에 기반한 의료시스템을 구축하기 위해 일반적으로 혼동되기 쉬운 assessment와 appraisal 및 의사결정 과정의 개념 차이를 명확히 해야 한다는 것이었다. 한국에서는 두 단어가 거의 구분되지 않은 채 "평가"로 번역되어 사용되고 있지만 영국에서 assessment란 기술평가를 의미하며, 특정 기술의 도입에 의해

기대되는 이득(benefit), 필요성, 영향력, 비용에 대한 근거자료를 만드는 과정의 하나로 의료기술평가 전문가들에 의해 수행된다. 반면 appraisal은 assessment에 의해 제공된 근거자료를 평가하는 별도의 과정으로 급여결정 등 보건 의료 정책결정의 기반이 된다. 공식적인 결정은 어떠한 의료기술이나 치료법을 제공하는 것이 가장 효율적인지에 대한 판단으로 이러한 결정은 의료 체계 내에서 정책 결정권자가 내린다. 이를 한국의 현 시스템에 적용해 보자면 한국보건 의료 연구원이 assessment를 통하여 특정기술 도입에 관한 근거자료들을 만들어 내고 이런 자료들을 바탕으로 건강보험심사평가원이 운영하고 있는 약제, 치료재료, 행위 전문평가위원회 등에서 appraisal을 거쳐 급여가 결정되는 형태가 이상적이라 할 수 있다. 미국의 CER과 영국의 HTA의 가장 큰 차이는 아마도 CER에는 appraisal이 명확히 없고 assessment의 결과를 전문인들인 공급자와 의사결정자들에게 제공하고 확산시키겠다는 수준에 머물고 있는 점이라 할 수 있다.

# 1. 서 론

---

Sorenson 등 (2008)<sup>1)</sup>에 의하면 의료기술평가는 의료기술 확산의 적절한 규제와 효율적 사용을 위한 근거를 제공하는 중요한 도구이다. 의료기술평가에 있어 중요한 정치적 현안은 정책결정자 및 이해관계자의 적절한 개입과 협력, 의료기술평가의 효과적 수행방법과 과정의 투명성 그리고 의료기술평가 결과의 효율적 활용방안이다. 보건의료 정책결정에 있어 의료기술평가의 영향을 증대시키기 위해서는 위 세 가지 이슈들에 대한 논의가 필요하다. 이에 의료기술평가를 보건정책 의사결정에 반영하기 위한 다양한 노력이 있어왔으며, 한 예로 Goetghebeur 등 (2012)<sup>2)</sup>의 연구를 들 수 있다. 의료기술평가에 있어 Multicriteria Decision Analysis (MCDA)를 반영한 의사결정 틀의 효과를 확인하는 연구로써, 의약품 평가 시 도입의 필요성, 임상결과, 경제성, 근거의 질적 수준 등 다양한 평가 기준에 개인적 관점을 바탕으로 가중치를 부여하는 방법이다. 이는 보다 체계적이고 투명한 의료기술평가 방법을 개발하여 보건의료 정책결정에 활발히 반영하기 위한 일환이라고 할 수 있다.

Luce 등 (2010)<sup>3)</sup>은 의료기술평가 (HTA), 비교효과연구 (CER), 근거중심의료 (EBM)가 근거생성, 근거합성, 의사결정의 분야에서 얼마나 효능이 있는지, 유효한지, 가치가 있는지에 대해 밝히고 있다. 더불어 HTA, CER, EBM 등의 용어 정의가 명확하지 않아 의사소통의 혼란 및 잘못된 의사결정을 야기하고 있음을 지적하며, 명확한 공공정책 논의를 위하여 보다 구체적인 용어와 개념 확립이 필요함을 강조하였다.

우리나라 역시 의료기술의 발전과 더불어 급증하는 의료비 지출과 제한적 보건 의료 자원 간의 효율적 분배를 극대화하기 위해 근거 중심의 의사결정이 강조되고 있다. 그러나 의료기술평가의 수행방법 및 절차와 급여 결정에 있어 의료기술평가의 활용방안에 대한 구체적인 논의가 미흡한 실정이다. 또한 의료기술평가와 근거중심의료 간의 개념이 혼용되고 있어 의료기술평가의 범위가 불명확하다.

이에 보다 체계적이고 제도화된 영국의 의료기술평가 제도와 활용 방안을 확인하고 우리나라 제도와 비교해보고자 한다. 구체적으로 영국의 의료기술평가 정의와 관련 기관 간의 관계를 파악하고 스코틀랜드와 잉글랜드의 의료기술평가 프로그램 및 평가 기관의

- 
- 1) Sorenson C., Drummond M., Kristensen FB., Busse R., How can the impact of health technology assessments be enhanced? Health Systems and Policy Analysis. The Regional Office for Europe of the World Health Organization. 2008
  - 2) Goetghebeur MM., Wagner M., Khoury H., Levitt RJ., Erickson LJ., Rindress D., Bridging Health Technology Assessment (HTA) and Efficient Health Care Decision Making with Multicriteria Decision Analysis (MCDA). Medical Decision Making 2012; 32:376-388
  - 3) Luce BR., Drummond M., Jönsson B., Neumann PJ., Schwartz JS., Siebert U., Sullivan SD., EBM, HTA, and CER: Clearing the Confusion. Milbank Q 2010; 88(2): 256 - 276

역할을 확인함으로써 국내 실정에 적합한 의료기술평가의 발전방안과 보건정책 의사결정으로의 접목 가능한 대안을 모색하였다.

## 2. 선행연구

---

## 2.1 국내 의료기술평가

우리나라 의료법에 의하면 “보건복지부 장관은 국민건강을 보호하고 의료기술의 발전을 촉진하기 위하여 대통령령으로 정하는 바에 따라 제 54조에 따른 신의료기술평가위원회의 심의를 거쳐 신의료기술의 안전성·유효성 등에 관한 평가를 하여야한다”고 명시되어 있다<sup>4)</sup>. 일반적인 의료기술평가의 대상이 의약품, 의료기기 및 의료행위를 아우르는 것에 비해 우리나라의 신의료기술평가는 내·외과적 시술 및 검사를 대상으로 한다. 예를 들어, 재료나 장비 등이 포함된 의료기술의 경우에 재료 및 장비의 안전성 및 효능 (efficacy)은 식약처에서 평가되고 의료법에 명시된 임상적 안전성과 유효성은 신의료기술평가사업본부에서 평가되며 최종적으로 국민건강보호법령에 따른 급여 적정성 및 비용-효과성 평가가 수행된다<sup>5)</sup>. 신의료기술평가위원회의 수반사업은 건강보험심사평가원에 위탁되었으나 2010년 6월부터 한국보건의료연구원으로 이관되어 현재까지 수행되고 있다<sup>6)</sup>.

신의료기술평가의 과정을 살펴보면 신의료기술평가위원회는 신청이 접수된 의료기술에 대해 평가대상 여부를 심의하며, 심의 결과는 다시 신청인에게 통보된다. 심의에서 신의료기술 평가대상으로 인정되면 안전성 및 유효성에 대한 평가를 실시하게 되며 기존의 행위와 유사하다고 판단되면 건강보험심사평가원의 급여 결정 절차를 거치게 된다. 신의료기술평가의 평가대상은 안전성, 유효성이 평가되지 않은 의료기술로써 보건복지부장관이 평가가 필요하다고 인정한 의료기술 혹은 신의료기술로 평가받은 의료기술의 사용목적, 사용대상 및 시술방법 등을 변경한 경우로 보건복지부 장관이 평가가 필요하다고 인정한 의료기술이다<sup>7)</sup>. 안전성과 유효성 평가는 체계적 문헌고찰을 바탕으로 합성된 근거를 바탕으로 이루어진다. 신의료기술평가에 관한 규칙(보건복지부령) 제4조(평가결과의 통보 등)에 따르면 보건복지부장관은 제3조제1항에 따른 신청서를 접수한 날부터 90일 이내에 해당 의료기술의 평가대상 여부를 심의하여야 한다. 평가대상인 의료기술은 신청서를 접수한 날부터 1년 이내에 해당 의료기술의 안전성 및 유효성에 대한 평가결과를 신청인에게 통보하여야 하며, 마지막으로 평가결과, 사용목적, 사용대상, 시술방법 등을 포함한 고시를 공표하게 된다. 신의료기술평가위원회의 신의료기술평가 및 요양급여 결정의 상세과정은 아래의 그림과 같다.

4) 의료법 제 4장 제53조 제1항

5) 신의료기술평가사업본부 웹페이지. <http://nhta.or.kr/nHTA/committee/intro.jsp>

6) 안정훈 등, 신의료기술 평가제도 발전방안 연구: 신의료기술의 경제성평가 제도 도입방안. 한국보건의료연구원 2012

7) 신의료기술평가에 관한 규칙 제2조

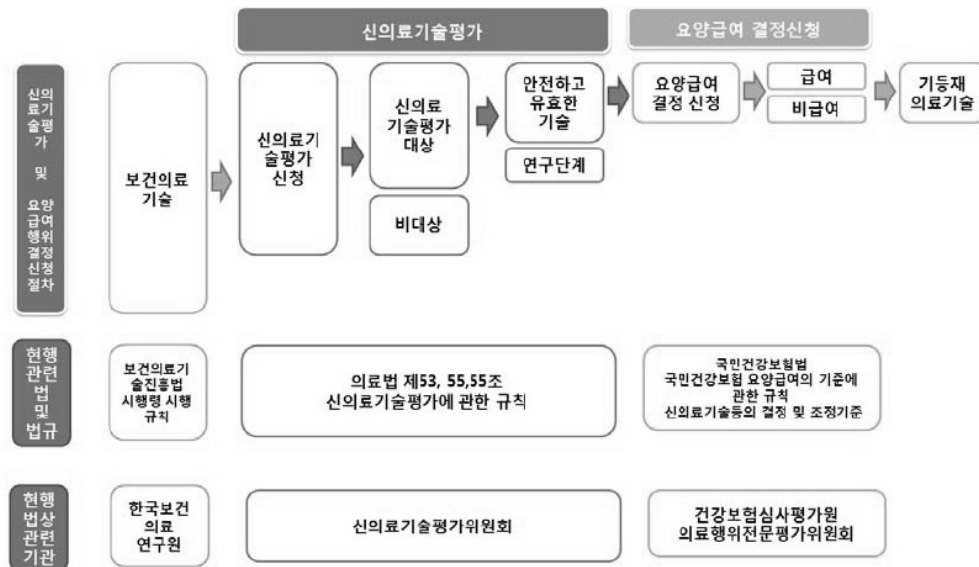


그림 2-1. 신의료기술평가 및 영양급여 결정의 상세과정(자료: 신의료기술 평가제도 발전방안 연구, NECA, 2012)

신의료기술평가의 한 예로 2013년 시행된 류마티스 관절염에서 방사선 영상진단에 대한 평가를 들 수 있다. 이 기술은 류마티스 관절염 환자에서 방사선 촬영을 통해 수부와 족부를 the modified sharp-van der heijde 방법으로 정량 평가하여 치료 반응 및 예후를 확인하는 방법이다. 평가 당시 건강보험 요양급여 비용에 등재되어 있지 않아 신의료기술평가로 분류되었으며, 체계적 문헌고찰을 바탕으로 안전성 및 유효성이 평가되었다. 평가결과 이 검사 방법은 임상적 유효성이 있으며 안전성에 문제가 없다고 판단되어 류마티스 관절염이 의심되는 환자, 류마티스 관절염 진단을 받은 환자 등을 대상으로 수행이 권고되었다. 이러한 심의결과는 보건복지부장관에게 보고되었고 보건복지부 고시로 공표되었다<sup>8)</sup>.

## 2.2 영국의 의료기술평가

국외의 의료기술평가 및 이에 대한 활용 방안은 영국을 중심으로 살펴보았다. 영국은 세계 최대의 공공재원 지원 의료시스템인 국가보건의료서비스(NHS, National Health

8) 이무열, 김진형, 최원정, 이민. 류마티스 관절염에서 방사선영상진단 [정량]. 한국보건의료연구원 신의료기술평가 사업본부. 2013.



Service)를 운영하고 있다. NHS는 잉글랜드, 스코틀랜드, 웨일즈 그리고 북아일랜드에 의료서비스를 제공하며, 각 권역은 독자적인 관리체계를 가지고 있다. NHS의 재정은 100% 중앙정부의 세금으로 충당된다. 현재 영국의 보건의료 부문은 국민들의 보건의료 수요 및 기대수준의 증가와 신의료기술의 도입 등으로 인한 의료비 지출 증가로 재정적인 압박과 보건의료재원의 부족을 겪고 있다<sup>9)</sup>. 따라서 보건의료시스템에서 재원의 효율적 활용은 매우 중대한 사안이며, 이를 해결하기 위해 영국 정부는 다양한 시도를 하고 있다. 그 한 예로 신의료기술을 도입함에 있어 의료기술평가를 통해 기술의 임상적, 경제적 효과를 평가하며 이를 바탕으로 NHS 급여 여부를 결정하도록 하고 있다.

의료기술평가는 관련된 근거와 보건의료 정책결정 간의 가교 역할을 하며, 의료기술의 적합한 사용 지침과 제한된 보건의료 재원의 효율적 분배에 대한 근거를 제시한다<sup>10)</sup>. 의료기술평가의 범위는 의약품, 의료기기 및 의료행위를 포함한다. 영국에서 의료기술평가는 오랜 기간 동안 정책결정에 있어 우선순위를 차지하였으며, 1993년 National Coordinating Centre for Health Technology Assessment (NETSCC)가 설립된 이래 활발히 수행되고 있다. 영국의 의료기술평가 프로그램은 새로운 연구 수행에 있어 체계적 문헌고찰을 기반으로 한 근거개발의 중요성이 강조되면서 설립되었다. 이 프로그램은 의료기술의 효능(efficacy)보다는 효과적 측면(effectiveness)에 대한 평가와 실용적 연구를 강조하고 있으며, 이로 인해 환자 중심의 임상결과와 비용 효과성에 대한 연구를 촉진시켰다<sup>11)</sup>.

1999년 영국의 National Institute for Health and Care Excellence (NICE)가 설립된 이후 비용 효과가 결부된 체계적 문헌고찰의 필요성이 더욱 증대되었다. NICE는 의료기술의 보건의료편익 및 경제성을 평가(appraisal)하여 영국 및 웨일스의 NHS에 해당 기술의 사용에 대한 권고를 내린다. NICE의 의료기술평가는 근거합성과 경제성 평가의 전문가들로 구성된 외부기관들이 제공하는 평가(assessment) 결과를 바탕으로 Centre for Health Technology Evaluation (CHTE)에서 수행되며, NICE의 의료기술평가 지침을 통한 권고는 NHS의 보험급여 결정에 있어 필수사항이다<sup>12)</sup>. NICE의 평가는 Single Technology Appraisal (STA)와 Multiple Technology Appraisal (MTA)의 두 종류로 나뉜다. STA는 단일 기술의 단일 적응증에 대한 평가이며, 일반적으로 신의료기술의 도입 후 신속하게 지침을 작성하기 위해 수행된다. 주로 신의료기술의 제조업체가 제출하는 근거를 외부의 독립된 기관으로 구성된 근거평가단(evidence review group)이 평가하며, 그 외 자문단, 임상전문가, 환자대표 및 NHS로부터 추가정보를 얻는다. MTA는 단일

9) 정기혜, 김용하, 이지현, 주요국의 사회보장제도: 영국. 한국보건사회연구원 2012

10) Rebecca Taylor and Rod Taylor, What is health technology assessment? The NHS and HTA 2009

11) James Raftery, Health Technology Assessment in the UK. Lancet 2013; 382:1278-85

12) NICE, Process and methods guides. Guide to the methods of technology appraisal 2013

혹은 여러 의료기술의 단일 혹은 여러 개의 적응증을 평가하며 다양한 출처를 통해 얻어진 근거를 바탕으로 Assessment Group이 의료기술평가 (HTA)를 수행한다. STA와 마찬가지로 자문단, 임상전문가, 환자대표 및 NHS로부터 추가정보를 얻는다<sup>13)</sup>. MTA의 평가 기간이 18개월인데 비해 STA는 9개월 정도이다. 평가대상에 대한 제안은 주로 National Institute for Health Research (NIHR)의 Horizon Scanning Centre를 통해 이루어지며, 그 외 임상전문가, NHS 위원, 의료정책 관련 부서를 통해 제안된다. NICE의 평가대상 선정 과정은 아래의 그림 2-2와 같다.

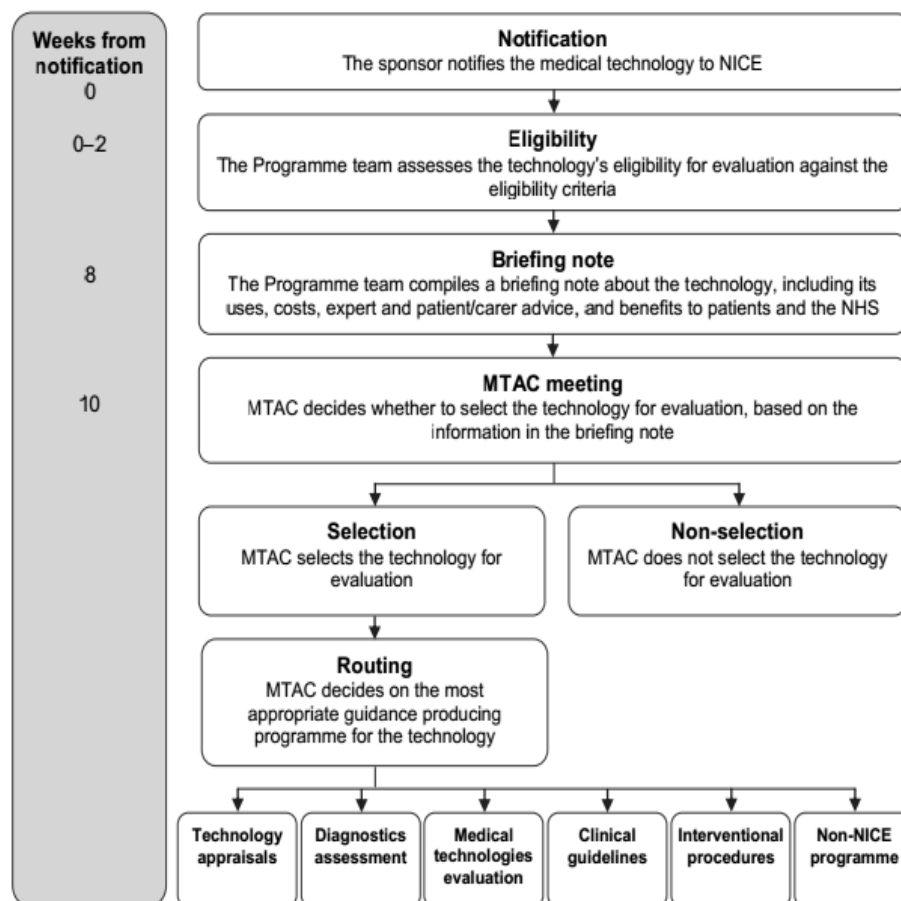


그림 2-2. NICE의 의료기술평가 대상 선정 과정 (자료: NICE. Medical Technologies Evaluation Programme - Process guide 2011)

13) Pinson, N., Thielke, A., King, V. Health Technology Assessment. Portland: Center for Evidence-based Policy 2011. Available at: [http://www.ohsu.edu/xd/research/centers\\_institutes/evidence-based-policy-center/med/index.cfm](http://www.ohsu.edu/xd/research/centers_institutes/evidence-based-policy-center/med/index.cfm)

주제가 선정되면 해당 의료기술에 대한 평가(appraisal)가 이루어지며, 이 과정은 크게 scoping, assessment, appraisal로 나눌 수 있다. Scoping 단계에서는 제안된 주제의 적정성을 검토하고 appraisal에서 다루어야 할 세부논의사항을 결정한다. Assessment는 평가대상 의료기술과 관련된 근거를 체계적으로 평가하는 단계이다. 적절한 대조기술과의 비교를 통해 임상적 유효성과 비용효과성을 평가하게 되며, 체계적 문헌고찰과 독립적인 academic group의 검토를 거친다. MTA에 대한 academic group은 'Assessment Group'으로 불리며, 독립적인 체계적 문헌고찰과 경제성 분석을 담당한다. STA에 대한 academic group은 'Evidence Review Group'으로 불리며 기술생산자가 제출한 자료를 검토 및 평가하고 필요한 경우 생산자에게 추가분석을 의뢰할 것을 NICE에게 권고한다. Appraisal 과정에서는 Appraisal Committee가 최종보고서와 분석에 포함된 근거 및 자문단, 임상전문가, 환자그룹 등으로부터 얻은 추가정보를 확인한다. 평가 과정의 전반적 흐름은 그림 2-3과 같다.

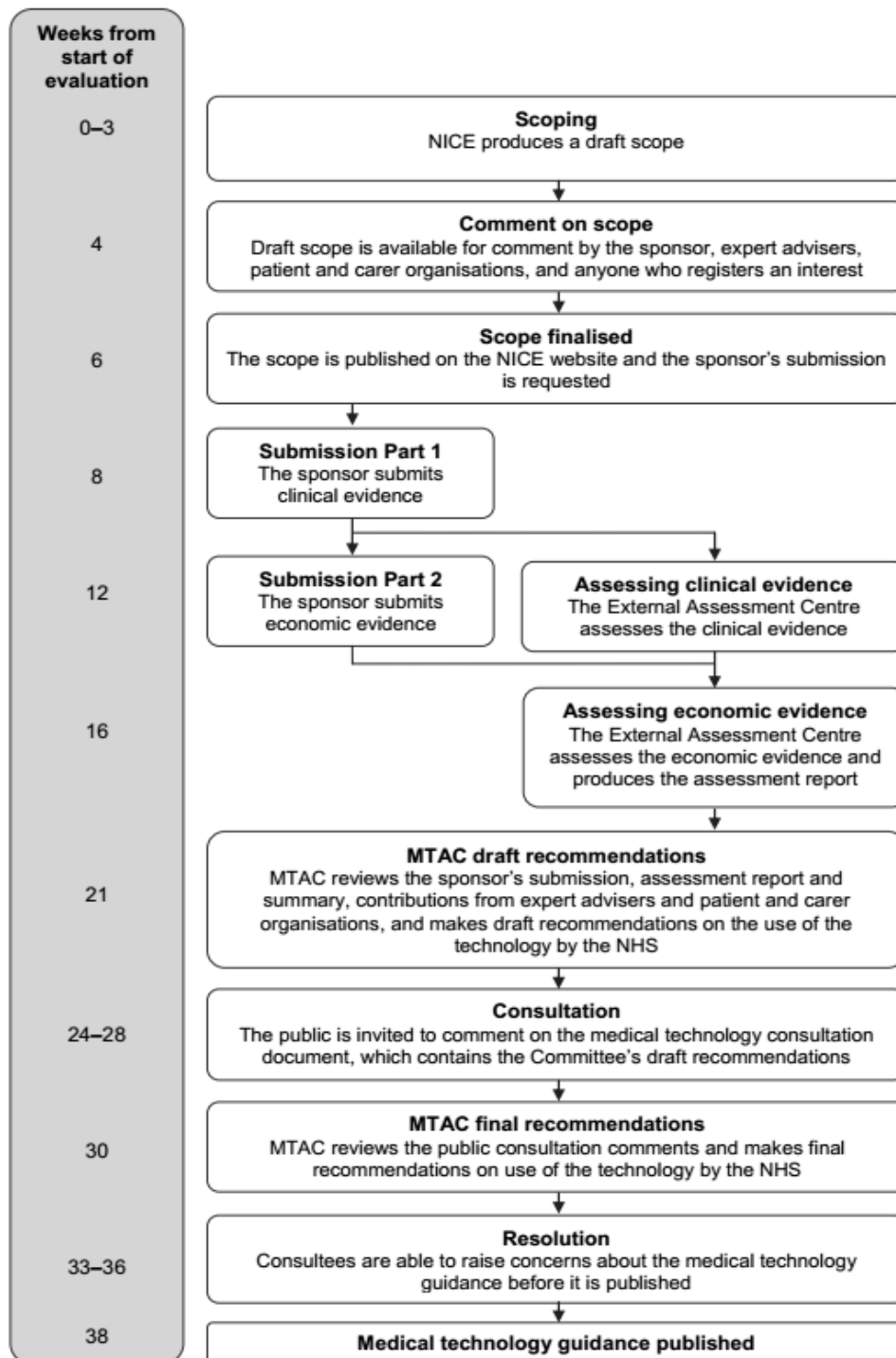


그림 2-3. NICE의 평가 과정 (자료: NICE. Medical Technologies Evaluation Programme - Process guide 2011)

NICE의 의료기술평가 결과는 크게 기술사용, 추가적 근거개발 필요, 연구의 목적으로만 사용 가능, 그리고 기술 도입을 지지하지 않음의 4가지로 구분된다. 해당 기술이 임상적, 보건의료체계 편익에 있어 충분한 효과가 있거나 기존 기술에 비해 적어도 동등한 효과가 있는 것으로 평가되었을 경우 기술 도입을 지지하게 된다. 이에 비해 기술 수용 결정을 내리기에 근거가 부족하다고 판단되었을 경우 특정 상황에서만 사용을 하도록 하며 추가적 근거 개발을 권고한다. 그 외, 해당 기술이 효과적 측면에 있어 잠재성은 있으나 불확실할 경우 연구적 측면에서의 사용을 권장하게 된다<sup>14)</sup>. 의료기술에 대한 사용 지침이 발간되면 이로부터 3개월 이내에 해당 기술에 대한 권고를 바탕으로 NHS에서 급여를 하게 되며, 이는 2002년 개정된 National Health Service Act 1977에 명시되어있다<sup>15)</sup>.

2012년 말까지 HTA 프로그램의 지원을 받은 일차연구는 총 732건이며 이중 143건의 연구가 진단 및 검사에 해당되었다. 한 예로, ProtectT 연구는 전립선암의 치료와 관련된 임상연구이며, 이를 바탕으로 HTA 프로그램은 전립선 특이 항원(PSA, prostate-specific-antigen)을 이용한 스크리닝의 유효성에 대해 2개의 체계적 문헌고찰을 수행하였다. 연구 결과에 의하면 PSA를 이용한 스크리닝은 효과적 측면에 있어 확실하지 않았으며, 따라서 사용 권고를 받지 못하였다. ProtectT 연구결과에 따라 PSA를 이용한 주기적 스크리닝은 NHS 급여 대상에 속하지 않는다<sup>16)</sup>.

14) 최윤정, 조수진. 의료기술평가 발전 방안 연구. 건강보험심사평가원 2012

15) Department of Health (2003년 7월 1일). Directions to Primary Care Trusts and NHS Trusts in England Concerning Arrangements for the Funding of Technology Appraisal Guidance from NICE

16) James Raftery, Health Technology Assessment in the UK. Lancet 2013; 382:1278-85

### 3. 국제심포지엄

---

### 3.1 국제심포지엄 프로그램 개요

2013년 3월 14일 서울대 치과병원 대강당에서 한국보건의료연구원의 주최로 개최된 의료기술평가의 정책적 활용에 대한 국제심포지엄의 프로그램은 다음과 같다.

표 3-1. 국제심포지엄 프로그램

| <2013 NECA International Symposium Program>                          |  |   |
|--|--|---|
| Main Theme: Applying Health Technology Assessment on decision-making |  |   |
| (Moderator :Seon-Heui Lee, NECA)                                     |  |   |
| 14:00~14:05<br>(5 min)   | Opening Ceremony   | <b>Sun-Hee Lee</b><br>CEO, NECA   |
| 14:05~14:15<br>(10 min)  | Congratulations  | <b>Byong-Ho Tchoe</b><br>CEO, Korea Institute for Health and Social Affairs (KIHASA)  |
| [Session 1]  |  | Chair: <b>Tae-Hwan Lim</b><br>Professor, Asan Medical Center  |
| 14:15~15:00<br>(45 min)  | Assessment, appraisal and decisions:<br>developing systems for HTA-informed<br>decision making at all levels in<br>health care | <b>Chris Henshall</b><br>Honorary Professor<br>Brunel University, UK<br>Founding President of Health Technology<br>Assessment international from 2003-5 |
| HTA in NECA  |  |   |
| 15:00~16:00<br>(60 min)  | nHTA in Korea  | <b>Moo-Yeol Lee</b><br>Senior Director, NECA  |
|  | Method for CER   | <b>Jeonghoon Ahn</b><br>Senior Director, NECA   |
| 16:00~16:15<br>(15 min)  | Coffee Break   |   |
| [Session 2]  |  | Chair: <b>Jeonghoon Ahn</b><br>Senior Director, NECA  |
| 16:15~17:00<br>(45 min)  | Optimizing HTA in Scotland<br>and England:<br>A Decade of Experience   | <b>Karen Facey</b><br>Honorary Senior Research Fellow,<br>University of Glasgow<br>Evidence Based Health Policy Consultant                              |
| 17:00~17:40<br>(40 min)  | Panel Discussion<br>* R&D support and HTA process  | <b>Karen Facey</b><br><b>Chris Henshall</b>   |

|   |                     |                          |
|---|---------------------|--------------------------|
| <ul style="list-style-type: none"> <li>* Policy related HTA</li> <li>* Who generates evidence in HTA?</li> <li>* Guideline development and implementation</li> <li>* Decision-making process at the different regional levels</li> <li>* External environment affects HTA?</li> </ul> |                     |                          |
| 17:40~17:50<br>(10 min)   | Summary and Closing | Sun-Hee Lee<br>CEO, NECA |

## 3.2 우리나라의 신의료기술평가와 비교효과연구 방법론

### 발표 1: 한국의 신의료기술평가

이무열, Senior Director, NECA

한국보건 의료원 신의료기술평가사업본부의 이무열 본부장이 한국의 의료기술평가에 대하여 발표하였다. 한국의 신의료기술평가제도는 신의료기술의 안전성과 효과를 평가하고자 하는 목적으로 2007년 도입되었다. 새롭게 개발된 의료기술이 의료현장에 도입되기 위해서는 보건복지부, 한국보건 의료연구원의 신의료기술평가위원회를 통해 신의료기술평가 대상여부를 확인받아야 한다. 이때 신의료기술평가의 대상이 되는 것은 새롭게 개발된 의료기술, 기존기술에서 사용목적, 사용대상 및 시술방법 등을 변경한 경우, 또는 보건복지부장관이 평가가 필요하다고 인정한 의료기술이다. 이때 기존기술에 해당되는 경우에는 건강보험심사평가원으로 보내지고 신의료기술은 한국보건 의료연구원에서 해당기술의 안전성과 유효성을 평가하고 이를 통과한 신의료기술에 대해 건강보험심사평가원에서 급여여부를 판단하게 된다.

신의료기술평가위원회는 의료법 제54조에 의거, 신의료기술평가에 관한 사항을 심의하기 위해 설립되었으며 보건 의료분야 전문가 20명으로 구성되어 있다. 분야별전문평가위원회는 신의료기술평가위원회의 심의사항을 전문적으로 검토하며 총 5개 분야(내과계, 외과계, 내·외과계, 치과 및 한방의료전문위원회)로 이루어져 있다. 분야별전문평가위원회의 검토 결과는 다시 신의료기술평가위원회로 보고되고 그 결과는 다시 보건복지부에 보고된다. 이와 같은 신의료기술평가 과정은 총 1년 정도가 소요된다. 2007년부터 총



1,123건의 신의료기술이 접수되었으며 이중 518건이 신의료기술 대상에 해당되어 평가를 받았다. 평가된 신의료기술 중 363건이 최종적으로 급여목록에 포함되었다.

한국의 신의료기술평가제도가 7년째에 접어들고 있지만 여전히 개선해야 할 점들이 많다. 특히 신의료기술의 특성상 임상근거가 부족한 경우가 많아 이를 평가하는 것이 어려운 경우가 많다. 또한 경제성 평가 또는 윤리적, 사회적 관점을 고려하는 방법 등에 대한 고민이 필요한 시점이다.

## 발표 2: 비교효과연구 방법론

안정훈, Senior Director, NECA

한국보건의료연구원의 안정훈 연구위원은 한국적 비교효과연구에 대한 발표를 진행하였다. 비교효과연구는 질병을 예방, 진단, 치료 또는 모니터링하거나 의료서비스의 제공을 향상시킬 수 있는 대체방법을 비교하기 위한 근거를 생성하거나 합성하는 것이다<sup>17)</sup>. 비교효과연구의 목적은 소비자, 임상전문가 및 정책결정자 등이 개인 및 전체의 보건의료의 질을 향상시킬 수 있는 결정을 내릴 수 있도록 돕는 것이다. 비교효과연구의 시행하고자 할 때, 연구주제 및 그 근거가 충분한지 여부에 따라 접근방법이 달라진다. 근거가 충분하지 않은 경우에는 비교효과 임상시험 또는 비교효과 관찰연구를 통해 근거를 생성 (evidence generation)하는 것이 바람직하다. 그러나 근거가 충분한 경우에는 체계적 문헌고찰, 메타분석, 그리고 비용-효과 분석을 이용하는 근거합성(evidence synthesis)의 방법으로 접근하는 것이 바람직하다. 그리고 진단법과 같이 복합적인 요소들이 작용할 때에는 방법 특이적인 비교효과연구를 고려해야 하는 경우도 있다.

일반적인 무작위배정 임상시험의 목적은 효능(efficacy)을 보는 것에 반해, 비교효과 임상시험은 효과(effectiveness)를 보는 것이 목적이다. 무작위배정 임상시험을 비교효과 임상시험에 반영하기에는 연구기간이 짧고 적은 수의 환자를 대상으로 주요 건강관련 결과만을 보고 하기 때문에 비효율적일 수 있다. 따라서 일반적인 무작위배정 임상시험을 비교효과연구에서 활용하고자 하는 경우, 다음과 같은 사항이 고려되어야 한다. 첫째로 위험요인 관리가 필요하다. 예를 들어 피험자가 노인인 임상시험의, 하나 이상의 동반질환을 가진 피험자가 많기 때문에 동반질환이 치료효과에 영향을 주지 않도록 조정해야한다. 둘째, 병원 또는 지역 간의 임상적 균형을 고려해야 한다. 또한 환자선호도 역시 고려해야 하기 때문에 환자중심의 접근법을 활용할 필요가 있다. 마지막으로 과학적 검증과 임

17) Institute of Medicine (IOM). Initial National Priorities for Comparative Effectiveness Research. Washington, DC. The National Academies Press. 2009

상현장에서의 타당성, 현실가능성을 바탕으로 최신기술 및 비교대안 등을 설계해야 한다.

비교효과 관찰연구는 자연적으로 발생한 인자의 노출을 탐구하여 특정 질병과의 상관 관계를 조사하는 방법이다<sup>18)</sup>. 비교효과 관찰연구는 위험집단을 대변하는 연구 집단을 대상으로 선택함으로써 보다 현실적인 환경에서 수행되기 때문에 연구결과의 일반화가능성이 높아진다. 또한 윤리적인 문제로 무작위배정 임상시험이 적절하지 않은 경우나 장기간의 추적기간이 필요할 경우 비교효과 관찰연구를 사용하는 것이 더 적절하다.

체계적 문헌고찰은 특정 연구 질문에 대해 사용 가능한 최선의 연구결과를 종합하는 연구 방법이다. 체계적 문헌고찰은 임상지침, 임상평가 등 임상현장에서의 의사결정과 보건정책 결정과정에서 근거로 사용되기도 한다. 특히, 비교효과 체계적 문헌고찰은 단일 치료의 효과를 판단하는 것에 그치지 않고 실제 임상현장에서 비교 대안들의 이득과 위해를 상대적으로 비교할 수 있다는 장점이 있다. 체계적 문헌고찰을 통해 최종선정된 연구들은 메타분석 (meta-analysis)를 통해 양적 근거합성 또한 가능하다.

비교효과연구에서 비용-효과 분석은 여러 대안의 효과와 비용을 동시에 고려하는 방법이다. 제한된 의료자원의 효율적인 배분을 위해서는 치료법/의료기술의 효능 및 안전성 뿐만 아니라 그에 따른 직·간접 비용을 고려하여 해당 치료법/의료기술의 효과 대비 비용수준이 적절한지 판단해야 한다.

최근 새롭게 개발되는 진단검사가 증가함에 따라 이에 대한 비교효과연구 필요성도 증가하고 있다. 그러나 의약품과는 달리, 진단검사를 시행하는 시술자의 지식과 기술, 진단검사 결과의 판단 및 그 이후의 치료법 적용 가능성 등 복합적인 요소들을 작용하기 때문에 연구수행에 어려움이 많다. 따라서 연구주제 및 임상현장의 상황을 세밀하게 고려하여 관련 근거를 광범위하게 수집해서 비교 평가하도록 연구를 설계해야 한다.

효과적인 의료자원 활용과 보건의료의 질 향상에 비교효과연구가 적용되어야 할 것이며 나아가 보건의료정책에 충분히 활용되기를 기대한다.

### 3.3 영국

**발표 1: Assessment, appraisal and decisions: Developing systems for HTA-informed decision making at all levels in health care**

**Chris Henshall, Honorary Professor, Brunel University, UK**

18) Concato J. et al., Observational methods in comparative effectiveness research. American Journal of Medicine. 2010;123:e16-e23

Brunel 대학교의 Chris Henshall 교수는 영국의 예를 중심으로 의료기술평가의 정의와 발전 과정에 대해 설명했다. 그가 강조한 것은 근거에 기반한 의료 시스템을 구축하기 위해 일반적으로 혼동되기 쉬운 assessment와 appraisal 및 의사 결정 과정의 개념 차이를 명확히 해야 한다는 것이었다. assessment란 기술평가를 의미하며, 특정 기술의 도입에 의해 기대되는 이득 (benefit), 필요성, 영향력, 비용에 대한 근거자료를 만들기 위해 의료기술평가 전문가들에 의해 수행된다. appraisal은 assessment에 의해 제공된 근거자료를 평가하는 것으로 급여 결정 등 보건의료 정책결정의 기반이 된다. 공식적인 결정은 어떠한 의료기술이나 치료법을 제공하는 것이 가장 효율적인지에 대한 판단으로 이러한 결정은 의료 체계 내에서 정책 결정권자가 내린다.

Health Technology Assessment International (HTAi)의 정의에 따르면 의료기술평가는 의료 기술의 도입과 보급에 대한 정책 결정과 임상적 의사 결정에 관한 연구 분야이다. 의료기술평가는 경제적, 조직적, 사회적, 윤리적인 영향력을 고려하는 연구 분야로, 이용 가능한 대안을 검토하여 의료 기술이 건강에 미치는 영향을 분석한다. 의료기술평가의 수행능력은 연구 수행이 가능한 기관과 연구에 대한 투자에 의해 결정된다. 의료기술평가 기관은 주로 비영리 공공 기관이고, 이들 기관이 의료기술평가를 직접 수행하거나, 대학교나 연구소에 위탁하기도 한다. 의료기술평가 결과에 의해 appraisal을 하고 정책 결정권자에게 조언을 하거나 결정을 직접 내리기도 한다. 재원은 정부나 공공 기관, 의료 기관 내의 기관, 대학교, 사립 연구기관, 제약회사나 사기업 등을 통해 조달한다.

의료기술평가의 필요성과 지원에 대해서는 복잡한 의료기술평가 결과와, 공식적인 평가결과에는 포함되어 있지 않는 요인들(지불 가능성, 기회비용, 보다 광범위한 비용과 효과, 사회적인 가치, 개인 환자의 선호도 등)을 고려해서 정책 결정을 내려야 하는 경우가 많다. 그렇기 때문에 정책 결정권자들은 appraisal에 의존을 하는데, 이는 전문가 위원회, 분석에 관련한 보고서, MCDA 등을 포함한 결정 지원 도구에 의존하여 이루어진다.

의료기술평가 기관 발전에 관련한 고려사항으로는 정책 결정권자가 지역적(병원 혹은 의원) 특성을 고려하여 의사나 환자 수준에서의 우선순위를 정의 내리고 이해해야 한다. 또한, 정책 결정권자들은 assessment 혹은 appraisal을 수행하는데 있어 어떠한 지원이 필요한지 알아야 한다. 그리고 현재 의료기술평가를 수행할 수 있는 능력에 대한 평가가 이루어져야 하는데, 이는 체계적 문헌 고찰, 역학, 의료 경제학, 지침 개발, 이해 관계자들의 참여도 등 의료기술평가를 수행하는 데에 요구되는 여러 가지 능력의 수준에 대해 알아보는 것이다. 정책 결정 과정을 지원하기 위한 새로운 공공기관이나 대학교 내에서 새로운 기관을 설립하고, 의료기술평가와 관련하여 발생하는 비용에 대한 투자를 늘려야 한다. 평가를 통해서 발견된 부족한 기량에 대해서는 적절한 훈련을 통해 발전시키도록 한다.

영국에서의 의료기술평가 관련 조직의 발전 역사는 다음과 같다. 1991년에 국가 보건 시스템의 연구개발 전략 프로그램을 (NHS R&D Strategy and Programme) 출범하였다. 1993년에는 의료기술평가 프로그램이 출범하였고, 1999년에는 NICE가 출범하였다. 출범 배경에는 인공수정(in vitro fertilization, IVF)과 같은 고가의 약제와 치료법에 대한 접근성의 지역에 따른 불균형 심화, 즉 “우편 번호에 따른 처방 불균형 (post-code prescribing)”에 대한 전국민적인 우려가 높아졌기 때문이다. NICE는 appraisal과 결정을 내리는 기관이다. NICE에 제출되는 의료기술평가 보고서는 의료기술평가 프로그램과 제약회사에서 작성한 것이고, NICE는 이러한 보고서를 심층적으로 검토한다.

## **발표 2: Optimizing HTA in Scotland and England: A Decade of Experience**

**Karen Facey, Honorary Senior Research Fellow, University of Glasgow, UK**

HTAi Seoul 2013의 ISPC (International Scientific Programme Committee) 공동의장이자 영국의 근거중심 의료정책 컨설턴트인 Karen Facey 선임연구위원은 스코틀랜드와 영국의 의료기술평가체계에 대하여 설명하였다.

Facey 선임연구위원은 과학적 증거, 전문가들의 판단, 환자와 대중들의 관점, 정책 결정자의 요구를 연결하기 위해서 의료기술평가가 시행되어야 한다고 하였다. 스코틀랜드의 의료기술평가가 시행을 위하여 의료기술 위원회 (Health Technology Board Scotland, HTBS)가 국민 건강 서비스 (National Health Service in Scotland, NHS Scotland)에 의약품들을 포함한 신규 및 기존 의료기술의 임상 및 비용 효과에 대한 평가 (evaluation)와 조언을 제공하기 위한 목적으로 2000년 4월에 설립되었다.

새로운 의약품 및 적응증에 대한 평가 (assessment)는 스코틀랜드 의약품 연합 (Scottish Medicines Consortium, SMC)에 의해 이루어진다. SMC는 2001년에 설립되었으며 임상의, 약사, 보건 경제학자, 제약 업계와 일반 시민 대표로 이루어져 있다. SMC는 제약 회사에서 제출한 정보를 바탕으로 의약품의 편익과 그 가격의 적절성을 분석한다. SMC는 또한 유망기술 조기탐색 (Horizon Scanning) 기능도 수행하고 있다. SMC는 Horizon Scanning 수행을 통해 개발 중인 새로운 의약품의 초기 정보를 제공함으로써 NHS 보드 내에 재정 및 서비스 계획을 개선하고 있다. 그리고 'Forward Look'이라는 연간 Horizon Scanning 보고서도 매년 10월에 발행하고 있다.

영국의 의료기술평가 프로그램은 1995년에 University of Southampton을 기반으로 설립되었으며, 2009년부터 영국 NHS 국립건강연구원 (National Institute for Health Research)의 일부가 되었다고 한다. 예산 규모는 2011년 12월 기준으로 약 9천만 파운드

이며 프로그램은 위탁 연구 방식(Commissioned research) 또는 연구자 주도 방식(Research-led proposals)으로 이루어진다.

위탁 연구 방식은 의사 결정자의 정보요구에 의해 시작 되지만 NHS 내에서만 독점적으로 진행되지 않고, 분야 전문가에 의해 개선되고 우선 순위화 과정을 거친다. 실현가능한 주제 선정에 위하여 연구의 필요성과 잠재적 연구 문제를 식별하기 위한 빠른 검토를 실행한 후, 6개 분야(의약품, 검사, 치료, 중재 절차, 예방, 심리) 패널들의 논의를 거쳐 주제가 선정된다.

연구자 주도 방식은 연구자가 그들의 주제에 대한 연구 자금 지원을 신청할 수 있다. 이 프로그램은 위탁 연구방식과 유사하게 NHS 또는 다른 정보수요 측면에서 우선순위가 정해진다. 주제 제안서는 과학적인 질 (scientific quality), 타당성 (feasibility)과 비용에 대한 가치 (value for money)에 따라 평가되며 임상 평가 및 시험 위원회 (Clinical Evaluation and Trials Board)의 검토를 거친다.

### 3.4 토론

해외 연자와 심포지엄 참석자 간의 패널 토론이 다음과 같은 내용으로 진행되었다.

Dr. Henshall에 의하면 의료기술의 R&D 지원과 의료기술평가 활용에 있어 R&D는 두 개의 과정이 있으며 이를 통해 근거가 생성되며 과학적 지원을 통해 의료기술평가를 도와주어야한다. 전문가를 평가에 참여시키거나 대학이 평가에 참여함으로써 국가마다 다른 결정을 내릴 수 있으며, 근거와 이에 대한 평가의 질이 높아 국제적으로 수용될 수 있어야 한다고 설명했다. 따라서 국제적인 scientific community의 필요성을 언급했다. Dr. Facey에 의하면 정부는 보건의료개선에 관심이 있으며, 한국의 발전된 과학기술을 의료기술평가에 접목할 수 있을 것으로 내다봤다. 특히 경제적 가치를 측정하는 것은 어렵지만 매우 중요한 과정이며, 초기 연구단계에서부터 intent innovation에 대한 고민과 논의 및 협력이 필요하다고 전했다.

의료기술평가의 정책 활용 사례에 대해, Dr. Henshall은 의료기술평가는 의사결정에 도움을 주어야하며 정책적인 측면이 강하다고 설명했다. 의사와 환자들은 기다리는데 익숙한 반면 정부는 기다리는데 익숙하지 않으며, 따라서 정책관련 의료기술평가에 있어 소요시간은 매우 큰 이슈임을 언급했다. 다시 말해 의료기술평가가 정책에 적극적으로 반영되기 위해 필요한 요소는 신속성과 높은 수준의 근거임을 명시했다. Dr. Facey에 의하면 정부 관계자는 빠른 결정을 원하는 경우가 많으나, 이러한 경우에도 근거를 기반으로한 접근법이 중요함을 강조했다. 즉 신속성만큼 절차도 중요하며, 정부 및 지방정부와

MOU를 체결하여 자율권과 정부와의 협력을 같이 도모하는 것이 중요하다고 제안했다. 업계 기반의 정보에 대한 사회적 편견에 대해서는 모든 임상정보 뿐만 아니라 경제적 측면 등을 전문가와 함께 검토하고, 공공의료 체크리스트를 통해 규제당국과 함께 협력하여 논의해야 한다고 발표하였다. 아울러 정책결정에 앞서 이해 당사자의 목소리를 모아 최종 결론을 내려야 한다고 전했다.

의료기술평가에서 근거합성의 주체가 누가 될 것인가에 대한 논의에서 Dr. Henshall은 근거를 만드는 과정은 국가적 차원이 아니라 세계적으로 표준화된 근거생산을 위해 노력해야하고, 이에 따른 정보의 공유가 필요하다고 말했다. 의사결정에 대한 근거는 보다 많은 정보를 필요로 하며, 종합적인 판단을 내리기 위한 자원(효용성, 가치 등)이 필요하다. Dr. Facey는 이해당사자(업계와 환자 등)들과 함께 논의되어야 한다고 주장하며, 더 많은 정보를 공유할수록 당위성이 높아질 수 있다고 설명했다. 의료기기에 대한 평가의 경우 실사용자 또는 경험자의 의견을 듣는 것 역시 중요하며, 환자그룹에 대한 지원이 제도화 되어있지는 않으나 중재법 측면에서의 환자그룹 참여를 권장하고, 이들에 대한 혜택도 함께 고민하고 있다고 설명했다.

가이드라인 개발에 대해서 Dr. Henshall은 NICE의 결과물이 가이드라인으로 가는 비중은 10%수준이나, 연구 초기부터 근거에 기반하여 가이드라인 만들고 있음을 언급했다. 가이드라인 개발과정에 있어 필수적인 요소가 많으며 가이드라인은 의료분야의 표준화와 질 향상이라는 측면에서 중요함을 강조했다. Dr. Facey는 잉글랜드와 스코틀랜드의 역사가 다름을 언급했다. NICE는 의료기술평가에 가이드라인 개발이라는 추가기능이 더해졌는데, 스코틀랜드가 bottom-up 방식을 쓰고 있는 반면, NICE는 top-down 방식을 적용하고 있다. 상의와의 협력을 통해 자료를 검증(비용-효과적)하는 단계를 거치며 대학에서의 교육을 통해 이를 이행하고 있다고 설명했다.

지역 간 의사결정과정에 있어 Dr. Henshall에 의하면 유럽은 1997년부터 이 부분에 대한 논의를 해오고 있다. 시스템을 전세계적으로 보고 전체적인 통일성을 고려하는 것이 중요하며 각 지역수준으로 의사결정과정을 위임하는 데는 서로 갈등이 있을 수 있음을 명시했다. 특히 지역마다 다른 의견이 나올 경우 의사결정의 일치성에 문제가 있을 수 있음을 주의해야 한다고 언급했다. 또한, 국가 간 다양성에 대해 고민하고, 이들을 아우를 수 있는 표준화된 방법론이 필요하며, 누구나 근거에 접근할 수 있도록 해야 한다. 따라서 국가 간 협력이 중요한 요소이며, 이를 위해 EUnetHTA라는 유럽 의료기술평가 기관의 네트워크가 존재한다. 안정훈 연구위원의 부가적 설명에 의하면 EUnetHTA는 각 회원인 의료기술평가기관들 간에 서로 공유가 가능한 프로젝트들의 데이터베이스를 만들고 있다고 한다.

마지막으로 의료기술평가에 있어 외부 환경요인의 영향에 대해 논의하였다. Dr. Henshall에 의하면 의료기술평가 수행 시 항상 여러 사건이 일어나기 마련이며, 정치적인 개입이 있을 수 있다. 이러한 여러 사건에 적절하게 대처하는 것이 필요하며 이 때 독립성 유지가 관건이다. NICE의 성공 요인 중 하나는 조율자로서 senior manager의 역할(조율자)이었다. 전문성과 독립성을 갖추되 외부환경에 유연하게 대처할 수 있어야 함을 강조했다. Dr. Facey는 의료기술평가와 업계 및 환자와의 상관관계가 중요함을 언급했다. 의료기술평가 과정에서 업계와 환자의 참여를 유도하고 이를 통한 신뢰가 확보되어야 하며, 책임감과 이해당사자들의 신뢰가 확보된 의료기술평가가 되어야 외부에 더 큰 영향력을 발휘할 수 있음을 명시했다.

## 4. 결론 및 제언

---



의료기술평가(Health Technology Assessment; HTA)는 많은 선진국에서 건강보험재정의 합리적인 분배를 위하여 사용되고 있는 연구방법이다. 오랜 기간 수행을 거친 전문인들이 공급하는 의료의 특성상 보험재정 효율화를 위한 여러 의사결정들은 전문인 공급자들의 지지와 동의 없이 그 효과를 가지기 힘들다. 영국의 의료기술평가는 그 곳의 의사들이 익숙한 근거중심의료 (Evidence Based Medicine; EBM)와 의사결정을 접목하여 EBM의 근거수준을 받아들이는 한편 경제성평가를 포함한 사회적 가치평가과정을 NICE Appraisal이란 이름으로 시행하여 과급효과가 큰 보험급여결정들을 선별하여 공급자들이 동의하고 지지할 수 있는 형태로 시행하고 있다. 미국에서는 오바마 대통령 당선 이후 의료보험의 합리화를 위해 비교효과연구 (Comparative Effectiveness Research; CER)란 이름의 HTA와 유사한 형태의 연구들을 장려하고 있다. CER은 HTA 경험이 많은 유럽의 입장에서는 HTA의 미국식 버전으로 인식되고 있고 영국을 포함한 다른 많은 유럽 국가들에서도 비슷한 연구들을 HTA란 이름으로 수행하였다고 말하고 있다.

본 연구에서는 의료기술평가의 선진국이자 합리적인 의료체계를 갖추고 있다고 존경받는 영국의 사례들을 영국의 저명한 연자들을 초청하여 심포지엄을 통해 영국의 경험들을 배우는 부분을 중심으로 한국에서도 의료기술평가를 통한 합리적인 보험정책 의사결정방법을 모색하였다.

해외연자들이 강조한 부분은 근거에 기반한 의료 시스템을 구축하기 위해 일반적으로 혼동되기 쉬운 assessment와 appraisal 및 의사 결정 과정의 개념 차이를 명확히 해야 한다는 것이었다. 한국에서는 두 단어가 흔히 차이 없이 평가로 번역되어 사용되고 있지만 영국에서 assessment란 기술평가를 의미하며, 특정 기술의 도입에 의해 기대되는 이득 (benefit), 필요성, 영향력, 비용에 대한 근거자료를 만들기 위해 의료기술평가 전문가들에 의해 수행된다. 반면 appraisal은 assessment에 의해 제공된 근거자료를 평가하는 것으로 급여 결정 등 보건의료 정책결정의 기반이 된다. 공식적인 결정은 어떠한 의료기술이나 치료법을 제공하는 것이 가장 효율적인지에 대한 판단으로 이러한 결정은 의료 체계 내에서 정책 결정권자가 내린다. 이를 한국의 현 시스템에서 적용해 보자면 한국보건의료연구원이 assessment를 통하여 특정기술도입에 관한 근거자료들을 만들어 내고 이런 자료들을 바탕으로 건강보험심사평가원이 운영하고 있는 약제, 치료재료, 행위 전문평가위원회들에서 appraisal을 거쳐 급여가 결정되는 형태가 이상적이라 할 수 있겠다. 미국의 CER과 영국의 HTA의 가장 큰 차이는 아마도 CER에는 appraisal 과정이 명확히 없고 assessment의 결과를 전문인들인 공급자와 의사결정자들에게 제공하고 확산시키겠다는 정도로 그치고 있는 점이라 할 수 있다. CER과 HTA의 지향점에는 공통분모도 존재하는데 보험급여 등 의료에 대한 의사결정에 있어 환자의 역할이 중요시

되고 있다는 점이다. 영국의 appraisal에서도 공급자가 이해하지 못하는 치료의 간극으로 인해 환자의 참여가 중요시 되고 있고 미국의 CER에서도 환자중심의 성과 (Patient Centered Outcome)가 핵심가치이다. 앞으로 한국의 급여결정 등에 있어 어떻게 환자들의 참여를 이해당사자가 아니라 합리적인 논의대상으로 참여시킬 수 있을지에 대한 고민도 더욱 필요해 질 것이다.

## 5. 참고문헌

---

신의료기술평가사업본부 웹사이트, Available from: URL: <http://nhta.or.kr/nHTA/commit-tee/intro.jsp>

의료법 제 4장 제53조 제1항, Available from: URL: <http://www.law.go.kr/lsInfoP.do?lsiSeq=106850#0000>

안정훈 등, 신의료기술 평가제도 발전방안 연구: 신의료기술의 경제성평가 제도 도입방안. 한국보건의료연구원 2012

이무열, 김진형, 최원정, 이민, 류마티스 관절염에서 방사선영상진단 [정량]. 한국보건의료연구원 신의료기술평가사업본부 2013

정기혜, 김용하, 이지현, 주요국의 사회보장제도: 영국. 한국보건사회연구원 2012

최윤정, 조수진. 의료기술평가 발전 방안 연구. 건강보험심사평가원 2012

Concato J. et al., Observational methods in comparative effectiveness research. American Journal of Medicine. 2010;123:e16-e23

Department of Health (2003년 7월 1일). Directions to Primary Care Trusts and NHS Trusts in England Concerning Arrangements for the Funding of Technology Appraisal Guidance from NICE

Goetghebuer MM, Wagner M, Khoury H, Levitt RJ, Erickson LJ, Rindress D, Bridging Health Technology Assessment (HTA) and Efficient Health Care Decision Making with Multicriteria Decision Analysis (MCDA). Medical Decision Making 2012; 32:376-388

Institute of Medicine (IOM). Initial National Priorities for Comparative Effectiveness Research. Washington, DC. The National Academies Press. 2009

James Raftery, Health Technology Assessment in the UK. Lancet 2013; 382:1278-85

Luce BR, Drummond M, Jönsson B, Neumann PJ, Schwartz JS, Siebert U, Sullivan SD, EBM, HTA, and CER: Clearing the Confusion. Milbank Q 2010; 88(2): 256 - 276

NICE, Process and methods guides. Guide to the methods of technology appraisal 2013

Pinson, N., Thielke, A., King, V. Health Technology Assessment. Portland: Center for Evidence-based Policy 2011. Available at: <http://www.ohsu.edu/xd/research/centers-institutes/evidence-based-policy-center/med/index.cfm>

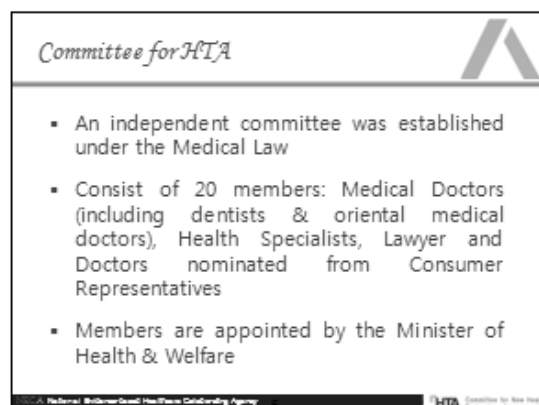
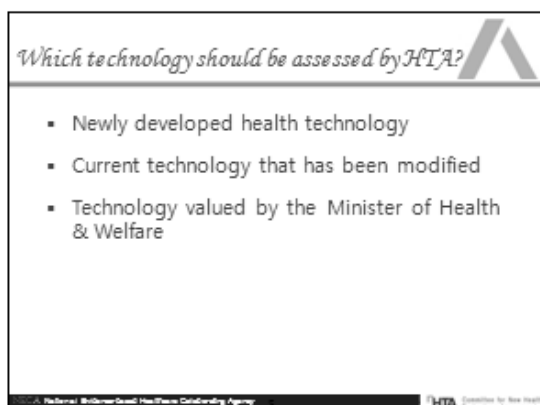
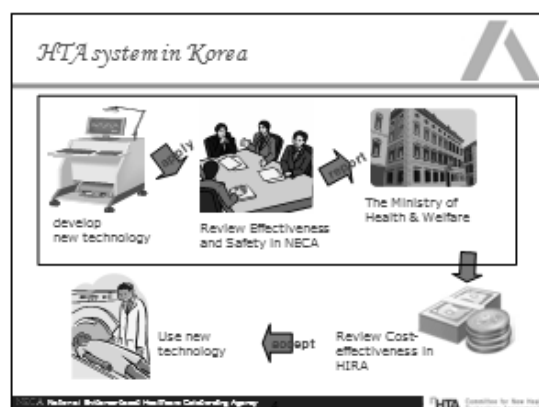
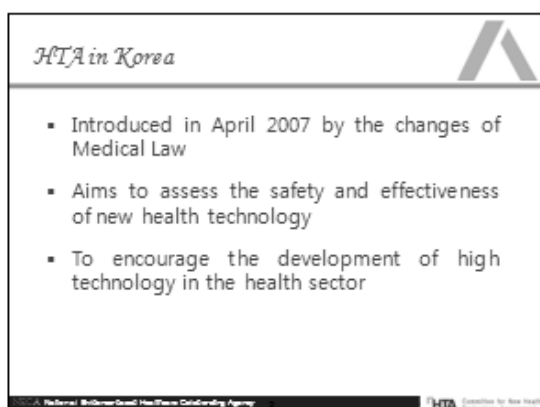
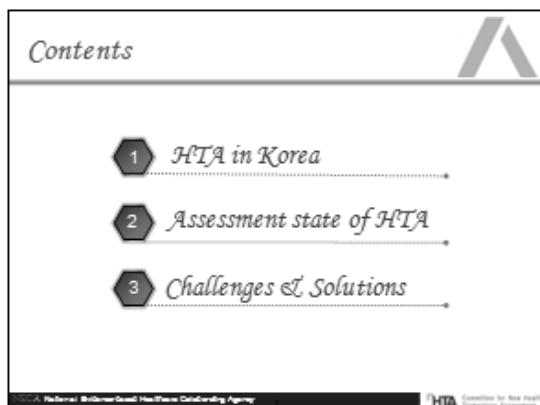
Rebecca Taylor and Rod Taylor, What is health technology assessment? The NHS and HTA 2009

Sorenson C., Drummond M., Kristensen FB., Busse R., How can the impact of health technology assessments be enhanced? Health Systems and Policy Analysis. The Regional Office for Europe of the World Health Organization. 2008

## 6. APPENDIX

---

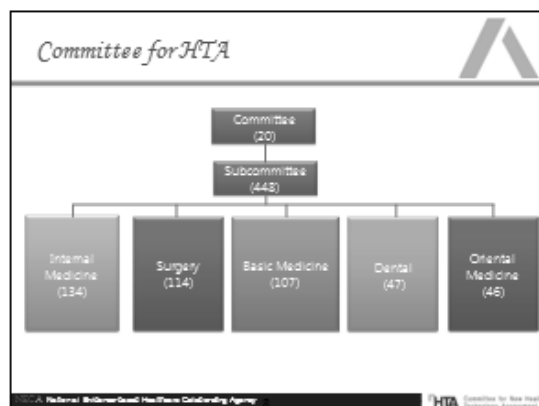
## 국내 발표 1: 한국의 신의료기술평가 (Health Technology Assessment in Korea)



### Subcommittee for HTA

- The Committee for HTA has 5 special Subcommittees
- The Special Subcommittee consist of 448 medical doctors
- Subcommittees practically assess the submitted new technology
- The results are reported back to the Committee for HTA

NECA National Biobank/Genetic HealthCare Collaborating Agency HTA Committee for New Health Technology Assessment



### Administration and research

- The HTA Department in NECA provides necessary administration and research services.
- Number of staff : 26 Persons
  - ✓ Director : 1 Persons
  - ✓ Planning team member : 6 Persons
  - ✓ Research team member : 19 Persons

NECA National Biobank/Genetic HealthCare Collaborating Agency HTA Committee for New Health Technology Assessment

### 2 Assessment state of HTA

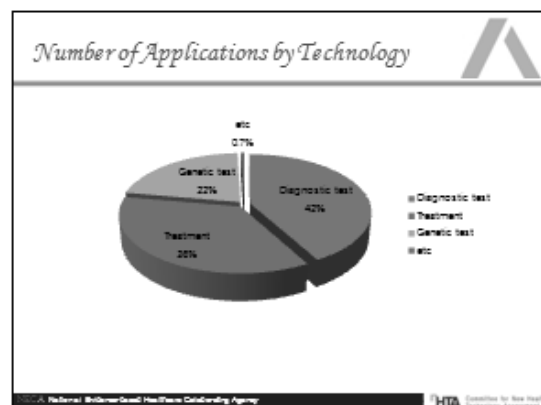
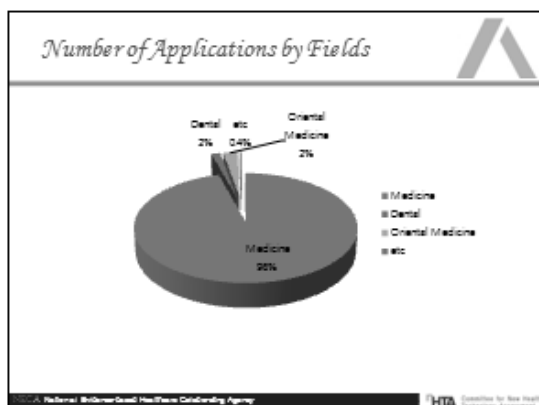
NECA National Biobank/Genetic HealthCare Collaborating Agency HTA Committee for New Health Technology Assessment

### Assessment of the new health technology

- 55 applications in 2007, 359 applications in 2008, 142 applications in 2009, 135 applications in 2010, 194 applications in 2011, 238 applications in 2012 have been submitted to the committee.
- Totally, 1,123 applications have been submitted.
- 518 applications were eligible for assessments.
- 489 assessments have been completed by the committee and reported to the Ministry.
- 363 of them are recommended for public funding.

NECA National Biobank/Genetic HealthCare Collaborating Agency HTA Committee for New Health Technology Assessment





- Challenges of HTA in Korea*
- Support health technologies which are insufficient in clinical studies.
  - Support is needed by technologies which possess potential profits to the people, but are not able to get evidence through literatures because of ethical reasons.
- HTA Committee for New Health Technology Assessment

- Others*
- How to do the economic evaluation?
  - When (and How) to consider ethical or social aspect?
  - Rational assessment or political, economic and organisational pressures?
  - HTA-based policy or clinical freedom?
- HTA Committee for New Health Technology Assessment

국내 발표 2: 비교효과연구 방법론 (Korean Comparative Effectiveness Research)

### Medical Evidence Eras in the US

- 1970's: Health Technology Assessment (HTA)
- 1980's: Effectiveness Research
- 1990's: Outcomes Research
- 2000's: Evidence-Based Medicine
- Current: "Comparative Effectiveness Research"

1 Joel Hay, presentation at the NECA

### Evidence Based Medicine

- The Cochrane Collaboration Website

Evidence-based medicine is the conscientious, explicit and judicious use of current best evidence in making decisions about the care of individual patients. The practice of evidence-based medicine means integrating individual clinical expertise with the best available external clinical evidence from systematic research [3].

Originally from David Sackett et al. 1996. *BMJ* 312 (7023): 71-2.

2

### Contradicted and Initially Stronger Effects in Highly Cited Clinical Research

John P. A. Ioannidis, MD

**Context:** Controversy and uncertainty ensue when the results of clinical research on the effectiveness of interventions are subsequently contradicted. Controversies are most prominent when high-impact research is involved.

**Objectives:** To understand how frequently highly cited studies are contradicted or find effects that are stronger than in other similar studies and to discern whether specific characteristics are associated with such refutation over time.

**Design:** All original clinical research studies published in 3 major general clinical journals between 1990 and 2003 and cited more than 1000 times.

**Results:** Of 1000 studies, 49 claimed that the intervention had a statistically significant effect. Of these, 77% were contradicted by subsequent studies. 77% of the contradicted studies had a higher initial effect size than the subsequent studies. 20% of the contradicted studies had a higher initial effect size than the subsequent studies. 20% of the contradicted studies had a higher initial effect size than the subsequent studies.

**Conclusion:** Non-RCT Studies are much more likely to be contradicted by later findings.

4

### Health Technology Assessment and Evidence-Based Medicine: What Are We Talking About?

David Eddy, PhD, MD  
Antimedes, Inc., San Francisco, CA, USA

HTA and Evidence-Based Medicine: What Are We Talking About?

Figure 1. Relationship of evidence-based medicine and technology assessment.

4

### The IOM definition of CER

"Comparative effectiveness research is the generation and synthesis of evidence that compares the benefits and harms of alternative methods to prevent, diagnose, treat, and monitor the or improve the delivery of care. The purpose of CER is to assist consumers, clinicians, purchasers, and policy makers to make informed decisions that will improve health care at both the individual and population levels."

The key elements of this definition are the direct comparison of effective interventions, the study of patients in typical day-to-day clinical care, and the aim of tailoring decisions to the needs of individual patients.

Institute of Medicine (IOM). *Initial National Priorities for Comparative Effectiveness Research*. Washington, DC: The National Academies Press; 2009.

### Conceptual model for the development of the Potential for Benefit Scale (PBS)

Medical Care • Volume 48, Number 6, Supplement 1, June 2010

FIGURE 3. Conceptual model for the development of the Potential for Benefit Scale (PBS).

5

## INSUFFICIENCY OF EFFICACY TRIALS

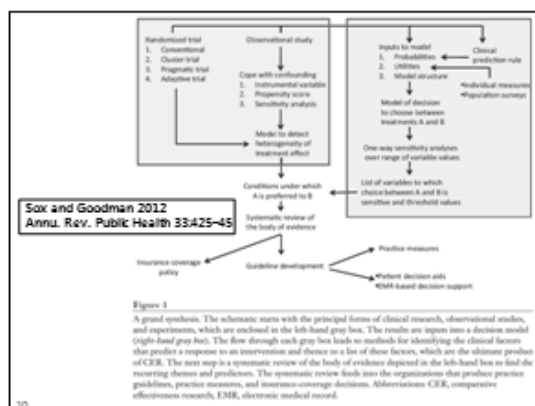
- Use of surrogate (intermediate) outcomes
  - Efficacy trials often use surrogate outcomes and have short follow-up period
- As Tunis and Chalkidou (JTAHC 2007) pointed there are other important gaps in evidence remaining after efficacy trials for regulatory purpose
  - Information about risks, benefits, and costs in a real world setting
  - Comparative effectiveness and values
  - Risks and benefits of combination therapy with existing technology
  - Sub-group treatment effects

## Conventional Methods

- Generation of Evidence
  - Primary research
  - Original research
  - Clinical trials + outcomes research
- Synthesis of Evidence
  - Systematic review
  - Exhaustive search on completed research
  - Systematically summarizing search results
  - Characterizing strength and shortcomings of each research

## More Methods

- Methods for Effectiveness
- Comparison to active comparator not placebo
- Bayesian meta analysis
- Propensity score
- Machine learning approach
- Prediction modeling by simulation
- Patient preference elicitation
- And so on



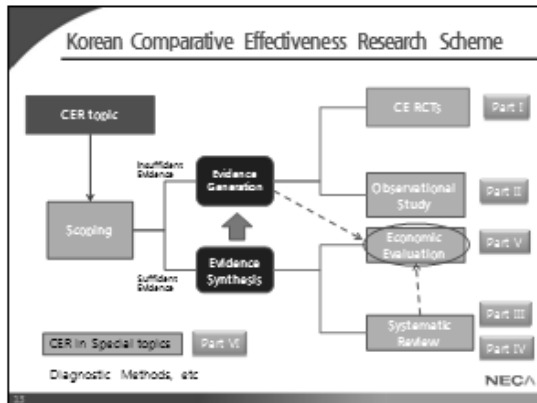
## PCORI Methodology Report 2012

Figure 4.2 Decision Tree for Comparative Effectiveness of Therapies



## NECA Research Methods Series 7: A Summary of Methods for Comparative Effectiveness Research





**Special Considerations for Korean CER**

- Evidence Generation
  - Maximizing the utility of the National Health Insurance Claims Database: Observational Study with a good research design analyzing a EMR data linked with NHI claims may be an efficient solution
- Evidence Synthesis
  - Generally more efficient method except when ethnic difference should be considered
- More sophisticated flow chart needs to be developed in the future

NECA

국외 발표 1: Assessment, Appraisal and Decisions: developing systems for HTA-informed decision making at all levels in health care

### Overview

- HTA – definition and development
- Assessment, appraisal and decisions
- Decision making in health care
- HTA capacity
- HTA Agencies
- Appraisal needs and support
- Organization and development of HTA and appraisal capacity within a country/system
  - General considerations
  - Example of England

### HTA (HTAi definition)

HTA is a field of scientific research to inform policy and clinical decision-making around the introduction and diffusion of health technologies... HTA is a multidisciplinary field that addresses the health impacts of technology, considering its specific healthcare context as well as available alternatives. Contextual factors addressed by HTA include economic, organizational, social, and ethical impacts. The scope and methods of HTA may be adapted to respond to the policy needs of a particular health system.

### Origins and development of HTA (1)

- Originated in US Congressional Office of Technology Assessment (OTA)
- Initially applied to “big ticket” equipment eg CT and MRI (cost concerns)
- Developed to address specific equipment-related interventions eg laproscopic cholecystectomy (safety and efficacy concerns) . . .
- . . . and then to address drugs (cost-effectiveness concerns), frequently using incremental cost utility analysis

### Origins and development of HTA (2)

- Increasing worldwide interest and use of HTA approach and framework to support decisions, particularly in cost-limited systems
- Application of HTA to devices and procedures in increasing
- Increasing demands from industry, patients and clinicians for HTA systems to be transparent and contestable
- Increasing use of “managed entry agreements” in response to increasing pressures on health care systems to manage costs while allowing patients access to promising and/or expensive new treatments
- Increasing interest in HTA and disinvestment
- Increasing awareness of the need to assess clinical care options/pathways as well as individual technologies

### Overview

- HTA – definition and development
- Assessment, appraisal and decisions
- Decision making in health care
- HTA capacity
- HTA Agencies
- Appraisal needs and support
- Organization and development of HTA and appraisal capacity within a country/system
  - General considerations
  - Example of England

### Assessment, appraisal and decisions (1)

- Important to distinguish between
  - **Assessment**: the technical assessment of technologies or care options to develop or synthesize evidence on benefit, need, impact, cost, context etc
  - **Appraisal**: the appraisal (consideration - formal or informal) of evidence from **assessments**, alongside other relevant information (eg availability of financial and other resources, political or system priorities) to develop recommendations for a
  - **Formal decision** about what technologies/care to offer/provide

## Assessment, appraisal and decisions (2)

- Assessments are undertaken by HTA experts
- Decisions are made by those with relevant responsibility/authority in the health care system
- The appraisal of assessments and other relevant evidence can be complex. Decision makers may undertake appraisal themselves, or (particularly when decision are likely to come under public scrutiny) may seek help from expert advisors and/or formal structures such as an expert committee or external body with representation or input from relevant stakeholders

## Overview

- HTA – definition and development
- Assessment, appraisal and decisions
- Decision making in health care
- HTA capacity
- HTA Agencies
- Appraisal needs and support
- Organization and development of HTA and appraisal capacity within a country/system
  - General considerations
  - Example of England

## Decision making in health care

Decisions relating to the use of health technology take place at various levels in the health care system:

- National/health system level
  - Availability
  - Recommended use/good practice in system
- Sub-national level (eg region)
  - As for national
- Hospitals/clinics
  - As for national
- Professional bodies
  - Good professional practice
- Patient level (individual patient/doctor/family)
  - Best option given symptoms, co-morbidities, patient preferences and circumstances, availability and costs

## Overview

- HTA – definition and development
- Assessment, appraisal and decisions
- Decision making in health care
- HTA capacity
- HTA Agencies
- Appraisal needs and support
- Organization and development of HTA and appraisal capacity within a country/system
  - General considerations
  - Example of England

## HTA Capacity

- HTA may be undertaken
  - Within government or government-sponsored bodies or agencies – nationally or regionally
  - Within the health care system or health-system-sponsored bodies or agencies – nationally, regionally or locally
  - In universities or public or private research institutes for customers at all levels in the health care system, and elsewhere
  - Within governments or health care systems or their agencies, or universities and institutes in other countries
  - In industry
- HTA may be funded by
  - Government health ministry
  - Healthcare system
  - Industry
  - Government research/science ministry
  - Independent foundations

## HTA Agencies

- HTA Agencies
  - Term “agency” normally used to refer to a public body of some kind, funded, managed and/or responsible directly or indirectly to government or a public or not-for-profit health system
  - May be at national, regional, local level (and note discussion in Europe about European “agency”)
  - May be responsible for some or all of the following:
    - Undertaking HTA in-house
    - Commissioning HTA from others – eg universities, research institutes
    - Appraising evidence from HTA (internal or external) to provide advice or recommendations to decision makers (individuals or bodies/committees)
    - Making decisions
- Factors relevant to establishment of Agency in a country/region
  - Extent and location and availability of relevant scientific capacity
  - Extent to which a unit within or directly accountable to government or the health service is seen to be competent to
    - Conduct scientific research
    - Work independently and without bias

### Overview

- HTA – definition and development
- Assessment, appraisal and decisions
- Decision making in health care
- HTA capacity
- HTA Agencies
- Appraisal needs and support
- Organization and development of HTA and appraisal capacity within a country/system
  - General considerations
  - Example of England

### Appraisal needs and support

- HTA findings may be complex, and decisions typically need to take account of factors not addressed in formal assessments (eg affordability and opportunity costs, wider costs and benefits, social values regarding equity of access, “rule of rescue”, individual patient preferences, etc)
- Decision makers often therefore look for help with “appraisal”
- This can come in various forms
  - Experts or expert committees
  - Analytic reports/advice – as part of “HTA” report and/or in addition (perhaps providing advice on a group of relevant HTA reports and taking account of other relevant factors)
  - Decision support tools
    - MCDA – with varying use of numerical algorithms
    - Evidence-based decision tool-kits for system and individual level use

### Overview

- HTA – definition and development
- Assessment, appraisal and decisions
- Decision making in health care
- HTA capacity
- HTA Agencies
- Appraisal needs and support
- Organization and development of HTA and appraisal capacity within a country/system
  - General considerations
  - Example of England

### Organization and development of HTA and appraisal capacity

- Assess needs of decision makers
  - Define/understand what is decided where in the health system – including regional, local (hospital/clinic) and patient/doctor levels
  - Determine the needs of all decision makers for assessment and appraisal support
- Assess current capacity
  - Assess extent and location of current capacity in constituent disciplines and skills required for HTA and appraisal (information science, systematic reviewing, epidemiology, health economics, guideline development, stakeholder involvement)
- Organize and develop capacity to support decision making
  - Where necessary, form new agencies, departments, units etc within government, healthcare system, universities etc
  - Fund any increases required in HTA activity
  - Develop and implement recruitment/training programmes to address skills shortages
  - Set up job descriptions, funding and incentives to engage decision makers in defining HTA needs and priorities and to focus HTA work on these

### Development and organization of HTA and appraisal capacity – England 1

- 1991 launch of NHS R&D Strategy and Programme
- 1993 HTA programme launched
  - District Health Authority “Commissioners” (circa 100), hospitals (circa 400) and doctors/patients seen as key decision maker “customers”
  - Decision to include both primary research (CER – cf role of Medical Research Council) and secondary research/systematic reviews (what most countries call HTA)
  - Systematic review-type HTA reports commissioned with user-friendly summaries
  - Decision not to create DH or NHS “Agency”; work commissioned from universities, and major training programmes launched
  - Toolkits and expert advisory systems developed to support commissioning

### Development and organization of HTA and appraisal capacity – England 2

- 1999 National Institute for Clinical Excellence launched
  - Increasing concern at “post-code prescribing” for high cost drugs and procedures (eg IVF)
  - NICE remit was to look at (short) list of such interventions, referred to it by Ministers
  - NICE is an appraisal and decision body
    - HTA reports come from HTA programme and industry submissions
    - NICE commissions technical support for its Appraisal Committees to critically review HTA reports from industry and elsewhere, and other relevant data
  - Interventions referred by Ministers included high cost drugs, so NICE attracted acute scrutiny from industry
  - This and other factors led to an intensive “Rolls Royce” approach which places heavy demands on appraisal committee members and technical support from universities
  - NICE now has much wider remit – including Guidelines – but its technology appraisals still use a lot HTA resources for relatively few interventions
  - Commissioners remain responsible for most key decisions, but often have little access to HTA and appraisal support (of Scotland!)

### Concluding comments

To achieve an evidence-informed health care system:

- Important to distinguish between assessment, appraisal and decision making
- Important to understand
  - what decisions are made and by whom in the health care system (including at hospital and doctor/patient level)
  - what their needs are for assessments and appraisal support
- Important to organize and develop assessment and appraisal capacity to address those needs credibly and efficiently (remembering the role of the university sector and the wide availability of international resources)



## 국외 발표 2: Optimizing HTA in Scotland (and England): A decade of experience

### HTA in Scotland and England

- Health systems – Scotland and England
- Development of HTA in Scotland  
(with reflections on England)
- 18 years of primary HTA  
(comparative effectiveness) research in England

[www.healthcareimprovementscotland.org](http://www.healthcareimprovementscotland.org)  
[www.nice.org.uk](http://www.nice.org.uk) and [www.netsoc.ac.uk](http://www.netsoc.ac.uk)


### NHS SCOTLAND

- Population = 5.2 million, budget ~£11 billion
- Taxation based health system, no co-payments
- 14 health boards - payers/providers providing primary, community, acute care
- Challenges – financial austerity, ageing population, expensive new treatments/devices
- ~12% spent on prescribing in primary care
- Drug prices set by UK, devices negotiated through Scottish and local procurement



### NHS

- Population = 56.1 million, budget £109 billion
- Taxation based health system, with capped co-payments
- NHS Trusts manage hospital, community care and mental health services
- Clinical Commissioning Groups (involving all GP practices) can commission from NHS or private providers (>200)
- Drug prices to set by Value Based Pricing, devices negotiated through local and national procurement



### Health Technologies

Any intervention that may be used to promote health, to prevent, diagnose or treat disease or for rehabilitation or long-term care.

The term encompasses drugs, devices, clinical procedures and health care settings

### Barriers to Using HTA

(Milbank Memorial Fund, 2000)

- Lack of access
- Complex and technical language
- Questionable data quality
- Absence of real-world applications
- Narrow focus
- Arrives too late

### Health Technology Board for Scotland

(Into force 1 April 2000)

The Board will exercise the following functions of Scottish Ministers:

the evaluation and provision of advice to the National Health Service in Scotland (NHS Scotland) on the clinical and cost effectiveness of new and existing health technologies, including drugs

### Forms of Evaluation

- Adaptation of NICE Multiple Technology Appraisals for Scotland
- Full HTAs on complex issues involving a range of technologies
- Assessment of all new medicines and new indications via the Scottish Medicines Consortium
- Annual budget: £2 million

### Full HTAs

- Clinical effectiveness
- Cost effectiveness and budget impact
- Patients' perspectives
- Organisational issues

To provide a bridge between scientific evidence, the judgement of health professionals, the views of patients and the general public, and the needs of policy-makers

### HTBS Process for HTA



### Status of HTBS Advice

"NHSScotland should take account of advice and evidence from HTBS and ensure that recommended drugs and treatments are made available to meet clinical need."

Health boards not following HTBS Advice will need to explain their position, which should be a clinical view about whether a treatment is appropriate, not a board going against HTBS Advice.

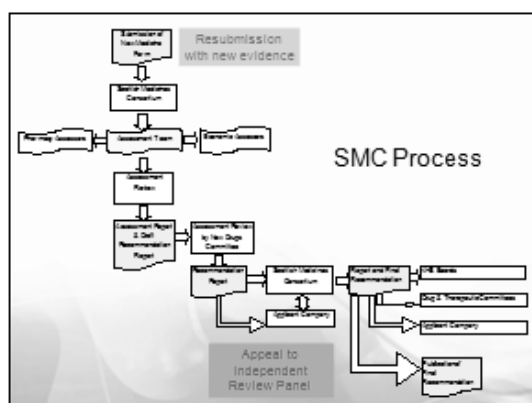
### Scottish Medicines Consortium (SMC)

SMC established in 2001 to provide advice for Scotland on status (*clinical and cost effectiveness + patient issues*) of all new medicines, new formulations & new indications as soon as practicable after market launch.

Uses structured evidence submissions from manufacturers and patient organisation.

If a medicine has not been assessed by SMC it should not be used routinely in Scotland.

[www.scottishmedicines.org.uk](http://www.scottishmedicines.org.uk)



### SMC New Drugs Committee

- Membership: approximately 20 professionals skilled in *critical appraisal*
  - Pharmacy assessors, economists
  - Hospital and primary care physicians
  - Nurses, Public Health Consultants
- No reanalysis, but "clarifications" with manufacturers
- Produce Draft Advice

### SMC Appraisal

- Consortium of the 14 health boards in Scotland - Health board managers; clinicians, pharmaceutical advisers, economists from each Area Drug and Therapeutics Committees
- Three public members
- Three members from Industry Association ABPI
- 38 members with equal voting rights and process for management of interests
- *Pool of clinical experts*
- Review company submission, expert advice, patient evidence submission, NDC Draft Advice

### SMC developments – Modifiers

- No formal Cost/QALY threshold, only part of wider judgement of value
- When Cost/QALY is relatively high other factors may modify the decision, including
  - Substantial improvement in life expectancy (e.g. median gain of 3 months) or QOL
  - Specific or extra benefit to a sub-group that can be targeted in practice
  - No other licensed therapeutic options of proven benefit
  - Bridging to a definitive therapy (curative surgery)

### SMC advice

- SMC advice issued to health boards one month before publication on website
  - Accepted for general use
  - Accepted for restricted use
  - Not recommended for use
- NHSScotland should take account of advice and evidence from the SMC and ensure that recommended medicines are made available to meet clinical need
  - Advice is considered in local formulary decision

### SMC Collaboration with Industry

- User Group Forum chaired by ABPI member
- 11 individual industry members, 1 other from ABPI
- 2 NDC members and SMC secretariat
- Dialogue and joint work to improve processes
  - Evidence submission form
  - Summary Information for Patients
  - Communication
  - Workshops on common pitfalls
  - Horizon scanning database
- Involvement in team that develops Patient Access Schemes



### Scottish Collaboration with patients

- Patient and Public Involvement Group
- Led by umbrella patient organisation
- Development of evidence submission form
- Examples of good evidence submission forms
- Public Involvement Officer supports evidence submissions and provides feedback
- Plain English explanations of process (and why all medicines cannot be made available)



### SMC and the decision makers

- Since 2005, SMC issue annual confidential "Forward Look" report estimating potential budget impact at 1 and 5 years after launch for drugs identified in horizon scanning
  - Review of actual costs vs budget impact estimates underway
- Health Boards expected to reach a decision on SMC Advice in 90 days and publish within next 14 days

### Deadly cost of delays over drug approval

"Lives being put at risk by deeply flawed system"

**HELEN PATTICK**  
NHS Correspondent

Will critics for opposing new drugs for use in the NHS in Scotland's health system, despite being and could cost lives, according to a Labour MP.

In Robert Hoggan, a former doctor, and his constituents are confused by the process and it has caused a public outcry. He was speaking as an independent body moves to regulate privately the sector.

"The consensus we have across Scotland is if you have any form of drug, it must be the same, one way. For me, it's a matter of life and death."

"The consensus we have across Scotland is if you have any form of drug, it must be the same, one way. For me, it's a matter of life and death."

The approval process for new drugs in Scotland is a complex one, involving the NHS, the Scottish Government, and the UK government. It is a process that is often criticized for being slow and costly.

Dr Hoggan's comments were made at a meeting of the Scottish Parliament, where he was speaking to the Health Committee. He was criticizing the current system for being too slow and too costly, and for putting lives at risk.

He said that the current system for approving new drugs in Scotland is "deeply flawed" and that it is "putting lives at risk". He called for a "radical overhaul" of the system, and for the NHS to have more control over the approval process.

He also said that the current system is "too slow" and "too costly", and that it is "not working for patients". He called for a "new system" that would be "faster", "cheaper", and "more patient-centred".

### Scottish Health Technologies Group

- Advisory body established in 2007 by Scottish Government, Independent Chair since 2010
- Produces HTA Horizon Scanning and Update Reports of published HTAs and systematic reviews of topics that are of interest in Scotland
- Performs reviews of international research published in English on non-drug technologies and presents a balanced and impartial summary of the evidence

### SHTG Evidence Products

- Scoping Report (1 month, 1000 words)
  - Secondary research relating to clinical and cost effectiveness (HTAs/Cochrane/systematic reviews)
  - No formal appraisal, highlight limitations
- Evidence Note (3 months, 2220 words)
  - Update scoping search and add in new primary studies
  - More on health technology description & epidemiology
  - Limited appraisal of internal and external validity
- Systematic Reviews
- Full HTA

### SHTG Advice

- Quantity/quality/consistency of evidence for
  - Clinical effectiveness (including safety)
  - Cost impacts
  - Context
- Evidence products are accompanied by "Advice Statements" - independent, objective advice to support planning and decision making in health boards
- Peer review by topic referrer, clinical experts, manufacturers, patients

### SHTG members

- Health Boards: Chief Executives, Medical Directors, Directors of Public Health, Primary Care, Finance & Planning
- National Procurement and Planning
- Public partner (2), Industry (2), HTA Expert
- Scottish Government
- HIS + researchers and economists
- *Sub-group form Evidence Review Committee – staff do the assessment*

### Topic selection

- Lots of potential topics!
- Standard referral form, mainly from health service planners
- Must provide clear additional benefit, or have uncertainty about clinical and cost effectiveness, or show wide variation in use, or have major impact on resources or on NHSScotland
- Quality improvement if assessment done now?
- Can focussed HTA questions be prepared?
- Is there sufficient published research?

### Recent SHTG Advice Notes

- Silver dressings
- Temporal artery thermometers
- Radiofrequency ablation (lung cancer, renal cancer, Barrett's oesophagus)
- Referral for first and second eye cataract surgery
- Functional electrical stimulation for dropped foot
- Bariatric surgery



### Health and Wealth

The Scottish Government

#### Statement of Intent for Innovation in Health

Vision: Scotland is a world leading centre for innovation in health through partnership working between Government, NHSScotland, industry and the research community.

Aims to double economic contribution of Life Sciences to Scottish economy by 2020.

NHS should become a pivotal stimulator of innovative products. Strong partnership with industry to ensure NHS encourages development, marketing & adoption of medicines that are better matched to its needs and are evidence based.

29

### The Figures

- NICE £59 million – 500 staff for all functions
- SMC – 18 staff
- SHTG – A few staff and growing
- Lots of volunteers from health boards  
(and industry and patient organisations)

30

## English Context – HTA Programme

- HTA Programme established in 1995 in University of Southampton (John Gabbay)
- Primary and Secondary HTA research
- Since 2009 as part of the NHS National Institute for Health Research
- Budget approximately £90million - 2011/12

## Comparative Effectiveness Research



## Other UK HTA CER published in 2013

- Randomized Controlled Trial (RCT) for management of asthma in school age children on therapy
- Cluster randomized trial of physiotherapy telephone assessment and advice services
- Development of a risk model for identification of non-neutropenic, critically ill adult patients at high risk of invasive Candida infection

## UK HTA CER published 2012

- RCT for treatments of whiplash injuries
- RCT studying melatonin in children with neurodevelopmental disorders and impaired sleep
- RCT of reminiscence groups for people with dementia
- RCT of urethral catheters in hospital
- Pilot RCT in Intensive Care Unit comparing antibiotic regimens for hospital acquired infection of unknown origin
- Longitudinal cohort study of effectiveness and cost-effectiveness of enzyme replacement therapies in lysosomal storage disorders

## UK HTA CER highlights

### 2011

- Cohort study of safety of antidepressants in older people
- RCT of treatment for urinary incontinence after prostate surgery
- RCT of panel assay of POCT cardiac markers in ED
- RCT of radiotherapy following breast-conserving surgery
- RCT of automation vs manual cervical screening

### 2010

- Evaluations of various aspects of national flu vaccination programme in light of H1N1

## UK HTA Commissioned Research

- Four calls per year
- Six Panels (pharmaceuticals, screening, therapeutic & interventional procedures, prevention, psychological)
- Viable potential topics – ultra rapid review to identify unmet research needs & potential research questions
- Discussed by Panel
- Selected ones developed into full Commissioning Brief
- All Panels send Commissioning Briefs to Prioritisation Strategy Group
- Selected ones advertised
- Commissioning Board reviews proposals and research is commissioned

### UK HTA Researcher-Led Proposals

- Open and Themed Calls
- Outline Proposals to Panel for scoring
- Selected Outline Proposals to Prioritisation Strategy Group
- Shortlist about 30 for Full Proposals
- Full Proposals reviewed by Clinical Evaluation and Trials Board and selected research is commissioned



### A Needs-Led/Science-Added approach

1. Proactive engagement with decision makers to identify needs for research
2. Development of commissioning briefs to encourage high quality applications in important areas of research
3. Multi-faceted determination of need and importance of research applications
4. Rigorous assessment of the scientific quality of research applications
5. Targeted review by external experts

### A Needs-Led/Science-Added approach

6. Active monitoring to support researchers
7. High quality publications of all studies
8. Patients and public at the heart of research
9. Research on research to improve quality and efficiency.

**발행일** 2014. 4. 21  
**발행인** 임태환  
**발행처** 한국보건의료연구원

이 책은 한국보건의료연구원에 소유권이 있습니다.  
한국보건의료연구원의 승인없이 상업적인 목적으로  
사용하거나 판매할 수 없습니다.

