

Типы и методы проведения научного анализа исходов

Ю.Ю. Чурилин

Центр фармакоэкономических исследований, Москва

Клиническая ценность каждого лекарственного препарата определяется его эффективностью, переносимостью и безопасностью. В связи с появлением большого количества препаратов на фармрынке у медицинских работников есть возможность выбора оптимальной терапии с точки зрения фармакоэкономической оценки. Для этого используются различные типы научного анализа исходов. Ниже представлены четыре основных типа научного анализа исходов:

- анализ минимальных затрат или анализ всех издержек;
- анализ эффективности и затрат;
- анализ полезности и затрат;
- анализ затрат и результатов.

Приемлемое соотношение стоимости и эффективности и/или стоимости и полезности в некоторых странах стали необходимым условием для включения в лекарственные формуляры, дотируемые государством.

Ряд исследований по анализу исходов лечения осуществляется с проведением проспективных клинических испытаний на контрольных группах. Испытуемые включаются в группы лечения по принципу случайной выборки, а ход их лечения отслеживается во времени. Эти исследования могут проводиться слепым методом с двойным контролем. Конечные цели и методы анализа определяются на этапе планирования исследования.

Эффективность использования медицинских услуг в естественных условиях подвергается мониторингу в течение заранее фиксированного периода времени. Естественные условия составляют важную отличительную черту научного анализа исходов лечения. При традиционных клинических исследованиях частота визитов испытуемых, количество применяемых процедур и вариантов лечения определяются Протоколом исследования. В противоположность этому анализ лечебных исходов в естественных условиях предполагает подсчет параметров применения медицинских услуг без учета влияния методов исследования, так как пациенты посещают медицинские учреждения в соответствии с наработанной практикой последних. Сбор данных о проспективных клинических исследованиях, проводимых в естественных условиях, может поставить перед исследователями совершенно новые вопросы.

Гораздо чаще проводятся ретроспективные клинические исследования, подразумевающие анализ данных уже завершенных исследований. Типичным случаем является отбор и оценка информации о пациентах, получавших интересующее исследователя лечение. На основании данных о результатах двух разных видов лечения составляются две группы. В зависимости от цели исследования анализируются сведения, полученные при визитах

к врачу, а также сведения об оказании медицинских услуг иного характера. Эти клинические исследования осуществляются в условиях организованной системы медицинской помощи и при наличии данных по продолжительным клиническим исследованиям.



Рис. 1. Общепринятые типы научного анализа исходов.

Продолжительные клинические исследования (longitudinal studies) могут быть рандомизированными или нерандомизированными и предполагают наблюдение пациентов в течение продолжительного времени.

Анализ минимальных затрат
(CMA - Cost-minimization analysis)

Клинические исследования по критерию минимальных затрат предназначены для определения меньших затрат на реализацию одного из двух или более методов лечения. При этом их клиническая эффективность либо

известна, либо считается эквивалентной. При проведении таких исследований учитываются все виды медицинского обслуживания, относящиеся к каждому методу лечения, и определяются затраты на них.

Расчет производится по следующим формулам:

$$CMA = DC_1 - DC_2$$

или

$$CMA = (DC_1 + IC_1) - (DC_2 + IC_1),$$

где

CMA - показатель разницы затрат;

DC₁ - прямые затраты при применении 1-го метода;

IC₁ - косвенные затраты при применении 1-го метода;

DC₂ и IC₁ - соответственно прямые и косвенные затраты при применении 2-го метода.

Пример клинического исследования с помощью анализа минимальных затрат. Критерий минимальных затрат можно использовать, например, для сравнения двух эффективных гипохолестеремических средств. При таком исследовании накапливаются данные по результатам лечения двух групп испытуемых, получающих один из препаратов. Если у одного из препаратов оказывается больше неблагоприятных реакций, пациентам могут потребоваться дополнительные визиты в медицинские учреждения. Связанные с этим затраты, включая дополнительные диагностические исследования, обязательно отразятся на повышении стоимости лечения данным препаратом. Розничная цена каждого препарата также учитывается при проведении клинического исследования по критерию минимальных затрат.

Клиническое исследование, предназначенное для оценки затрат на один метод лечения без сравнения его с каким-либо другим, можно назвать Анализом всех издержек. Исследование, учитывающее все прямые и косвенные затраты, связанные с лечением какого-либо конкретного расстройства без учета метода лечения, называется Анализом затрат на препарат против конкретной болезни. Полученная в ходе такого анализа информация может оказаться полезной для фармацевтической компании, приступающей к разработке лекарственного средства, имеющего соответствующие показания. Данные анализа всех издержек помогают определить, достаточна ли финансовая прибыль от продажи исследуемого препарата. Эти данные могут быть также полезны при продвижении на рынок лекарства, использование которого снижает затраты на медицинское обслуживание.

Анализ эффективности и затрат (CEA - Cost-effectiveness analysis)

Наиболее привычным и, возможно, наиболее полезным видом клинических исследований исходов лечения является Анализ эффективности и затрат. При этом

сравниваются общие затраты на весь объем медицинских услуг, связанных с разными видами лечения, с их клиническими эффектами. Анализ эффективности и затрат основывается на исследованиях путем анализа минимальных затрат с учетом как эффективности, так и затратности метода лечения. Это помогает выделить те виды лечения, которые, вероятно, будут дороже, но которые сбалансированы благодаря большей клинической эффективности.

Данный тип анализа рассчитывается по формуле:

$$CEA = (DC + IC) / Ef,$$

где

CEA - соотношение «затраты-эффективность» (показывает затраты, приходящиеся на единицу эффективности, например, на одного вылеченного больного);

DC - прямые затраты,

IC - непрямые затраты,

Ef - эффективность лечения (процент вылеченных больных).

Пример исследования с помощью анализа эффективности и затрат. Для сравнения могут быть выбраны два лекарства для борьбы с недержанием мочи. Главной конечной целью определения эффективности лекарственного средства является поддержание определенного уровня качества жизни пациента. Для оценки этого уровня по стандартной схеме отбираются обоснованные показатели, включая субъективную оценку пациента. Другой конечной целью является определение затрат на весь объем медицинского обслуживания, относящийся к лечению данной патологии. В него обязательно входят визиты к врачу, лабораторные тесты, хирургическое вмешательство или другие дополнительные средства лечения.

Если в результате затраты на лечение оказались сходными, но одна группа пациентов обращалась за помощью к хирургу чаще, чем другая, то результаты лечения по критерию эффективности будут, безусловно, разными. Один из альтернативных вариантов может оказаться более дорогостоящим и, тем не менее, он может быть более эффективным по отношению к затратам. Эффективность затрат не обязательно совпадает с экономией затрат.

Единицы, используемые для измерения эффективности, обычно соотносятся с соответствующими показателями к использованию лекарственного средства. Для оценки потенциальных результатов лечения обычно применяется система характеристик, включающая снижение уровня смертельных исходов, выписку из больницы в жизни- и работоспособном состоянии и новые годы жизни, приобретенные после лечения. Для хронических заболеваний нефатального характера эта система является менее объективной. В этом случае могут использоваться характеристики качества жизни.

Это уместно по отношению к любому расстройству, снижающему функциональные возможности пациента, в частности, к психическим заболеваниям, болезням органов дыхания, неврологическим расстройствам. В настоящее время ведется работа по совершенствованию стандартных характеристик, относящихся к уровню качества жизни.

Клинические исследования по оценке эффективности затрат имеют серьезные теоретические перспективы, однако на практике их использование ограничено. Проспективные разработки в параллельных группах могут оказаться дорогостоящими и отнимают много времени. Например, при хронических заболеваниях необходимо продолжать исследования до окончания лечения в течение продолжительного периода времени. Кроме того, достаточно трудно сформировать группы с точными критериями сравнения. Затраты на наблюдение выбранной для сравнения группы могут быть сокращены, если имеются надежные данные о затратах на лечение, к примеру, информация о результатах предыдущих клинических исследований по критерию минимальных затрат. Однако данные по выбранной для сравнения ретроспективной группе могут уменьшить обоснованность выводов по проведенному клиническому исследованию.

Анализ эффективности и затрат является весьма действенным методом экономической оценки лекарственных средств. Но при этом он обладает двумя основными недостатками, ограничивающими его применение в определенных условиях. Эти ограничения состоят в следующем: а) будучи одномерным, он не может использоваться для сравнения различных видов врачебного вмешательства, которые оказали разное воздействие на состояние здоровья; б) указывая наиболее эффективный путь действия, он не позволяет определить его общественную полезность.

Анализ полезности и затрат (CUA - Cost-utility analysis)

Для случаев, когда врачебное вмешательство дает многомерные результаты, экономисты разработали метод анализа по критерию «стоимость-полезность», пытаясь интегрировать данные измерений различных эффектов в одну шкалу.

Анализ полезности и затрат представляет собой тип клинического исследования по критерию эффективности затрат, который переводит клинический исход лечения в плоскость его «полезности». Она определяется как некая преференция (предпочтение, преимущество) пациента. Для измерения полезности затрат широко применяется критерий отношения количества лет продолжительной жизни к ее качеству (Quality-Adjusted-Life-Years - QALY). Это позволяет охарактеризовать проводимое ле-

чение путем прогнозирования особенностей и качества предстоящей жизни, которые можно ожидать в течение прогнозируемого срока выживания. Другими словами, это сопоставление количества лет жизни с уровнем ее качества на данный срок.

При проведении этих исследований затраты на лечение сопоставляются с критерием полезности (QALY). Например, исследователи могут указать, что новая технология будет стоить (или сэкономить) 100 000 долларов по отношению к критерию QALY, полученному в результате анализа. При наличии таких данных появляется возможность сравнить разные терапевтические курсы, опираясь на учет затрат на лечение (сбережение средств) по отношению к критерию QALY.

Расчет полезности и затрат производится по следующим формулам:

$$CUA = ((DC1 + IC1) - (DC2 + IC2)) / (Ut1 - Ut2)$$

или

$$CUA = (DC + IC) / Ut,$$

где

CUA - показатель приращения затрат на единицу полезности, соотношение «затраты-полезность» (т.е. стоимость единицы полезности, например, одного года качественной жизни);

DC1 и IC1 - прямые и косвенные затраты при 1-м методе лечения;

DC2 и IC2 - прямые и косвенные затраты при 2-м методе лечения;

Ut1 и Ut2 - утилитарность при 1-м и 2-м методах лечения.

Пример использования анализа полезности и затрат. При лечении больных раком мочевого пузыря *in situ* два лекарства уже доказали свою способность к увеличению периода выживаемости. Препарат А увеличивает его на два года, а препарат В - на четыре года. Однако болезненные ощущения, связанные с применением препарата В, снижают способность пациента работать или активно проводить свободное время, в силу чего снижается качество жизни пациента. Ознакомившись с этими данными, некоторые пациенты могут выбрать препарат А, предпочитая жить меньше, но иметь при этом более высокое качество жизни.

Таким образом, акцент делается не только на клиническую эффективность, но и на оценку полезности лекарственного средства для пациента.

Анализ затрат и результатов (CBA - Cost-benefit analysis)

Другим видом клинического исследования по критерию эффективности затрат является анализ затрат и результатов. Он позволяет компенсировать второй

Типы клинических исследований исходов

Вид анализа	Характеристика исходов лечения	Критерий затрат
Минимальные затраты (все издержки, стоимость лечения)	Предполагается, что все курсы лечения имеют эквивалентные результаты; исходы лечения не измеряются	Денежное выражение прямых и косвенных эффектов
Эффективность и затраты	Описание эффектов, достигаемых посредством обычной клинической практики; группы отражают конкретные случаи	
Полезность и затраты	Стандартизированные характеристики полезности, в частности, отношение количества лет продленной жизни к её качеству (QALY)	
Затраты и результаты	Денежное выражение исходов лечения	

недостаток анализа эффективности и затрат (СЕА), связанный с невозможностью оценить общественную ценность лекарственного средства. В этом случае за единицу оценки клинических результатов, связанных с тем или иным методом лечения, принимается денежный эквивалент. Таким образом, можно сравнивать прямые затраты на лечение с денежным выражением непосредственного эффекта от клинического результата. Такой способ сравнения представляется логичным, однако существует разногласие в оценке подобных результатов: как, например, в денежном выражении представить сохраненную жизнь или дополнительные годы жизни? В силу этих и многих других трудностей анализ затрат и результатов используется редко.

Пример использования анализа затрат и результатов.

— Были подсчитаны затраты, связанные с новым методом терапии артериальной гипертонии. Обнаружено снижение числа смертельных исходов в группе получавших данное лечение по сравнению с пациентами, не прошедшими данный курс. Проведение анализа по критерию затрат и результатов потребовало выразить в долларах увеличение жизни пациента при использовании нового курса лечения, после чего можно сопоставить полученный эффект с затратами на лечение артериальной гипертонии данным методом.

Перспектива научного исследования определяет план исследования. Научное исследование с использованием анализа исходов должно организовываться и планироваться исходя из представления о предстоящей работе. Исследования обычно осуществляются с учетом маркетинговых задач, однако решения по оплате лечения поразному принимаются разными участниками лечебного процесса - пациентами, отдельными врачами, государственными организациями здравоохранения, третьими сторонами в лице страховых компаний, а также учреждений, обеспечивающих медицинскую помощь. План исследования и затраты, закладываемые в смету проведения анализа, должны соответствовать целям и задачам той группы, которая, как ожидается, будет использовать результаты исследования.

Виды затрат. В ходе клинического исследования ис-

ходов подсчитываются два вида затрат: прямые и косвенные. Примеры прямых и косвенных затрат приведены в табл. 2. Прямые затраты отражают расходы на продукты и услуги как медицинского, так и немедицинского характера. Косвенные затраты не требуют указания прямых расходов, однако они, безусловно, имеют экономическую составляющую.

Экономическая составляющая по отношению к обществу. Учреждениям здравоохранения и другим государственным учреждениям безразличны затраты, связанные с тем или иным заболеванием или лечением, равно как и их влияние на качество жизни. При проведении исследований, имеющих подобную социальную составляющую, исследователи должны подсчитывать все прямые и косвенные затраты.

Для достижения большей гибкости в использовании получаемых данных важно отделять затраты немедицинского характера от медицинских затрат. При этом все они должны найти отражение в социальной составляющей, поскольку даже косвенные затраты оказывают влияние на общество через соответствующие налоги и снижение трудоспособности.

Экономическая составляющая со стороны плательщика. Государственные и частные страховые компании являются фактическими покупателями оплачиваемых видов лечения. Их основная забота - прямые медицинские затраты. Прямые немедицинские затраты имели бы для них значение только в том случае, если бы страховка покрывала и эти затраты. Организации медицинского обслуживания и другие учреждения здравоохранения являются страхователями. Они принимают на себя ту долю экономической составляющей со стороны плательщика, которая связана с прямыми медицинскими затратами.

Государственные органы медицинского страхования интересуют затраты на лечение в долгосрочной перспективе. Если сегодня стоимость лечения является высокой, но в течение жизни пациентов она имеет тенденцию к снижению, то органы страхования получают в будущем экономическую выгоду.

Так, в США члены американских организаций медицин-

Таблица 2.

Категории затрат при исследовании исходов

Виды затрат	Примеры затрат
Прямые медицинские затраты (товары и услуги)	• Госпитализация • Лекарственные препараты • Лабораторные тесты • Рентгенологические процедуры • Визиты к врачам • Медицинская помощь на дому • Затраты на приготовление лекарства в аптеке • Услуги и материалы, используемые персоналом клиники
Прямые немедицинские затраты (требующиеся в связи с заболеванием)	• Питание • Транспорт • Предоставление помещения • Спецдежда и материалы
Косвенные затраты (имеющие экономическую составляющую)	• Потеря трудоспособности • Снижение заработка • Работоспособность, утраченная во время болезни и восстановленная благодаря лечению • Преждевременная смерть

Таблица 3.

Информация об экономической составляющей лечения

Экономические составляющие исследования	Наиболее существенные затраты
Общество * Программы государственного здравоохранения	* Все прямые кратковременные и косвенные затраты * Все долговременные прямые и косвенные затраты * Влияние на качество жизни
Плательщики * Частная страховая компания * Правительственная программа страхования * Организации здравоохранения	* Прямые кратковременные затраты
Услуги учреждений здравоохранения * Частнопрактикующий врач * Организации здравоохранения	* Влияние на качество жизни * Прямые кратковременные затраты (медицинское обслуживание)
Пациент	* Влияние на качество жизни * Прямые и косвенные затраты, оплачиваемые наличными средствами

ского обслуживания (Heath Maintenance Organizations - НМО) считают необходимым изменять планы в среднем один раз в два года. Это ограничивает интерес страхователей этих организаций в инвестициях в дорогостоящие виды лечения с целью сэкономить финансовые средства в будущем.

Экономическая составляющая со стороны организаций, предоставляющих медицинские услуги. Частные врачи традиционно не интересуются затратами на лечение, особенно если пациенты застрахованы в частном порядке. С точки зрения экономической составляющей их больше интересуют факторы, влияющие на качество жизни пациентов. Некоторые учреждения здравоохранения, такие как организации обеспечения медицинской помощью, а также врачи системы государственного здравоохранения одинаково оценивают значение обоих аспектов экономической составляющей - как со стороны учреждений здравоохранения, так и со стороны плательщиков - поскольку они и

организуют медицинскую помощь пациентам, и оказывают необходимые медицинские услуги. Частные врачи в странах, имеющих государственную систему страхования здоровья, должны оказывать медицинские услуги, уделяя основное внимание экономической составляющей. И частным, и государственным медицинским учреждениям далеко безразлично качество жизни пациентов, но их деятельность в большей степени мотивирована уровнем затрат на медицинское обслуживание.

Экономическая составляющая со стороны пациента. В целом итоговые факторы, влияющие на качество жизни, наиболее важны для пациента, особенно при наличии страховки или членства в системе государственного здравоохранения. С точки зрения экономической составляющей для пациента наибольшее значение имеют не компенсируемые расходы, которые обычно составляют прямые немедицинские затраты, а косвенные личные затраты. В тех пределах, в которых пациент

имеет возможность выбирать вид лечения, он, вероятно, предпочтет то, которое принесет максимальную пользу с точки зрения качества жизни независимо от затрат. Личные предпочтения пациента имеют решающее значение при принятии решения о лечении как у частнопрактикующих врачей, так и в учреждениях здравоохранения.

Информация о видах затрат и влиянии лечения, полученная в ходе клинических исследований исходов и имеющая наибольшее значение для каждой из сторон, обобщена в табл. 3. Необходимо иметь в виду, что та или иная сторона принимает во внимание более чем одну экономическую составляющую.

Проведение исследования исходов в процессе клинической разработки. Для фармацевтической компании есть два варианта изучения исходов. Первый - сбор данных об исходах в рамках традиционной системы клинических испытаний, второй - независимо от нее. Использование данных об оценках исходов в процессе проведения клинических разработок имеет как положительные, так и отрицательные стороны.

Положительные стороны одновременного проведения анализа исходов и клинических разработок

- Представляется более эффективным собирать данные об испытуемых, уже вовлеченных в процесс научного исследования.
- Одновременное выполнение двух задач исследования открывает возможность проводить исследование исходов по плану параллельных групп.
- Данные об эффективности и безопасности лекарственных средств могут напрямую сравниваться с данными об оценке как экономических факторов, так и качества жизни, получаемых непосредственно от пациентов.

- Показатели качества жизни будут с большей вероятностью надежными и обоснованными, если испытуемые будут отобраны по принципу случайной выборки.

Отрицательные стороны одновременного проведения двух типов исследования

- Трудно оценить эффективность оказания медицинских услуг вне естественных условий. Визиты, ограниченные требованиями Протокола, искажают общую картину эффективности медицинского обслуживания пациента, а следовательно, и представление о затратах. Например, испытуемый, озабоченный вопросом оплаты, может ждать очередного запланированного визита вместо того, чтобы обратиться к врачу самому либо позвонить и задать интересующие его вопросы. Экономическая эффективность, оцениваемая по контрольным клиническим испытаниям препарата, не будет надежно обоснована.

- Исследователи отрицательно относятся к сбору дополнительных данных, которые могут расцениваться как не имеющие отношения к делу.

- Многие клинические испытания могут оказаться

недостаточно продолжительными, чтобы оценить влияние лечения на качество жизни в течение длительного времени. Их продление для получения подобных результатов привело бы к увеличению сроков разработки препарата. Этого можно избежать путем продолжения сбора данных о результатах экономического характера после того, как сбор данных по клиническим параметрам уже завершен.

Технология моделирования использует положения из области экономики и психологии поведения для прогнозирования последствий, которые могут иметь место в реальной жизни. Вы можете накапливать соответствующую информацию, на основе которой специалист, проводящий анализ исходов, может моделировать итоговые оценки, имеющие реальное экономическое содержание. Благодаря построению модели на основе исходных данных она может стать более достоверной. Однако имеются различия в оценке приемлемости технологии моделирования со стороны муниципальных органов и со стороны учреждений здравоохранения. Специалист, проводящий анализ исходов, знает, в какой степени технология моделирования может помочь Вам при проведении исследования в конкретной стране или международно-го исследования.

Результаты исследования привлекают гораздо больше внимания, нежели исследовательская деятельность как таковая. Частично это происходит в силу низкой осведомленности. В то же время это объясняется наличием следующих негативных обстоятельств:

- Исследование исходов может быть очень дорогостоящим.

- Исследование исходов может занять несколько лет, если задача оценить исходы ставится в долгосрочной перспективе.

- Еще никому не удалось точно установить, какую информацию будут использовать плательщики, учреждения здравоохранения и ценообразующие органы в качестве решающей.

- До настоящего времени не разработана общепринятая модель оценки исходов.

- Проведение дорогостоящего и длительного исследования является рискованным, когда результаты непредсказуемы. Обнаружение безопасного и эффективного продукта, имеющего меньший коэффициент по критерию эффективности затрат по сравнению с другим продуктом, могло бы положительно отразиться на потенциале рынка.

- Область исследования исходов находится в процессе развития, и на этом пути редко можно встретить полное взаимопонимание.

Использование данных об исследовании исходов при разработке проектных планов. Организация, проводящая исследования исходов, должна быть хорошо оснащена. Необходимы специализированные группы, которые оказывают помощь руководителям проектов в планирова-

нии и проведении исследований исходов. По мере определения потребностей и возможностей для исследований нового препарата следует подобрать или пригласить соответствующих специалистов и консультантов в Вашу организацию. В процессе разработки продукта необходимо рассмотреть экономические аспекты его применения.

Уже на самом раннем этапе планирования клинической разработки и маркетинга необходимо проанализировать экономические аспекты использования нового продукта. Если нет данных о затратах при его использовании по показаниям для лечения конкретного заболевания, то следует провести соответствующее исследование. Если экономические преимущества препарата неизвестны, целесообразно организовать исследования по технологии моделирования и вероятностного прогнозирования до начала полномасштабного исследования. Данные по затратам на лечение заболевания (анализ всех издержек) могут помочь прогнозировать уровень этих затрат, обеспечивая продвижение лекарственного препарата на рынок.

Использование результатов исследования исходов

- Продвижение на рынок более перспективного препарата по сравнению с используемыми в практике.
- Поддержка больниц, государственных медицинских учреждений и организаций медицинского обслуживания в принятии необходимых решений по формированию формуляров лечения.
- Обеспечение лиц и организаций, осуществляющих закупку лекарственных средств, необходимыми данными по вопросам ценообразования.
- Установление приемлемых цен на лекарства в странах, имеющих органы ценообразования.

После определения приемлемых способов применения результатов исследования по лекарственному препарату необходимо получить консультацию специалиста, проводившего исследование исходов. Конечные результаты экономического характера могут быть менее объективными по сравнению с конечными результатами исследования эффективности. Опираясь на обоснованные экономические критерии, опытный эксперт определит разницу между исследованием, имеющим незначительный эффект (или не имеющим такового), и исследованием, дающим обоснованные положительные результаты. Специалисты по исследованию исходов располагают информацией относительно обоснованных и надежных критериев экономического характера. Они могут разработать метод экономического анализа, способный обеспечить достижение целей соответствующего исследования.

Новые тенденции регулирующих органов различных стран. В настоящее время правительства различных стран в сотрудничестве с представителями местной фармацевтической промышленности разрабатывают Правила экономической оценки лекарственных средств для произ-

водителей. Несмотря на различия в порядке ценообразования и компенсации затрат на лекарственные средства в разных странах, эти разработки имеют некоторые общие черты. Наиболее важное свидетельство интереса к таким Правилам – предоставление экономических данных для обоснования заявок на компенсацию затрат на лекарственные средства. Для фармацевтической промышленности стало общим правилом предоставлять информацию не только о безопасности, эффективности и качестве новой продукции, но и о ее стоимости. В результате этого требования экономический анализ лекарственных средств получил более широкое распространение.

Правила экономической оценки лекарственных средств могут служить различным целям. В Австралии проведение экономической оценки требуется от фармацевтических фирм в случае, если они выходят с заявкой о возмещении затрат на свою продукцию. Правила могут быть использованы для применения методических и этических стандартов в практике экономической оценки лекарственных средств, что позволяет обойтись без официального давления. Правительство получает выгоду от введения этих правил, поскольку они могут быть использованы для контроля расходов на лекарственные средства или для обеспечения рационального распределения фондов с целью получения наибольшей прибыли. Наконец, содействие повышению эффективности системы выдачи льготных рецептов на лекарственные средства подкрепляет целесообразность введения правил. Экономическая оценка лекарственных средств необходима и для формирования национального справочника лекарственных средств, субсидируемых правительством.

Правила, согласно которым результаты исследования исходов с помощью анализа эффективности и затрат (СЕА) должны предоставляться после того, как продемонстрированы безопасность, эффективность и качество лекарственного средства, могут стать барьером, который необходимо преодолеть. С одной стороны, производители могут возражать против дополнительных расходов, связанных с проведением экономического анализа и предоставлением дополнительных сведений к документам, подаваемым с заявкой на регистрацию лекарства. С другой стороны, Правила устанавливают стандарты на порядок применения экономических критериев и уточняют процедуру принятия решения о предоставлении субсидий. Кроме того, при наличии конкуренции на фармацевтических рынках экономическая оценка лекарственных средств может оказаться важным инструментом маркетинга. Поэтому промышленность может поддерживать их разработку, но официальное требование о введении таких Правил в обычную практику не должно быть обязательным.