

Návrh tématu pro disertační práci v doktorském studijním programu na Farmaceutické fakultě MU

Specifikace formy studia: prezenční

Přesný a plný název programu: Bezpečnost a kvalita léčiv

Pracoviště*): Ústav aplikované farmacie

Vedoucí pracoviště: PharmDr. Tünde Ambrus, Ph.D.

Počet stipendijních míst: 1

Téma disertační práce

Real-world data vzácných onemocnění a možnosti jejich využití v HTA

Anotace

Hodnocení zdravotnických technologií (Health Technology Assessment, HTA) se stalo standardem v hodnocení a ve schvalovacím procesu nových léčivých přípravků. V odborných kruzích je stále standardem využívání dat z randomizovaných klinických studií, méně často se využívají data z registrů. Dokumenty světově uznávané agentury NICE však již dnes připouštějí v odůvodněných případech použití dat z reálné klinické praxe (Real World Data, RWE/RWD) a také to, že se v budoucnu tato data mohou stát standardem v modelování nákladů a přínosů. Proto je potřebné věnovat se teoretickým aspektům využití a zpracování RWE/RWD dat a hledání způsobů, jak tato data následně využít v hodnotících procesech HTA. Zejména v indikacích, ve kterých není dostatek pacientů, u nichž by bylo možné ověřit přínosy během klinických studií, se žádá následné sledování pacientů užívajících inovativní léčivé přípravky a zhodnotit tak jejich přínos v reálných podmínkách. Takovými skupinami jsou primárně vzácná onemocnění (rare diseases) a léčivé přípravky, které jsou určeny k jejich terapii (léčivé přípravky pro vzácná onemocnění, LPVO, tzv. orphan drugs). V těchto ojedinělých skupinách mohou být data z reálné klinické praxe vhodným zdrojem informací, a to nejen retrospektivní, ale i prospektivní. Za účelem plánování klinických studií či navrhování modelů pro projektování dlouhodobých přínosů mohou RWE/RWD data pomoci zlepšit zdravotní stav pacientů a jejich vyhlídky do budoucna. Ve světle těchto skutečností se RWE/RWD datům věnuje široká odborná veřejnost a přední světové instituce.

Předběžné cíle

Záměrem práce je sumarizovat aktuální podmínky využívání dat z reálné klinické praxe (RWE/RWD) v ČR a porovnat je s mezinárodními pokyny a standardy. Po zrevidování aktuální praxe bude cílem navrhnout způsob, jakým by se tato data mohla využít v hodnocení HTA u LPVO a ke zvýšení jejich dostupnosti na trhu s léčivy v ČR. Ověření postupu bude realizováno na konkrétním léčivém přípravku pro vzácná onemocnění.

Návaznost na projektovou podporu

- informace o napojení na grantový projekt: Aktuálně není řešen grantový projekt na uvedené téma.
- informace o dostupnosti úvazku nebo projektového financování (nad rámec stipendia MU): Existuje možnost zapojení studenta do projektu NPO Applied Health Economics a podání projektu SVV příp. jiného projektu.

Stručné požadavky na studenta dle stávajících požadavků oborové rady

- publikační aktivita: Zkušenosti s publikováním odborných textů a předchozí aktivní účast na konferencích jsou vítány. Student musí být před dokončením studia autorem minimálně jedné publikace související s tématem disertační práce v časopise s impakt faktorem jako první autor. Aktivní účast na vědeckých konferencích.
- informace o povinné zahraniční stáži: Absolvovat minimálně jednoměsíční stáž na zahraniční instituci.
- míra zapojení do výuky na fakultě: Předpoklad zapojení do výuky v předmětech souvisejících s tématem práce na Ústavu aplikované farmacie FaF MUNI.
- znalost AJ (specifikovat dané nároky): Znalost AJ slovem i písmem je vyžadována (student se musí umět orientovat v odborné literatuře v AJ).

Informace o školiteli

Jméno a příjmení s tituly: doc. RNDr. Jozef Kolář, CSc.

- publikační aktivita školitele: počet publikací ve Web of Science: 12, h-index 4:
 - úspěšnost v projektových soutěžích (řešené grantové projekty):
1. Grega, D., Kolář, J.: Farmakoeconomické metody – výuková opora. Projekt IVA č. 2018FaF/3110/66

2. Kolář, J., Ambrus, T., Grega, D., Smejkalová, L., Krasňanová, N. M., Šutorová, M., Stoklasová, Z., Vojčiňáková, T., Špačková, D.: Studium vybraných aspektů kvality lékárenské péče. Projekt MUNI/A/1246/2021, řešený Masarykovou univerzitou v rámci programu Specifický výzkum – podpora studentských projektů 2022
 3. Šutorová, M., Ambrus, T., Grega, D., Kolář, J., Smejkalová, L., Beyerová, K., Bolčecová, B., Hejná, E., Jourová, J., Sedliaková, P.: Léčiva ve společnosti. Projekt MUNI/A/ 1189/2022, řešený Masarykovou univerzitou v rámci programu Specifický výzkum – podpora studentských projektů 2023
 4. Ambrus, T., Grega, D., Kolář, J., Smejkalová, L.: Léčiva v každodenním životě 21. století. Projekt MUNI/CORE/0729/2022, řešený Masarykovou univerzitou v rámci PPSŘ v období 7/2022-6/2023
- mezinárodní spolupráce (event. s možností stáže studenta): Farmaceutická fakulta UK Bratislava, UVLF v Košiciach
 - počet aktuálně vedených doktorských studentů školitele: 1
 - počet úspěšných absolventů školitele a jejich následné působení: 11, absolventi působí v akademických institucích, zdravotnických zařízeních a v soukromém sektoru

Informace o konzultantovi

Jméno a příjmení s tituly: PharmDr. Dominik Grega, Ph.D.

- publikační aktivita konzultanta: počet publikací ve Web of Science: 2, h-index: 1
 - úspěšnost v projektových soutěžích (řešené grantové projekty):
1. Grega, D., Kolář, J.: Farmakoekonomické metody – výuková opora. Projekt IVA č. 2018FaF/3110/66
 2. Kolář, J., Ambrus, T., Grega, D., Smejkalová, L., Krasňanová, N. M., Šutorová, M., Stoklasová, Z., Vojčiňáková, T., Špačková, D.: Studium vybraných aspektů kvality lékárenské péče. Projekt MUNI/A/1246/2021, řešený Masarykovou univerzitou v rámci programu Specifický výzkum – podpora studentských projektů 2022
 3. Šutorová, M., Ambrus, T., Grega, D., Kolář, J., Smejkalová, L., Beyerová, K., Bolčecová, B., Hejná, E., Jourová, J., Sedliaková, P.: Léčiva ve společnosti. Projekt MUNI/A/ 1189/2022, řešený Masarykovou univerzitou v rámci programu Specifický výzkum – podpora studentských projektů 2023
 4. Ambrus, T., Grega, D., Kolář, J., Smejkalová, L.: Léčiva v každodenním životě 21. století. Projekt MUNI/CORE/0729/2022, řešený Masarykovou univerzitou v rámci PPSŘ v období 7/2022-6/2023
- mezinárodní spolupráce (event. s možností stáže studenta): Spolupráce v rámci ISPOR chapter Slovakia a globálního ISPOR, spolupráce s ISPOR chapter Bulgaria
 - počet aktuálně vedených doktorských studentů školitele: 0
 - počet úspěšných absolventů školitele a jejich následné působení: 0