

# **THE ROLE OF RCT EVIDENCE IN DRUG REIMBURSEMENT DECISION-MAKING PROCESSES: AN INTERDISCIPLINARY INVESTIGATION | Merav Kaplan**

## **Abstract:**

In recent years, healthcare systems have been experiencing increasing budgetary distress. In an era of cost containment, the need to construct rational processes for allocating scarce health resources is becoming more acute. The assessment of estimated effectiveness has a pivotal role in avoiding inefficiencies and optimizing resource allocation processes. Randomized Controlled Trials (RCTs) are considered the “gold standard” in clinical research to evaluate the effectiveness of medical products. As such, findings obtained from RCTs are perceived as vital sources of evidence for informing policymakers in the context of drug regulation in general and reimbursement decision-making in particular.

However, recently some have questioned the traditional approach of evaluating evidence for drug regulatory processes and the role assigned to RCT evidence within it. To encourage the rethinking of current practices, however, it is important to understand both the epistemic qualities of RCTs and the actual use of them in the context of clinical effectiveness evaluation processes. With this objective in mind, the aim of this thesis is to investigate the role of RCT evidence in drug reimbursement decision-making, while ultimately arguing that policymakers may benefit from the incorporation of Bayesian thinking into clinical evidence assessment processes. Recognizing the interdisciplinary nature of the issue discussed in this thesis, this work brings together various perspectives and combines several methodological approaches, using both philosophical inquiry and empirical analysis tools.

## תפקידן של ראיות המתקבלות מניסויים רנדומליים מבוקרים (RCTs) בתהליכי קבלת החלטות על מימון ציבורי של תרופות: חקירה אינטרדיסציפלינרית | מרב קפלן

### תקציר:

בשנים האחרונות גוברת המצוקה התקציבית עמה עמה מתמודדות מערכות בריאות ציבוריות ברחבי העולם. בתנאים של מגבלת משאבים גוברת, הצורך בביסוס תהליכי תיעדוף רציונליים להקצאת משאבי בריאות ככלל, ותרופות בפרט, הוא בעל חשיבות מכרעת. ברוב המדינות המפותחות, תהליכי התיעדוף בהקשר של מימון תרופות נתמכים על ידי תהליך "הערכת טכנולוגיות בריאות" (Health Technology Assessment). אחד הרכיבים המרכזיים בתהליך זה הוא הערכת הראיות הקליניות המשמשות לביסוס אפקטיביות של התרופה הנבחנת.

באופן מסורתי, ראיות המתקבלות מניסויים רנדומליים מבוקרים (RCTs) נחשבות לסטנדרט הזהב בהערכת אפקטיביות קלינית. אולם, לאחרונה יש המבקשים לערער על המעמד להן זכו ראיות אלו בתהליכי רגולציה על תרופות. ראשית, במקרים רבים ביצוע ניסוי רנדומלי מבוקר אינו אפשרי מסיבות טכניות או אתיות. ככל שהרפואה הופכת מותאמת אישית, מקרים אלו הופכים תכופים יותר. מנגד, התפתחות בטכנולוגיית המידע בשנים האחרונות הביאה לכך שמידע ממקורות אחרים הופך זמין ונגיש למקבלי החלטות.

בכדי להעריך מחדש את הפרקטיקות הקיימות בהערכת ראיות לצרכי קבלת החלטות בדבר מימון ציבורי של תרופות לאור מגמות אלו, חשוב להבין את התכונות האפיסטמיות המאפיינות ראיות המתקבלות מניסויים רנדומליים מבוקרים, כמו גם את התצורות דרכן נעשה בהן שימוש במסגרת החלטות מדיניות בפועל. בהתאם לכך, תזה זו מבקשת לבחון את התפקיד של ראיות קליניות המתקבלות מרנדומליים מבוקרים בתהליכי קבלת החלטות על מימון ציבורי של תרופות, ובסופו של דבר להציג טיעון התומך בהטמעה של המתודות שמציעה הגישה הבייסיאנית (Bayesian) כדרך אפשרית לשפר את בתהליכי קבלת החלטות בהקשר זה.