Sens oceny wartościującej względem progu opłacalności w onkologii

Lek. med. Krzysztof Łanda

Refundacja: co chce wiedzieć decydent?

1. Czy jest to technologia o **udowodnionej efektywności**?
2. Jaka jest **siła interwencji** w porównaniu z opcjami? (która z opcji jest najbardziej efektywna i **o ile** przewyższa pozostałe?)
3. Która z opcji jest najbardziej **opłacalna** i **o ile** przewyższa pozostałe?
4. Czy uzasadnione jest **finansowanie technologii w ramach dostępnych środków**? Jakie zmiany wywoła przyznanie technologii uprzywilejowanej pozycji rynkowej?

Nowoczesne kryteria refundacji – podejście utylitarne

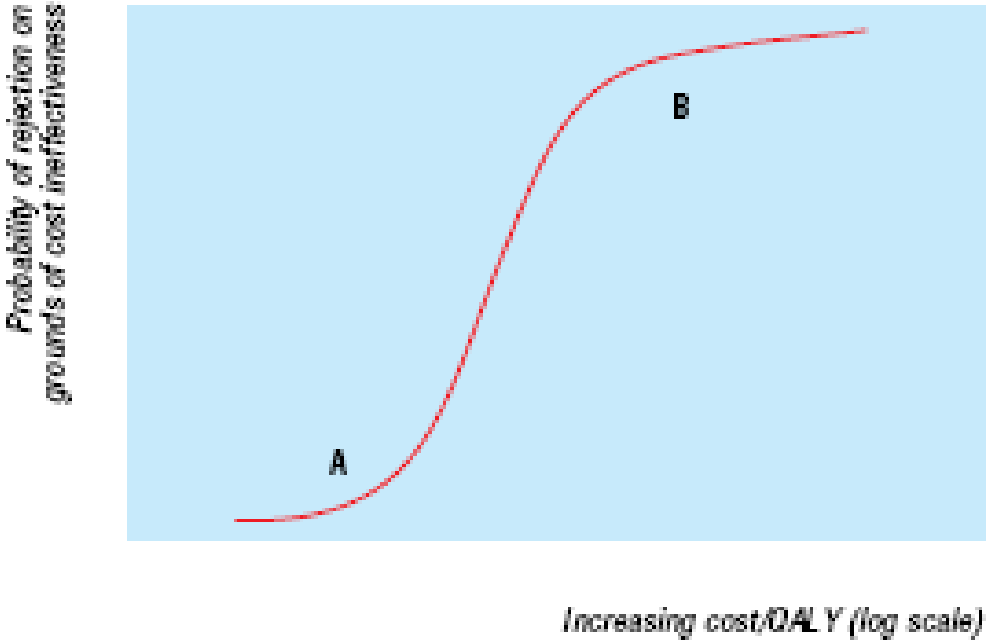
1. **udowodniona efektywność kliniczna**;
2. **najbardziej opłacalne z opcjonalnych** lub alternatywnych;

   (w zarządzeniu 17/2007 Prezesa NFZ: „nie dotyczy to niektórych świadczeń określonych w § 9 ust.1”);

+ ocena „ryzyka projektu”, czyli ryzyka podjęcia błędnej decyzji refundacyjnej oraz
+ ocena wpływu na budżet płatnika,

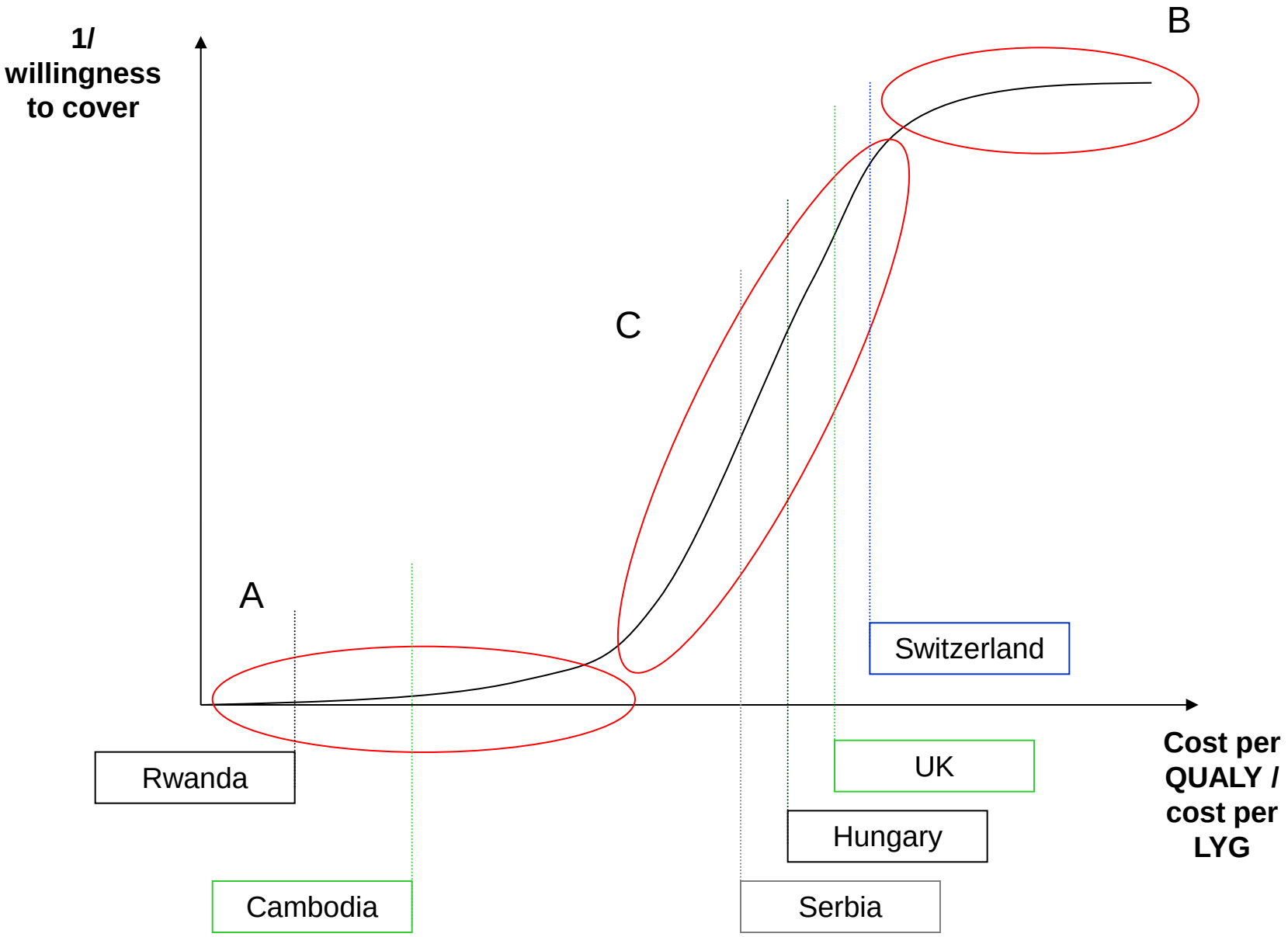
to **kryteria dodatkowe**, które pozwalają na ujęcie dodatkowych, ale MIERZALNYCH czynników wpływających na decyzje refundacyjne

BMJ publication on cost-effectiveness thresholds by Prof. Sir Michael Rawlins



National Institute for Clinical Excellence and its value judgments

Michael D Rawlins, Anthony J Culyer


1/
willingness
to cover
B
C
A
Switzerland
Rwanda
UK
Hungary
Cambodia
Serbia
Cost per
QUALY /
cost per
LYG

QALY w onkologii

Ustawowy próg opłacalności w Polsce 3xPKB/os/QALY (*quality adjusted life year*, rok życia w pełnym zdrowiu):

- Czy nas na to stać?
- Czy to jest fair względem technologii sierocych?
- Praktyczne implikacje w pracy Rady Przejrzystości, Komisji Ekonomicznej i AOTM
- Czy granica względem QALY jest fair w stanach terminalnych (*enf-of-life stage diseases*)?
- Jak być fair w tym przypadku? (podbicie progu opłacalności)

QALY w stanach terminalnych

- Niektóre kluczowe założenia QALY nie są spełnione u pacjentów w stanach terminalnych.
- QALY, ze względu na swoją konstrukcję, nie doszacowuje korzyści zdrowotnych w stanach terminalnych – nie uwzględnia też niektórych korzyści uznawanych, przez pacjentów chorych na raka, za ważne.
- Problemy z użyciem QALY w przypadku chorób nowotworowych odnoszą się do technik używanych do opisu i względnej oceny stanów zdrowia.

Choroby rzadkie i ultrarzadkie

Choroby rzadkie:	**< 5 : 10 000 (UE)** < 7 : 10 000 (USA) < 2,5 : 10 000 (Japonia)
Przekłada się to na:	1 choroba dotyka 246 000 osób w UE 5 000 do 8 000 chorób rzadkich dotykają one 6% do 8% populacji UE czyli 27 mln do 36 mln ludzi w UE

Choroby ultrarzadkie:	**< 1 : 50 000 (UK)** < 750 chorych w Polsce

Opłacalność inwestycji w R&D i produkcję leków sierocych

UE: The Register of designated Orphan Medicinal Products /
COMP - The Committee for Orphan Medicinal Products

Technologia sieroca w lecznictwie, diagnostyce lub profilaktyce, jeśli:

1. Stosuje się w **< 5 / 10 000** osób w populacji
2. W **przewlekłych** chorobach: zagrażających życiu lub mogących prowadzić do poważnych konsekwencji zdrowotnych, **gdy przychody ze sprzedaży nie pokryją kosztów inwestycyjnych bez dodatkowego wsparcia**
3. **Nie ma skutecznych technologii** opcjonalnych lub jeśli takie technologie są, ale nie przynoszą satysfakcjonujących korzyści zdrowotnych

---

USA / FDA – nieco inne kryteria; <200 000 chorych w populacji USA; czyli <1:1500 (sic!); Orphan Drug Act of January 1983 ("ODA"); może być więcej niż 1 technologia w danym wskazaniu;

Podejście utylitarne, mieszane i egalitarne do refundacji

PODZIAŁ BUDŻETU – PROCES POLITYCZNY

CHOROBY „POWSZECHNE”

Powyżej 7000 osób w Polsce?

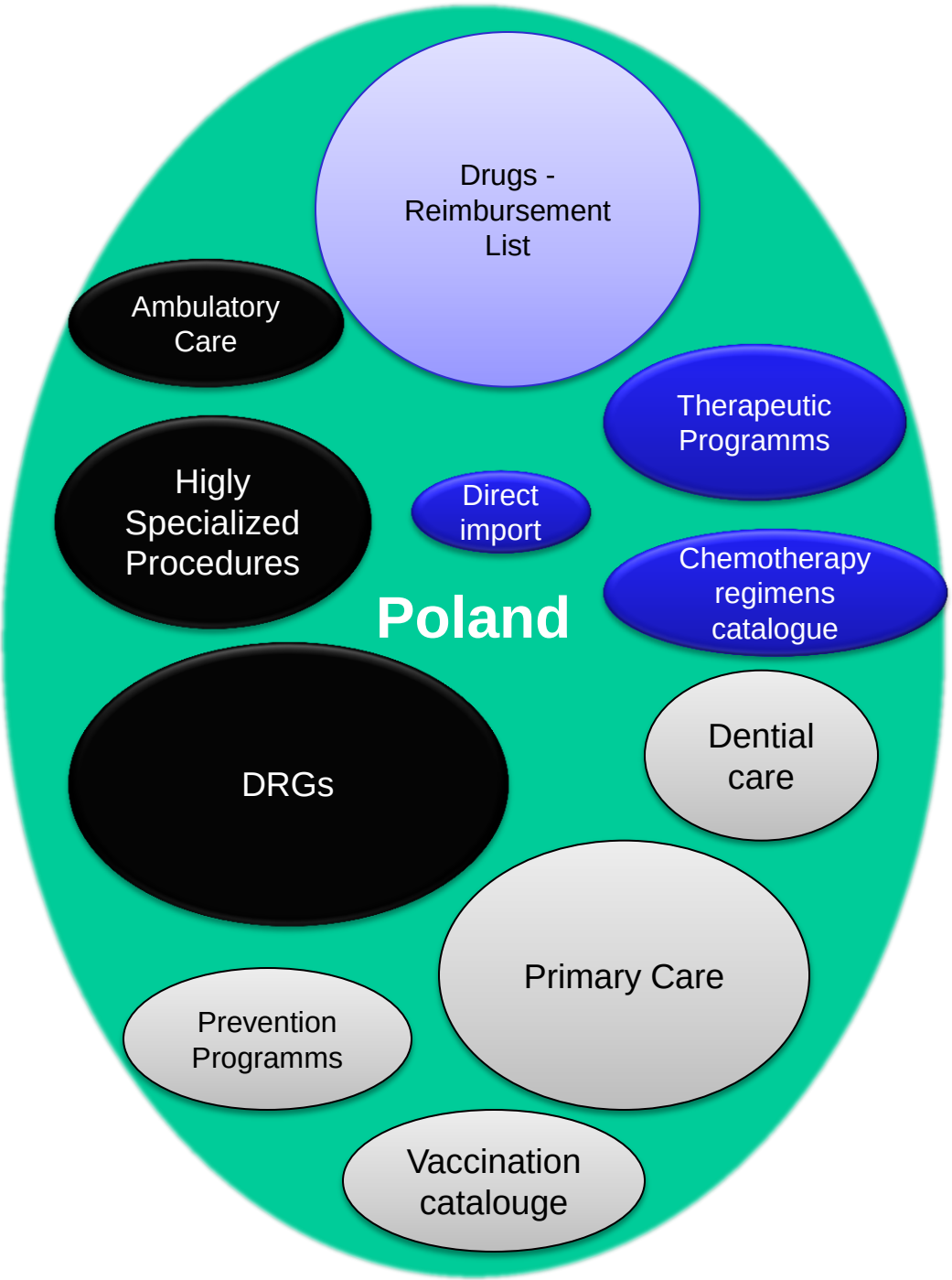
Powyżej 19 000?

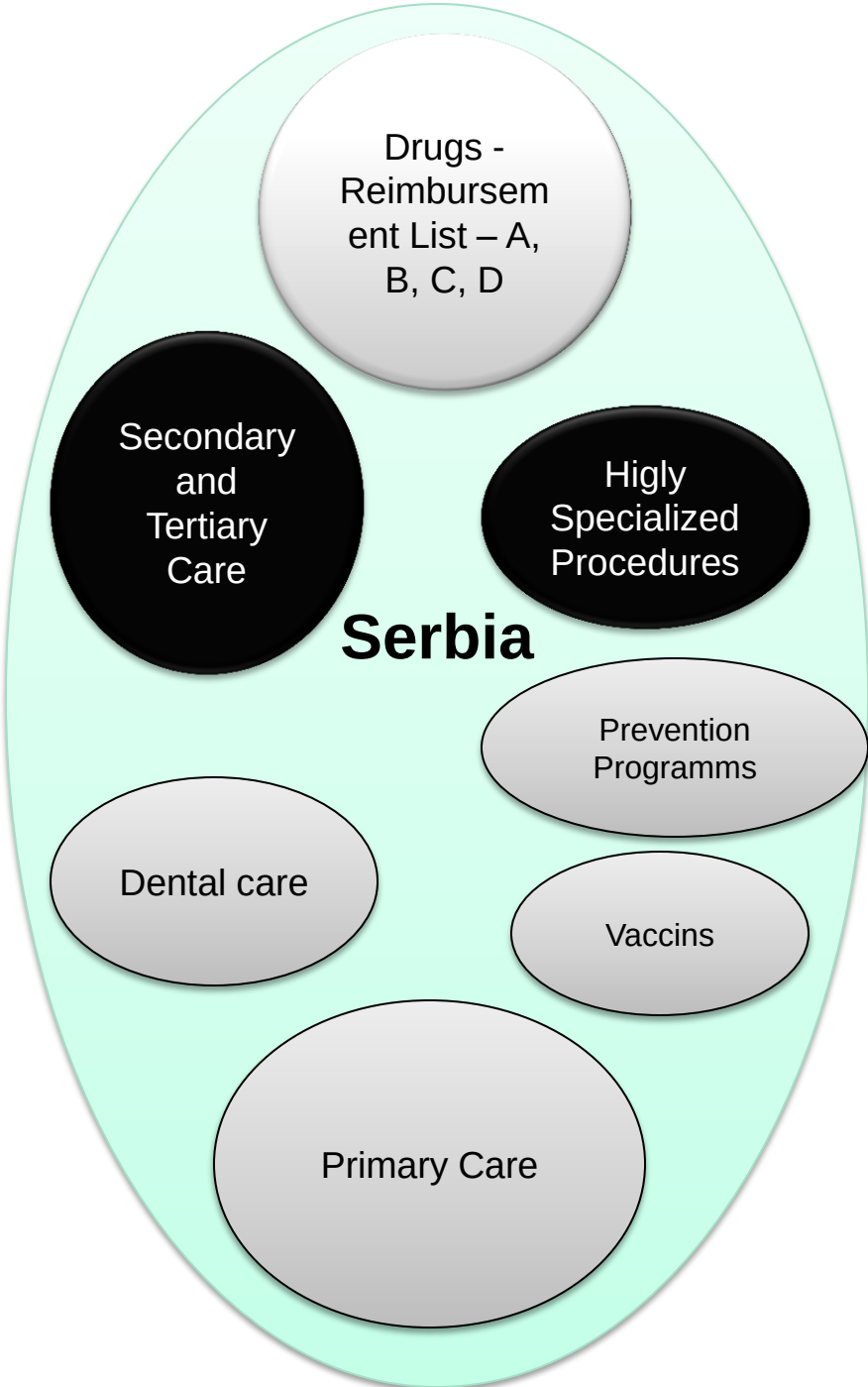
CHOROBY RZADKIE

Między 750, a 7000 (lub 19 000) osób w Polsce?

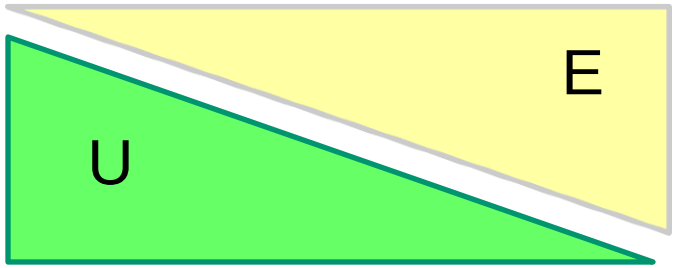
CHOROBY ULTRARZADKIE

Poniżej 750 osób w Polsce


Drugs - Reimbursement List
Ambulatory Care
Therapeutic Programms
Higly Specialized Procedures
Direct import
Chemotherapy regimens catalogue
Poland
DRGs
Dential care
Primary Care
Prevention Programms
Vaccination catalouge


Drugs - Reimbursement List – A, B, C, D
Secondary and Tertiary Care
Higly Specialized Procedures
Serbia
Prevention Programms
Dental care
Vaccins
Primary Care

Kryteria refundacji – gdzie podejście utylitarne, gdzie egalitarne, gdzie mieszane?



Podejście utylitarne

Podejście egalitarne

Wymagania analityczne względem drogich technologii medycznych

***Droga** technologia = wysoki koszt jednostkowy/cena lub znaczny wpływ na budżet płatnika*

Podejście utylitarne	Podejście egalitarne
Analiza efektywności klinicznej w oparciu o przegląd systematyczny	Analiza efektywności klinicznej w oparciu o przegląd systematyczny
Analiza ekonomiczna (CEA, CUA, CMA)	**UZASADNIENIE CENY**
BIA	BIA

UZASADNIENIE CENY może obejmować m.in.:

1. ocenę istotności klinicznej i siły interwencji względem opcjonalnych sposobów postępowania; (*unmet medical need*)
2. ocenę wielkości populacji we wszystkich możliwych wskazaniach (w tym ocena stosowania *soft label* i *off label*) – w danym kraju, w UE i na świecie;
3. ocenę „ryzyka projektu” – w tym niepewność oszacowań i prezentowanych wyników
4. ocenę innowacyjności: terapeutycznej, farmakologicznej i technologicznej;
5. propozycję ceny leku oraz informację o cenach i porozumieniach cenowych w innych krajach
6. ocenę kosztu jednostkowej terapii
7. przedstawienie aktywności biznesowej i R&D producenta w danym kraju
8. przedstawienie kosztów R&D oraz kosztów produkcji – możliwych do wykazania;
9. planowane koszty marketingu
10. propozycje porozumień cenowych
11. inne

Decision-making & decision-taking w podejściu egalitarystycznym
– jedna z możliwych aranżacji systemowych

DECYZJE REFUNDACYJNE	DECYZJE CENOWE
Decision-taking / **MZ**	Decision-taking / **MZ**
Decision-making / Appraisal **Komisja Chorób Ultrarzadkich**	Decision-making / Appraisal **Agencja Cen lub inne – funkcjonalność systemowa**
Assessment / **Agencja HTA: lekka, ciężka lub mieszana**	Assessment / **Agencja HTA: lekka, ciężka lub mieszana**

Dziękuję za uwagę

landa@htaaudit.eu