

Granice opłacalności i rozwiązanie takie jak FWR dla IPF i innych chorób ultrazadkich

Anna Kordecka

KRAKÓW, 18 listopada 2015

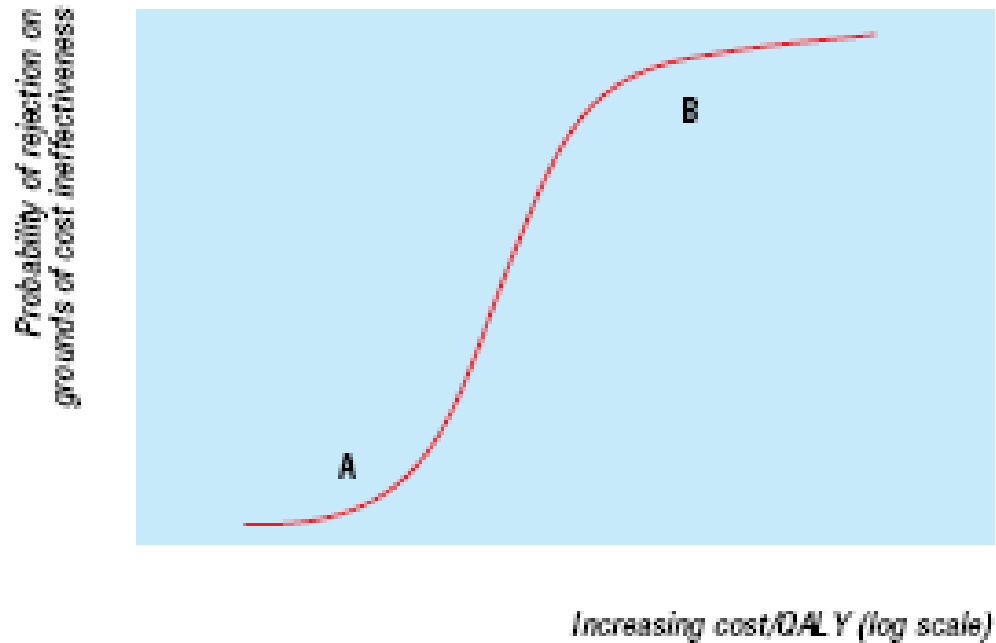


Refundacja: co chce wiedzieć decydent?



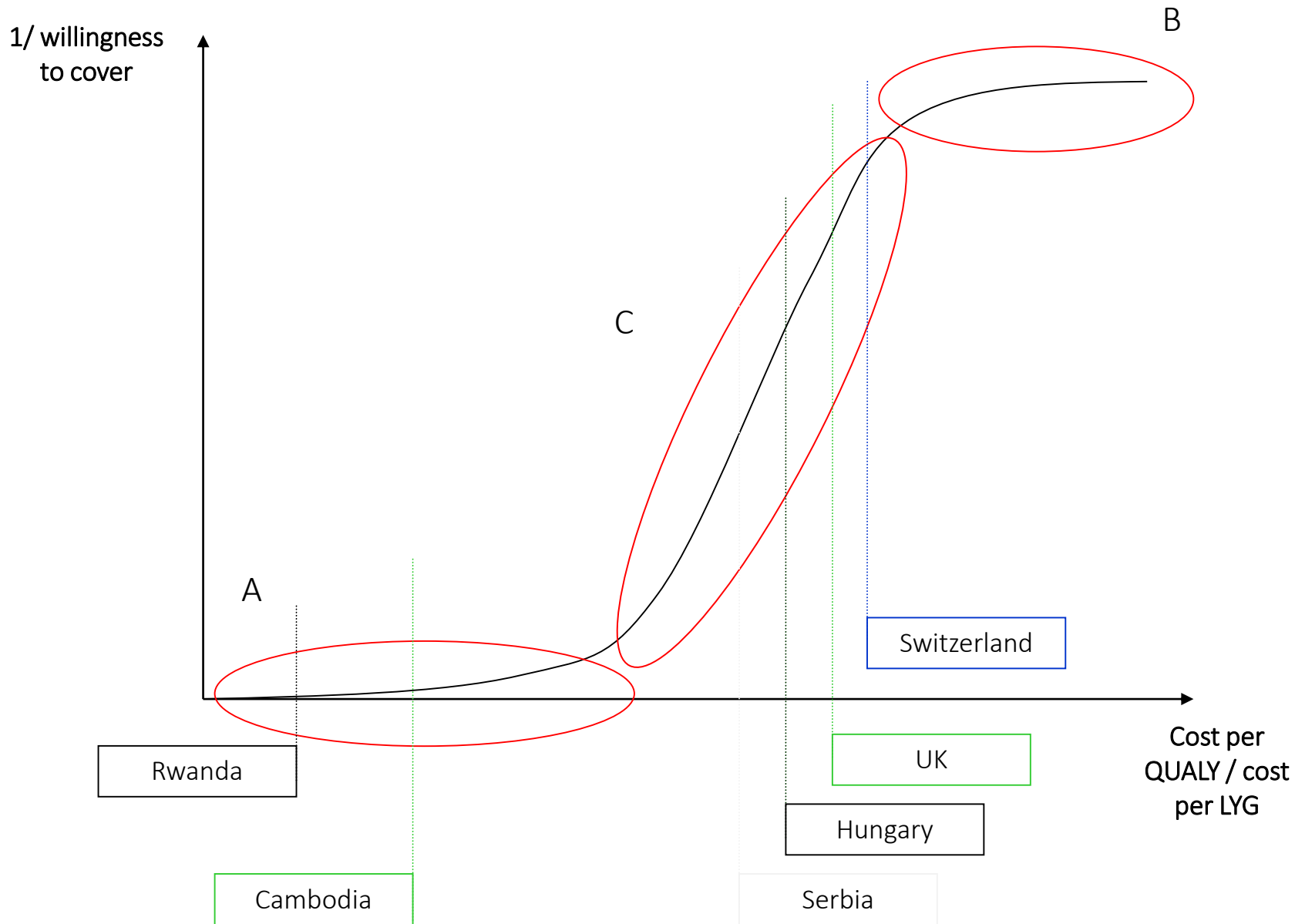
1. Czy jest to technologia o **udowodnionej efektywności**?
2. Jaka jest **siła interwencji** w porównaniu z opcjami? (która z opcji jest najbardziej efektywna i **o ile** przewyższa pozostałe?)
3. Która z opcji jest najbardziej **opłacalna** i **o ile** przewyższa pozostałe?
4. Czy uzasadnione jest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

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



Granice opłacalności (CE / CU)



3x PKB / osobę za 1 LYG lub 1 QALY
(granica WHO za uniknięcie 1 DALY)

Polska – 125 955 PLN [około 22 000 GBP, 26 500 EUR]

Serbia – około 50 000 PLN [10 000 GBP, 12 000 EUR]

Wielka Brytania – 100 000– 150 000 PLN [20-30 000 GBP za QALY]

Stanowisko Zespołu Parlamentarnego ds. Chorób Rzadkich oraz Parlamentarnego Zespołu ds. Onkologii



- Stanowiska eksperckie (...), wskazują na społecznie uzasadnioną potrzebę egalitarnego traktowania chorób rzadkich i niezbędne, zgoła odmienne finansowe podejście do zagadnień efektywności kosztowej w ramach oceny sierocych technologii medycznych (OMP - orphan medicinal product), prowadzonej w ramach postępowań administracyjnych o objęcie leków technologii sierocych refundacją;
- (...) przy czym rekomendowane odstępianie od stosowania w/w kryterium dotyczy dotychczas nie refundowanej w Polsce technologii medycznej, w sprawie której złożony został pierwszy wniosek o objęcie refundacją, w danym wskazaniu medycznym, którego zachorowalność nie przekracza więcej niż 1 przypadek na 50 tysięcy mieszkańców lub którym dotknięte jest nie więcej niż 700 osób w kraju.

Więcej na:

<http://www.rzadkiechoroby.pl/materialy/Stanowisko%20Zespolow%20Parlamentarnych%20QUALY.pdf>

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

Koszt terapii jest dziś kwestią etyczną!



50 mln złotych

*Kolejka jest „technologią”
o udowodnionej szkodliwości*

3 dzieci i niewielka
korzyść zdrowotna

3000 dorosłych z chorobą
nowotworową i duża korzyść
zdrowotna – wydłużenie życia średnio
o 10 lat

Podejście utilitarne, mieszane i egalitarne do refundacji



PODZIAŁ BUDŻETU

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

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 leczeniu, 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, **gdym 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;

Wymagania analityczne względem dróg technologii medycznych



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

Podejście utilitarne	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;
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 egalitarnym – jedna z możliwych aranżacji systemowych



DECYZJE REFUNDACYJNE

Decision-taking / MZ

Decision-making / Appraisal
Komisja Chorób Ultrarzadkich

Assessment /
Agencja HTA: lekka, ciężka lub
mieszana

DECYZJE CENOWE

Decision-taking / MZ

Decision-making / Appraisal
Agencja Cen lub inne –
funkcjonalność systemowa

Assessment /
Agencja HTA: lekka, ciężka lub
mieszana

Systemowe narzędzia finansowe



1. Warunkowa refundacja (CED – *coverage with evidence development*, OiR – *only in research; Conditionally Funded Field Evaluation*); w tym badania niezależne od przemysłu
2. Podział ryzyka (m.in. *risk sharing schemes, paybacks, PVA – price volume agreements*)
3. Zawsze przy podejściu egalitarnym warto wdrożyć monitorowanie zachowań rynkowych: **ceny + rejestry** (kontrolne, kliniczne, ekonomiczne)

FUNDUSZ WALKI Z RAKIEM W POLSCE

WERSJA 1.0

KRAKÓW, WRZESIEŃ 2015

Patroni i mecenasi projektu



Patronami raportu są:



Mecenasami raportu są:

abbvie



Autorzy



KRZYSZTOF ŁANDA

WALDEMAR WIERZBA

ANNA KORDECKA

PAULINA ROLSKA

PAWEŁ RYŚ

JOANNA ŁABUDA

ROBERT PLISKO

AGNIESZKA KALINOWSKA

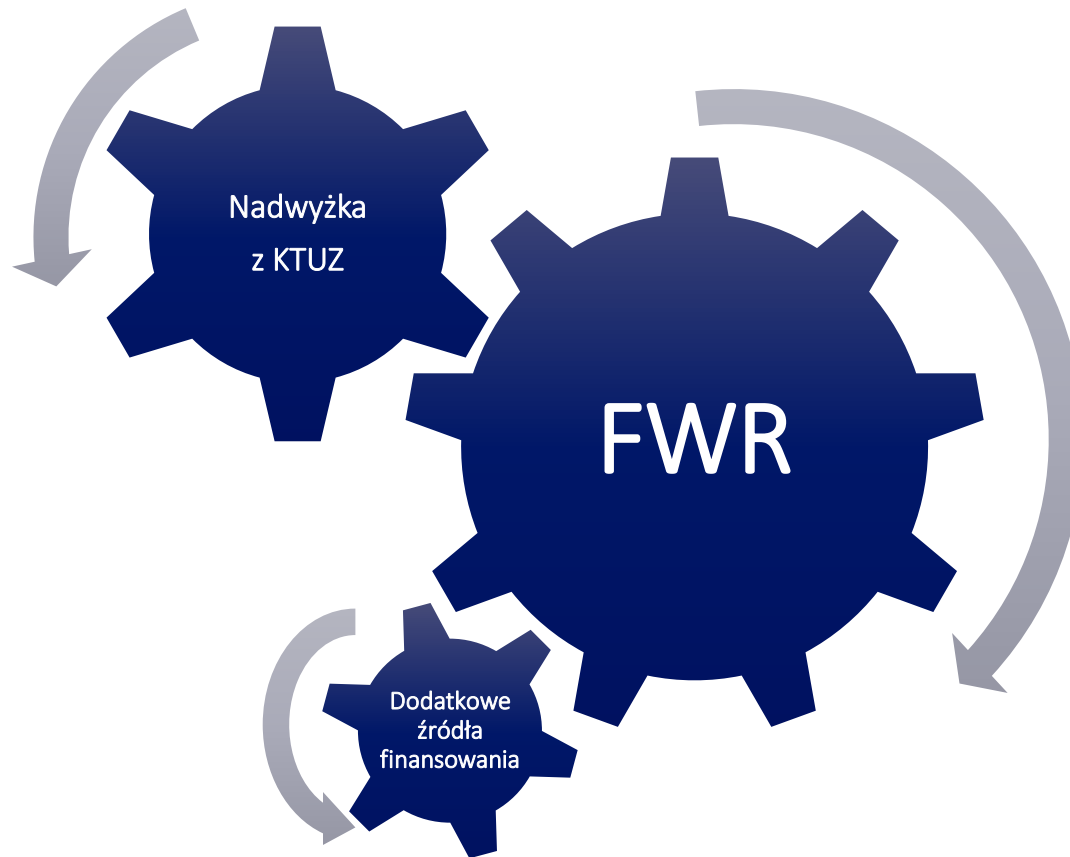
CEZARY PRUSZKO

FWR - zapewnienie dostępności do innowacyjnych metod leczenia i diagnostyki chorób nowotworowych



- bez sięgania po środki publiczne, czyli bez udziału środków np. z budżetu państwa,
- opiera się na zasadzie solidaryzmu – część środków z działalności komplementarnych ubezpieczeń zdrowotnych zostaje przeznaczona na finansowanie FWR, a **z FWR finansowane są innowacyjne technologie stosowane w onkologii DLA WSZYSTKICH Polaków**,
- zapewnia dostęp nie tylko do nowoczesnych leków, ale również nielekowych technologii diagnostycznych i terapeutycznych,
- opiera się na przejrzystych zasadach *Evidence Based Health Care* (EBHC),
- wprowadza **regułę precedensu**, zapewniającą równość dostępu do świadczeń FWR dla chorych,
- obejmuje mechanizmy zachęcające firmy do wnioskowania o przeniesienie innowacyjnych technologii z FWR do koszyka świadczeń gwarantowanych, a tym samym **na stałe zapewnia wysoki poziom innowacyjności technologii finansowanych z FWR.**

Źródła finansowania FWR



Fundusz?



„Fundusz na rzecz chorób ultraradkich obejmujący leki sieroce” **bezpłatny dla wszystkich Polaków** - podobnie jak FWR, vide: www.korektorzdrowia.pl/aktualnosci/fundusz-walki-z-rakiem-w-polsce/ finansowany z części „nadwyżki” przychodów KTUZ

kordecka@htaaudit.eu



Dziękuję za uwagę.