



**Karolina Skóra**

---

# **Finansowanie technologii sierocych – bariery systemowe w Polsce**

**– znaczenie dla ekonomiki zdrowia oraz sens  
oceny technologii sierocych względem progu  
opłacalności**



# Choroby rzadkie i ultrarządki

---

**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
- dotyczą one 6% do 8% populacji UE
- czyli 27 mln do 36 mln ludzi w UE

---

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



---

**Dlaczego refundacja leków sierocych  
wymaga szczególnego podejścia?**

**Dlaczego uzasadnienia cen  
zamiast analiz ekonomicznych?**



# Utylitaryzm, a egalitaryzm w podejmowaniu decyzji refundacyjnych

---

**UTYLITARYZM** – filozofia „zdrowego rozsądku”.  
Celem wszelkiego działania powinno być  
„największe szczęście największej liczby ludzi”

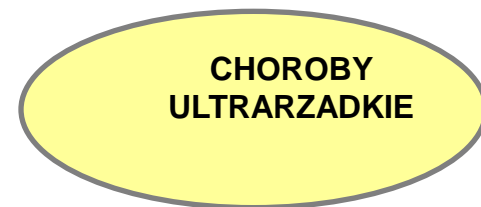
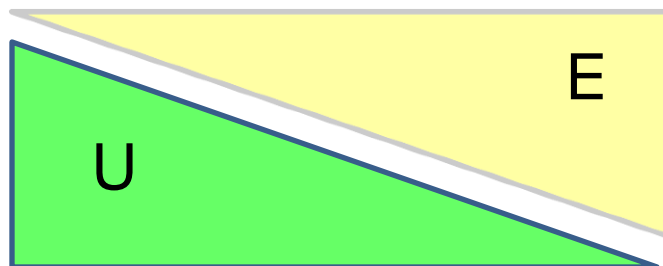
**EGALITARYZM**, uznaje zasadę całkowitej  
równości warunków życia oraz praw ludzi za  
podstawę sprawiedliwego ustroju społecznego.



# Kryteria refundacji – gdzie podejście użytkitarne, gdzie egalitarne, gdzie mieszane?



**Podejście użytkitarne**



**Podejście egalitarne**



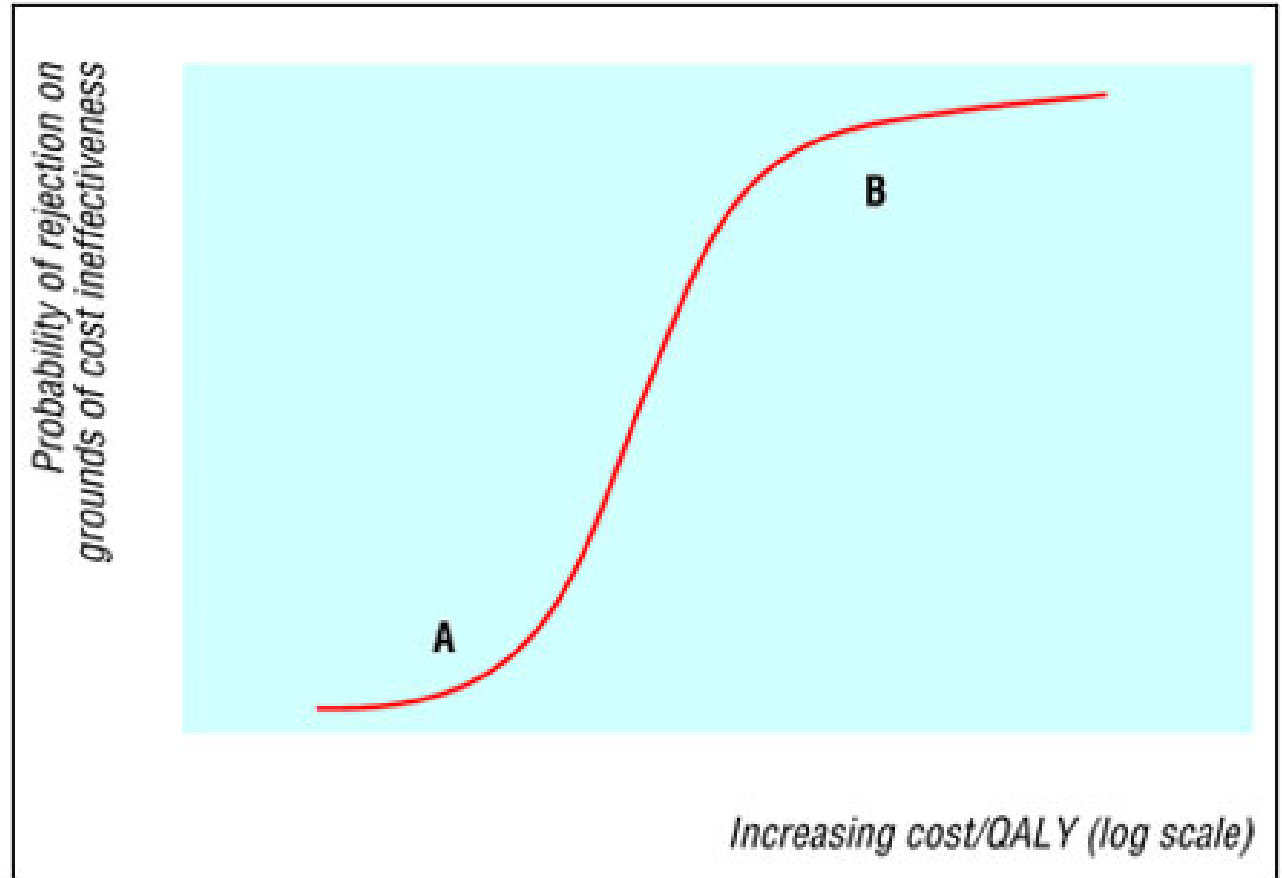
## Refundacja: co chce wiedzieć decydent?

---

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 – 111 381 PLN [około 22 000 GBP, 26 500 EUR]**

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

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



MAX  
Wpływ siły  
interwencji  
na cenę

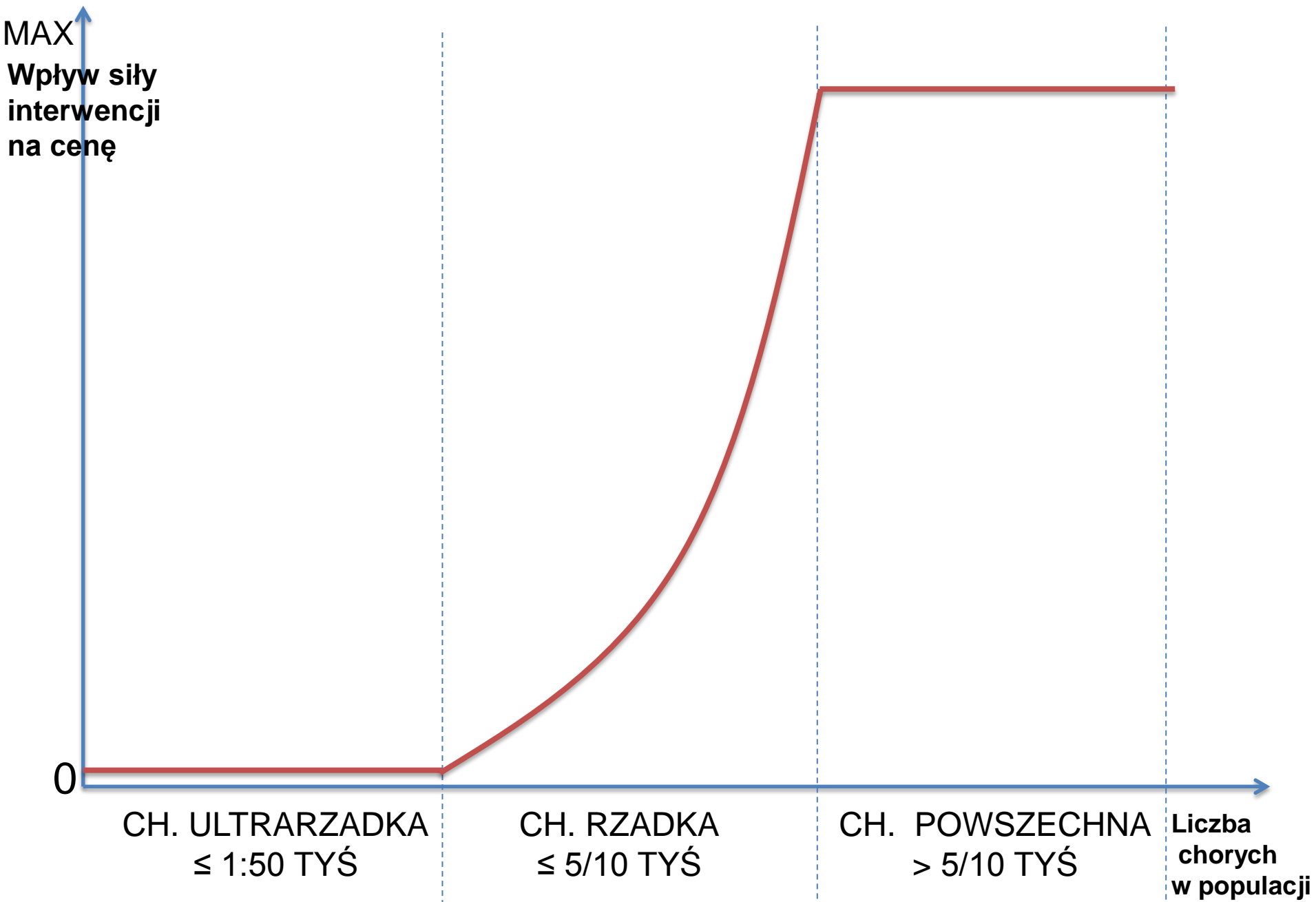
0

CH. ULTRARZADKA  
 $\leq 1:50$  TYŚ

CH. RZADKA  
 $\leq 5/10$  TYŚ

CH. POWSZECHNA  
 $> 5/10$  TYŚ

Liczba  
chorych  
w populacji





# 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



# 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



# Podjęcie utilitarne, 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



# 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)	<b>UZASADNIENIE CENY</b>
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**

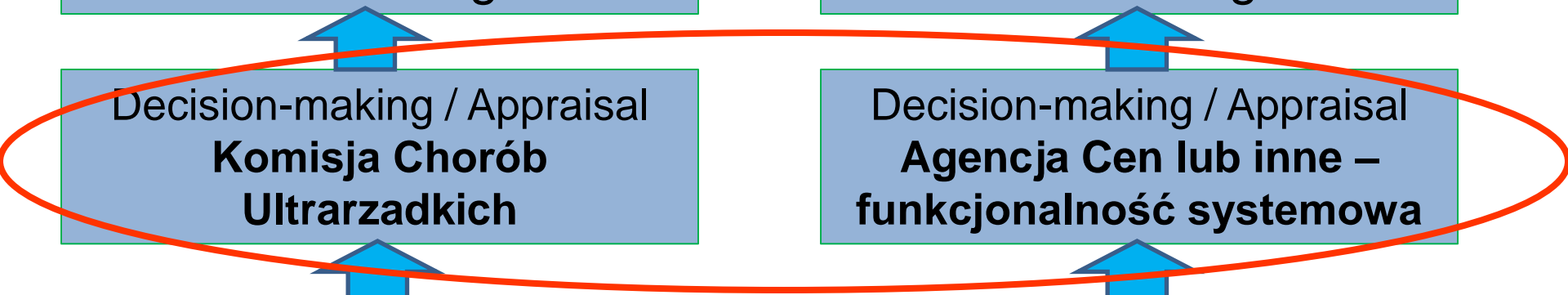
Assessment /  
**Agencja HTA: lekka, ciężka  
lub mieszana**

## **DECYZJE CENOWE**

Decision-taking / **MZ**

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

Assessment /  
**Agencja HTA: lekka, ciężka  
lub mieszana**





# Ustawa refundacyjna

---

Niestety w nowej ustawie refundacyjnej nie przewidziano oddzielnego trybu dla terapii stosowanych w chorobach rzadkich i ultrarzadkich – takie czynniki nie są w Polskim prawie zupełnie brane pod uwagę.

**SZTYWNY PRÓG OPŁACALNOŚCI: 111 381 PLN**

**NOWA USTAWA REFUNDACYJNA NAPISANA  
ZOSTAŁA WYŁĄCZNIE W DUCHU UTYLITARNYM!**





---

# **Podejście do leków sierocych w krajach UE**



# Belgia, Holandia, Szwecja

---

## **BELGIA**

Przy ocenie leku sierocego nie jest brana pod uwagę efektywność kosztowa. Leki sieroce są w pełni refundowane przez Krajowy Instytut Ubezpieczenia Zdrowotnego i Rentowego.

## **HOLANDIA**

Wymóg przeprowadzenia oceny ekonomicznej bywa pomijany, gdy wskazanie stanowi choroba rzadka i brak jest alternatywnej metody leczenia.

## **SZWECJA**

Pomimo, że efektywność kosztowa stanowi jedno z kryteriów refundacyjnych, pierwszeństwo przy podejmowaniu decyzji ma zasada solidarności społecznej oraz zaspokajania największych potrzeb zdrowotnych.



# UK - NICE

---

**NICE nie zaleca stosowania sztywnych progów opłacalności w ramach brytyjskiego systemu opieki zdrowotnej (NHS).**

W przypadku oceny leków sierocych powinno się rozważyć wprowadzenia oddzielnych reguł decyzyjnych (np. odmiennego zakresu wartości ICER uznawanej za „opłacalną”).

Jednocześnie *Citizens Council* – ciało doradcze NICE, złożone z przedstawicieli wszystkich grup społecznych – wskazuje **na potrzebę odmiennego podejścia przy podejmowaniu decyzji w przypadku chorób rzadkich, m.in. akceptowanie dowodów naukowych nie pochodzących z randomizowanych badań klinicznych.**



# POLSKA

---

W Polsce chorzy na choroby rzadkie i ultrarządki są i będą szczególnie pokrzywdzeni dopóty, dopóki w ustawie refundacyjnej nie zostanie zapewnione podejście egalitarne dla szczególnych świadczeń zdrowotnych.



